



Bioteknologirådet

«Disruptive technologies» i helsenæringen

Ole Johan Borge, Bioteknologirådet

LMI Regulatorisk høstmøte, 21. november 2017



Bioteknologirådet

Bestemmer ingenting:

- Men, gir gode råd som mange velger å følge.

25 åpne møter,
33 kronikker og
83 foredrag i 2016

Hurtigruta ●

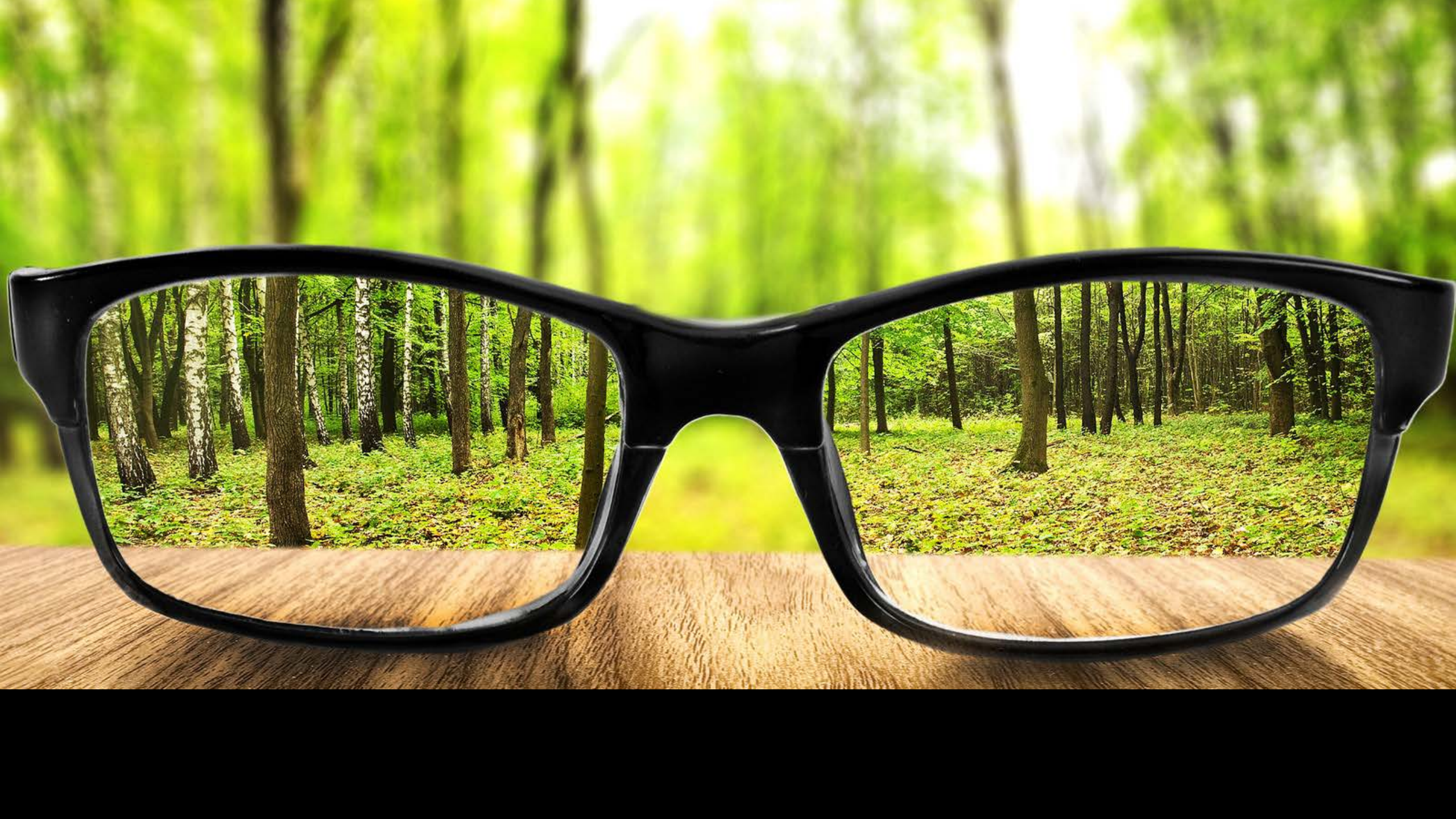
● Paris

Aarhus ●

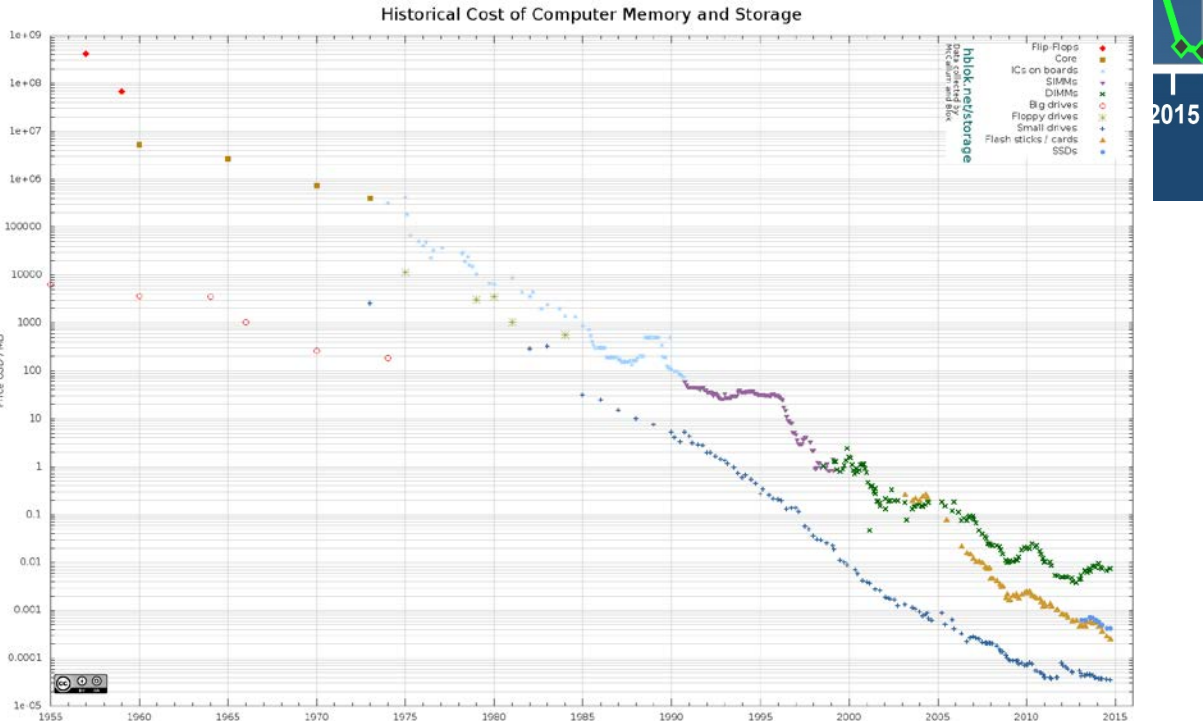
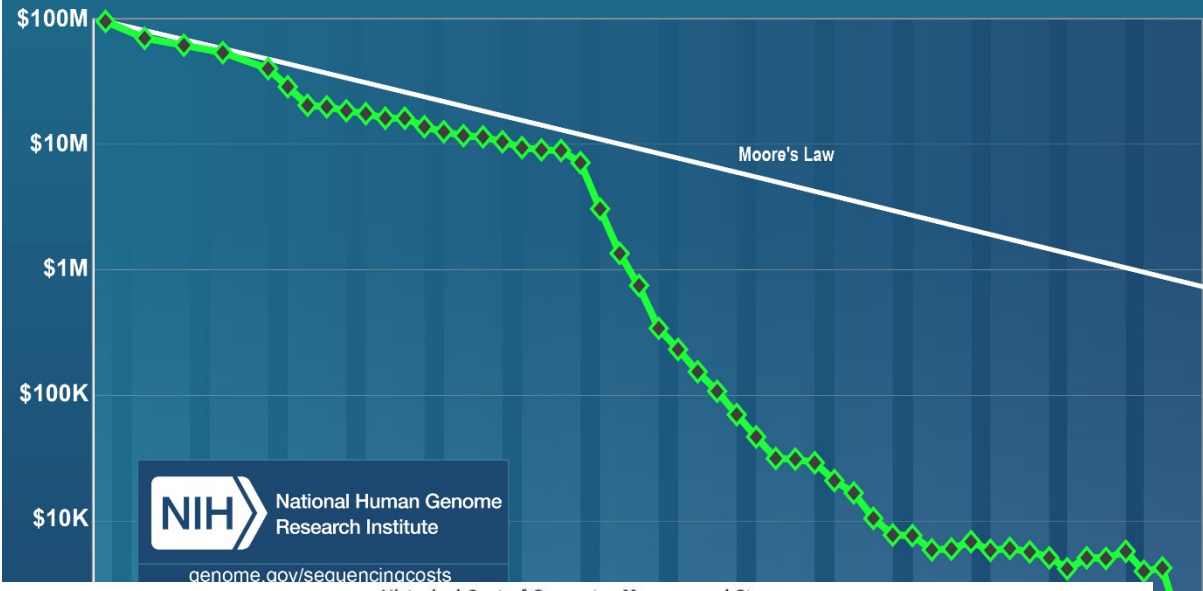




