

Geneditering og Immunceller

A. INDLEDENDE OPLYSNINGER	
Indsatsområde	Den Sunde Krop
Institut	Bioneer A/S
Titel	Geneditering og Immunceller
Version	1.3
Periode	01.01.2023 – 31.12.2024
Kontaktperson	Monika Gad

B. ÆNDRINGER
Aktiviteten fortsætter i 2024. Aktiviteten vil inkludere såkaldte CAR-T celler, som i stigende grad anvendes som ny behandling af kræftpatienter. Ved at bruge gen-redigering vil nye assays og modeller tilrettet CAR-Ts udvikles. Yderligere vil teknikkerne blive anvendt til at etablere 3-dimensionelle cancermodeller.

C. BESKRIVELSE	
MÅL	De overordnede mål for aktiviteten er at: 1. Udvide paletten af prækliniske værktøjer til gavn for danske virksomheder 2. Udvikle en ny generation af immunologiske modeller indenfor bl.a. immunonkologi 3. Etablere en bred tværfaglig teknologisk kompetence indenfor den nyeste genediteringsteknologi anvendt i immunceller Immunterapi, en behandlingsform hvor man manipulerer immunforsvaret til at reagere kraftigere eller svagere, afhængigt af hvilken form for sygdom man ønsker at påvirke, er et felt i kraftig udvikling. På samme måde er geneditering et felt i hastig udvikling og en kombination af immunterapi og geneditering har et vidstrakt potentiale, som kan føre til forebyggelse og behandling af en lang række immunrelaterede sygdomme, herunder kræft, autoimmune sygdomme og infektionssygdomme. Potentialet ved geneditering af immunceller er mere målrettet og effektiv behandling, som vil accelerere udviklingen af nye behandlinger og samtidig være stærkt ressource besparende for samfundet. CAR-T teknologi har revolutioneret behandlingen indenfor visse kræftformer og feltet er i hastig udvikling. Med denne aktivitet vil Bioneer kombinere genediterings-teknikker (CRISPR) med immuncellemodeller, for at udvikle cellemodeller indenfor skræddersyet medicin. Specielt indenfor målrettet-immuncelle terapi, herunder CAR-T og cellesystemer, som kan anvendes til at analysere blokering eller aktivering af immuncelle-respons, vil specifikt ændrede immune celler have stort potentiale. Aktiviteten bidrager derved til de overordnede målsætninger for Indsatsområdet, ved at udvikle prækliniske

	cellemodeller som kan hjælpe virksomheder i den tidlige prækliniske udvikling, her specielt indenfor udvikling af kræftmedicin.
INDHOLD	Aktiviteten vil i første omgang tage afsæt i allerede udviklede genediteringskompetencer inden for pluripotente stamceller og cellelinjer og være koncentreret omkring udviklingen af nye redskaber til specifikt at genmodificere immuncelle subsets. Udviklingen af de basale genredigeringsværktøjer, vil senere i aktiviteten danne basis for udvikling af prækliniske immunologiske cellemodeller til bl.a. "target validering". Bioneer har etableret en lang række immunologiske cellemodeller som anvendes i de prækliniske faser og aktiviteten er derfor drevet af tværfaglige kompetencer indenfor molekylærbiologi og immunologi. Følgende delaktiviteter startes og udføres parallelt: • Geneditering af pluripotente stamceller, som herefter differentieres (udvikles) til immunceller • Videreudvikling af immunmodeller, inkl. 3D modeller til validering af nye lægemidler samt celleterapiprodukter (Car-T, CAR-NK)
AKTØRER	Bioneer fortsætter denne aktivitet med et stærkt tværfagligt team bestående af eksperter fra Immungruppen og Sygdomsmodel-gruppen som har mange års erfaring med de nyeste genediteringsteknologier. Bioneer har inddraget samarbejdspartnere på Aarhus Universitet, DTU og Københavns Universitet indenfor geneditering og kræftforskning, samt danske hospitaler indenfor klinisk immunologi.
SAMMENHÆNG MED ANDRE PROJEKTER	Aktiviteten hænger fortsat tæt sammen med andre aktiviteter i Indsatsområdet, herunder "Komplekse Cellemodeller" og "AI og Cellemodeller". Fremadrettet vil kombinationen af kunstig intelligens og cellemodeller hænge nøje sammen med den relevans og kvalitet af data som skal skabe grundlaget for AI modellerne indenfor kræft, hvilket denne aktivitet bidrager til. Bioneer vil fortsat søge eksterne forskningsmidler, hvor geneditering og immunologi vil være fællesnævneren. Bl.a. sigets mod relevante opslag ved Innovationsfonden og internationale midler hvor specielt Innovative Health Initiative (IHI) er interessant, da immunonkologien er et fokus i deres strategiske afsæt.
FØLGEGRUPPE	Bioneer har etableret en følgegruppe bestående af eksperter fra virksomheder og fra videninstitutioner, bl.a. fra Kræftens Bekæmpelse og Herlev hospital.
FORMIDLING AF RESULTATER	Videnspredning fra aktiviteten planlægges overordnet med Indsatsområdets målsætning som pejlemærke – dvs at skabe de bedste teknologiske services som kan bidrage til hurtigere og mere effektiv prækliniske udvikling. Fra denne aktivitet vil målgruppen være indenfor immunologi og kræft. Bioneer vil som altid være aktive aktører på konferencer, diverse seminarer, eftermiddagsmøder osv. Vi vil også fortsat publicere videnskabelige artikler i danske samt internationale tidsskrifter, samt formidle centrale resultater og services på platforme som LinkedIn. Herudover vil Bioneer samarbejde tæt med MVA indenfor dette område i forhold til formidling målrettet biotekvirksomheder i den prækliniske fase.