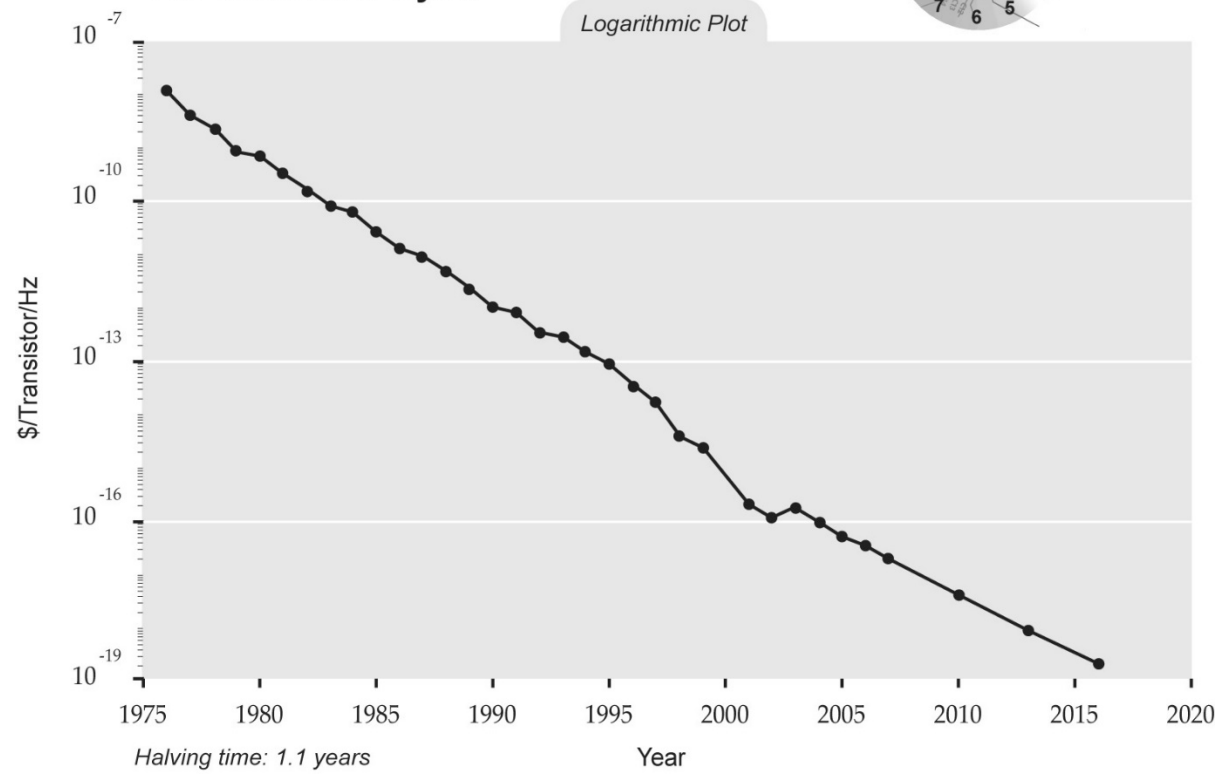
Exom-/genom- sekvensering (persontilpasset medisin)



Cost per Genome



Microprocessor Cost Per Transistor Cycle





Genetiske årsaker til sykdom

- Arvelige sykdommer og sammensatte utviklingsavvik:
 - Enkeltgenfeil
 - Kromosomfeil
- Hyppige sykdommer som kardiovaskulær sykdom, Alzheimer, kreft, psykiatrisk sykdom, autoimmunsykdommer, enkle utviklingsavvik:
 - Mange ytre årsaker
 - Mange sårbarhetsgener
 - Ukjente årsaksfaktorer

FOX

67th
EMMYS



Gen fra mor (fekst)

nt nr.1138

AATTACAGATTACTGGTCA**A**GCTAGTTCCTTTTAGCTAGCAA

Gen fra far (fekst)

GAATTACAG**A**TACAGGTCA**G**GCTAGTTCCTTTTAGCTAGC**G**A

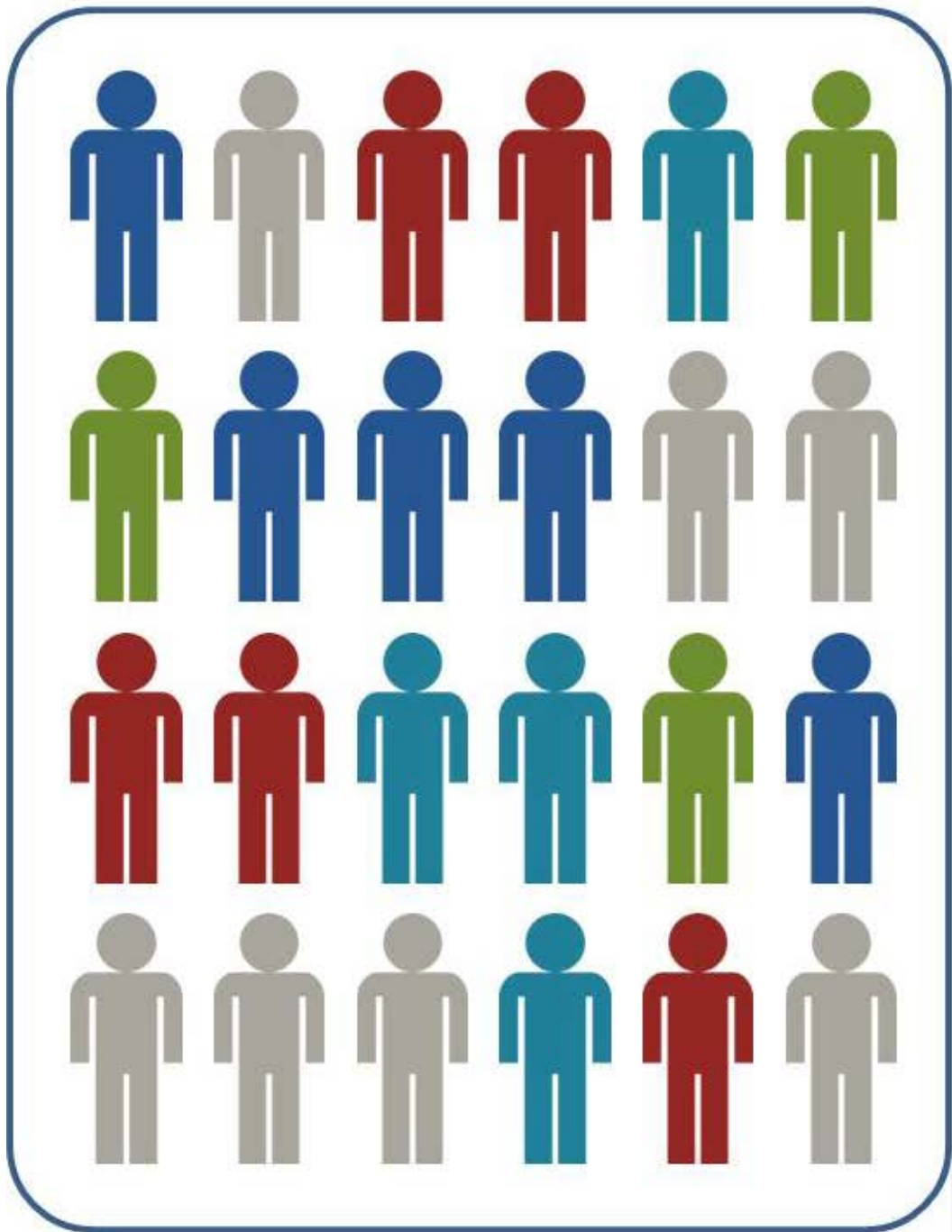
Alle med achondroplasi har mutasjonen G1138A i genet *FGFR3*

Mer enn 80% har ikke arvet genfeilen av en av sine foreldrene.

1 ufarlig genetisk normalvariant i snitt pr. 1000 nukleotider

Klasse 1	Klasse 2	Klasse 3	Klasse 4	Klasse 5
sikre normale	sannsynlig normale	usikker betydning	sannsynlig sykdomsgivende	sikre sykdomsgivende







Status

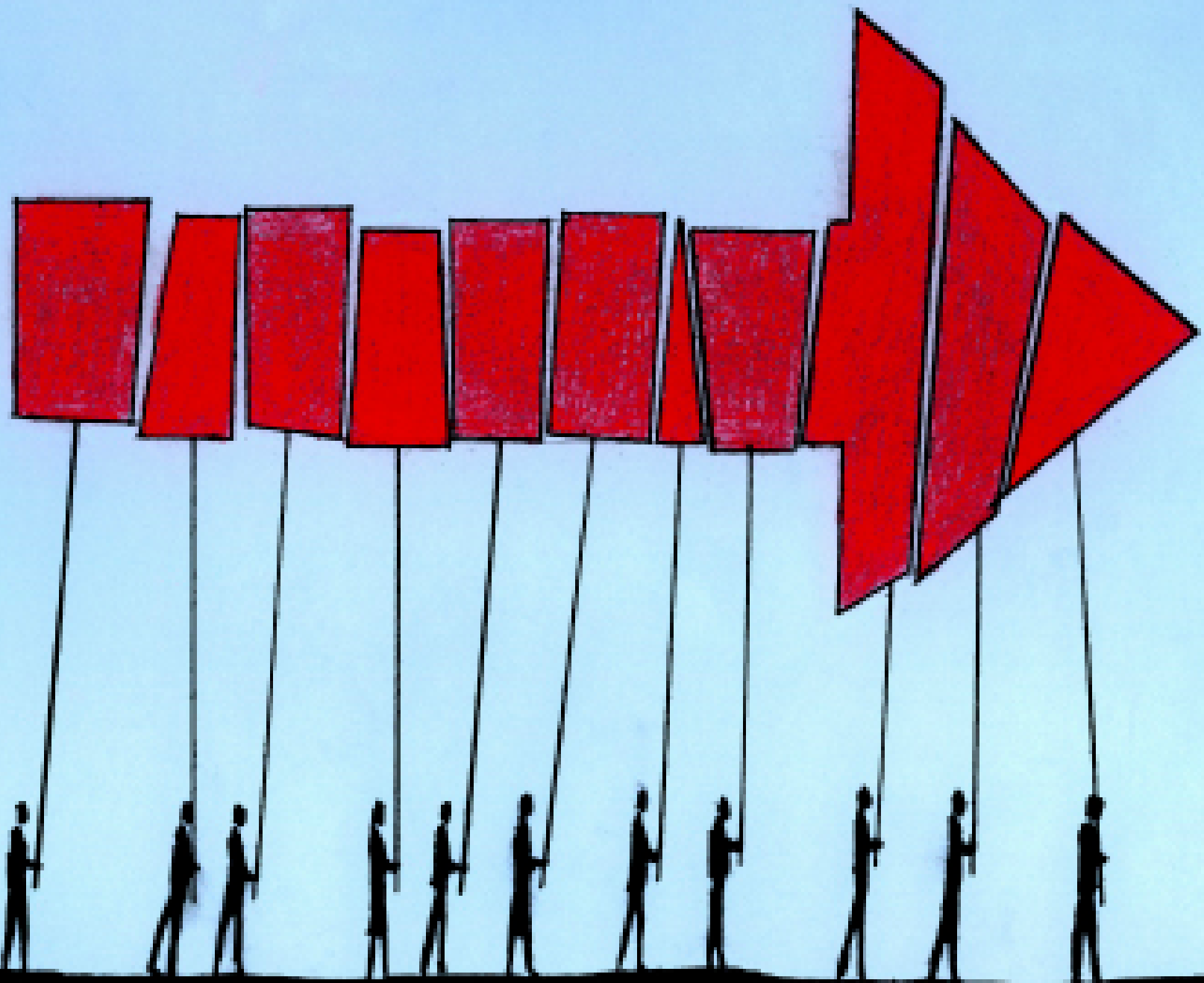
1. Lett å sekvenser
2. Vanskelig å tolke resultatene
3. Klare vi å tolke resultatene er det få behandlinger som er tilgjengelig



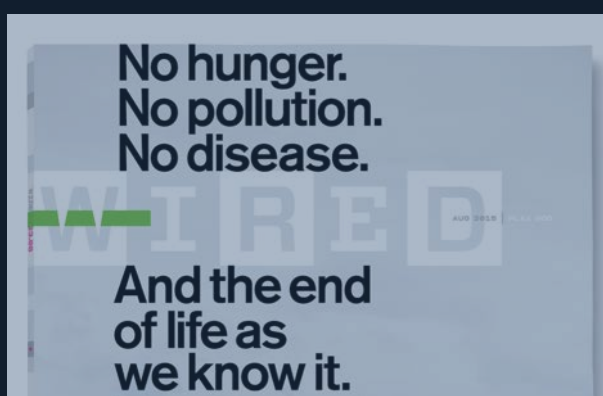
SHARE



Penotype og Genotype



Vil du dele ditt arvestoff med hele verden?



CRISPR

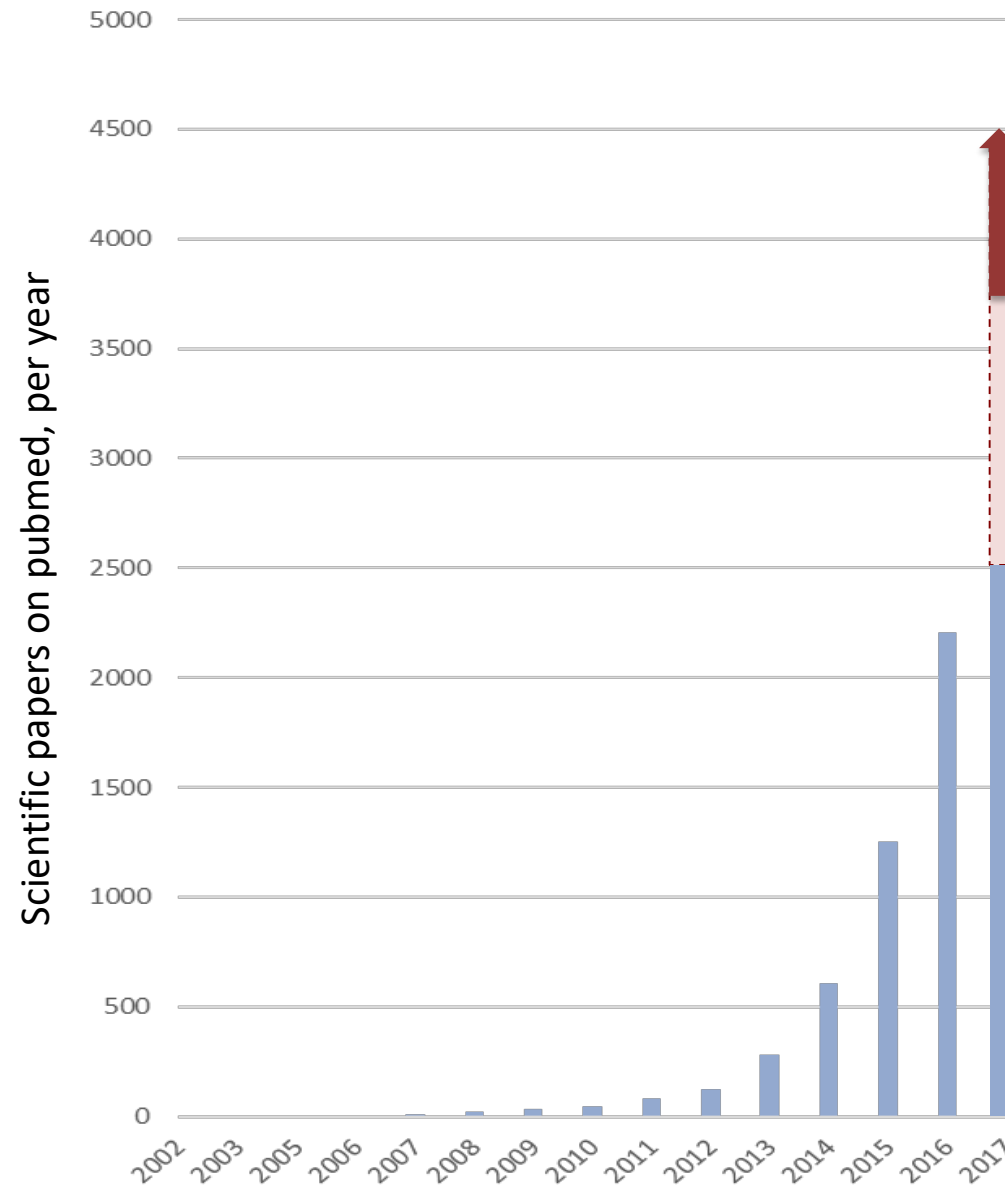
«The disruptor»



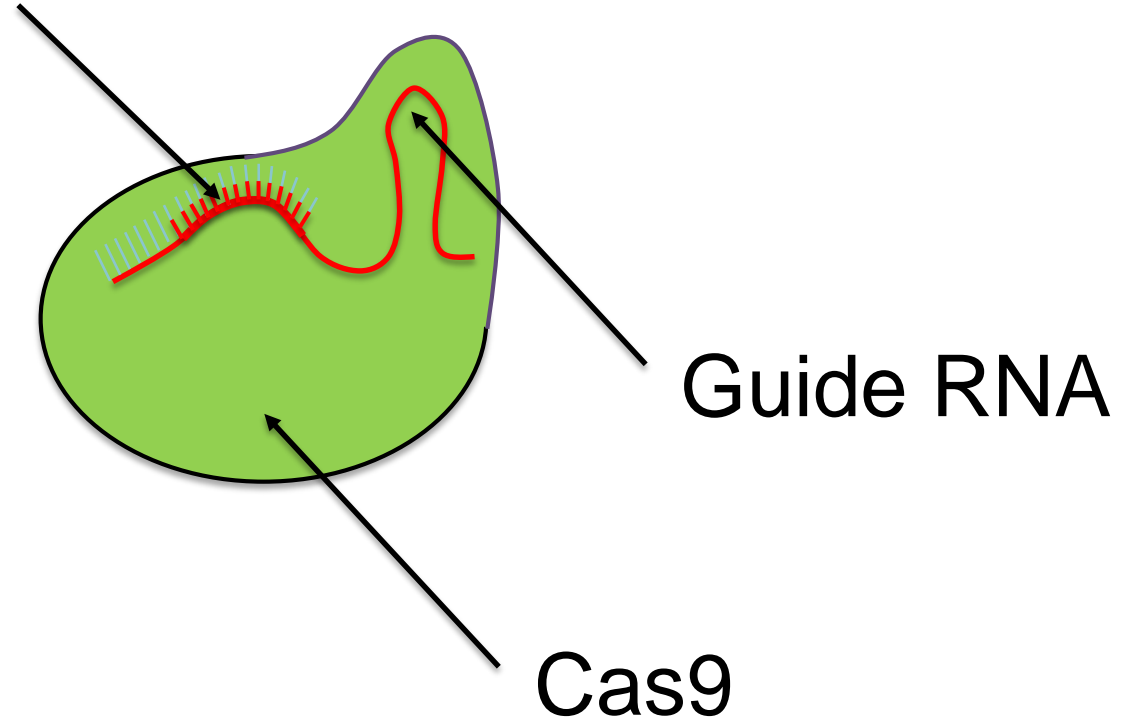
«Crispr» beskrives som århundrets bioteknologiske nyvinning

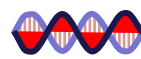
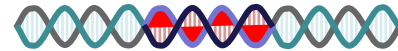
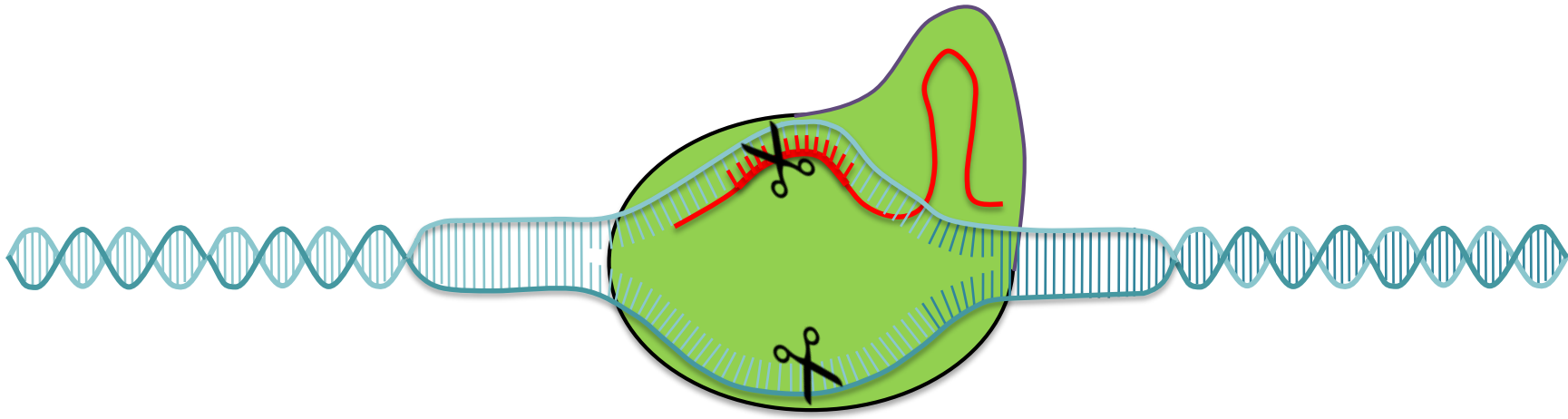


Demokratisert teknologi

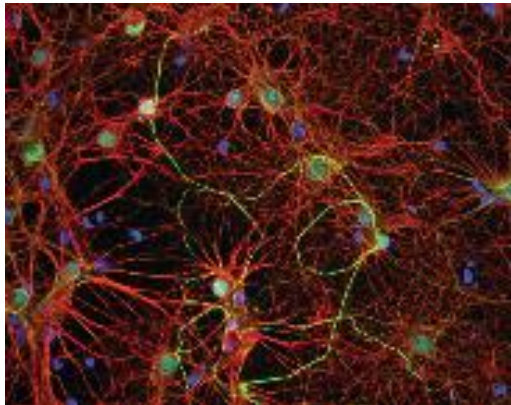
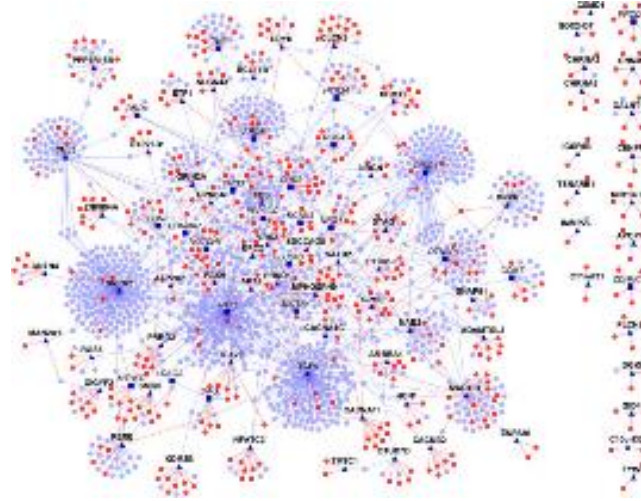


Sekvens som gir spesifisitet



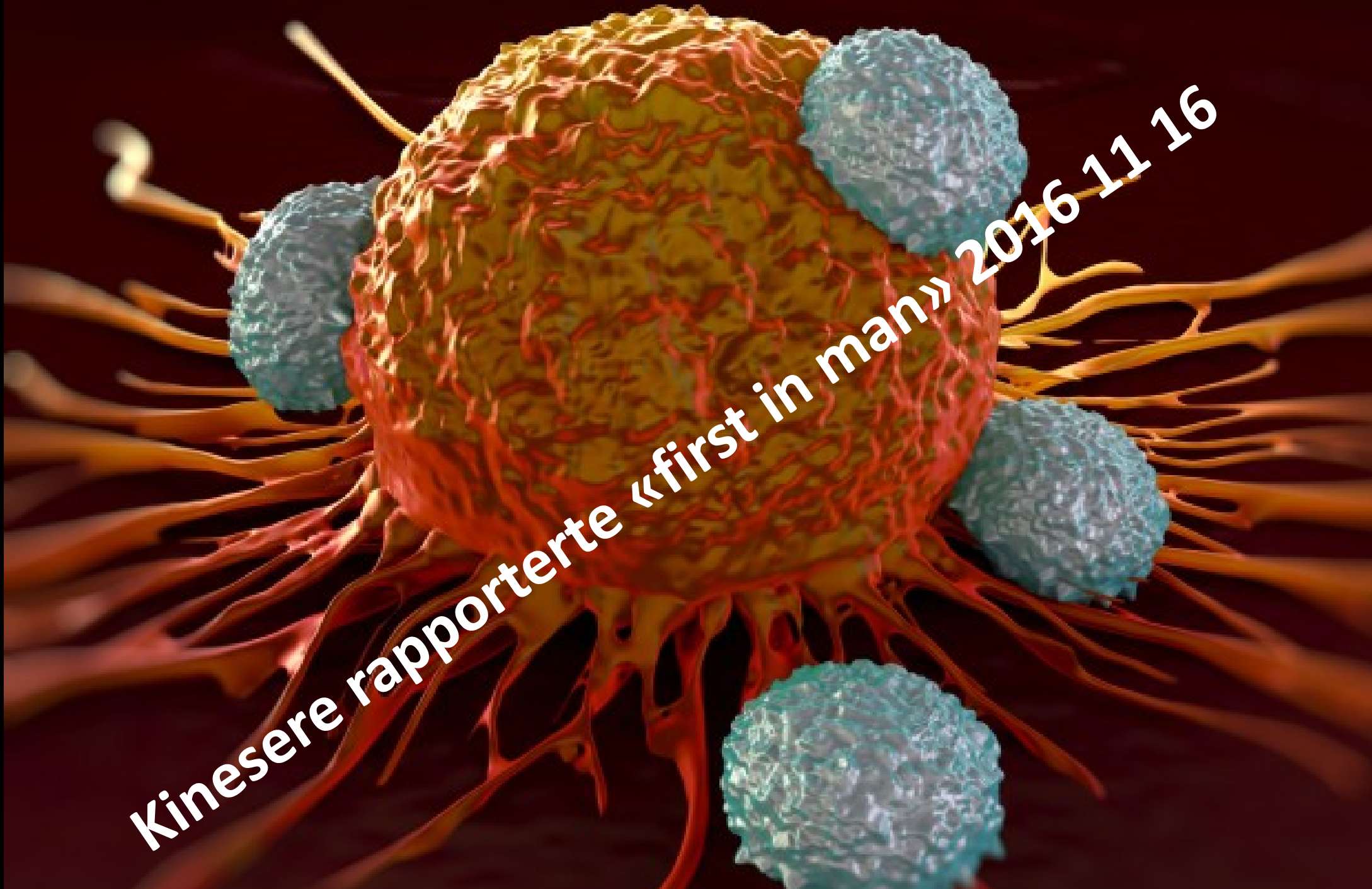


Grunnforskning – betydning av enkeltgener



Modellsystemer

Kinesere rapporterte «first in man» 2016 11 16



Har gjennomført første genendring inne i et menneske

Amerikanske forskere har for første gang forsøkt å permanent endre gener inne i kroppen til et menneske. Målet er å kurere en sykdom.

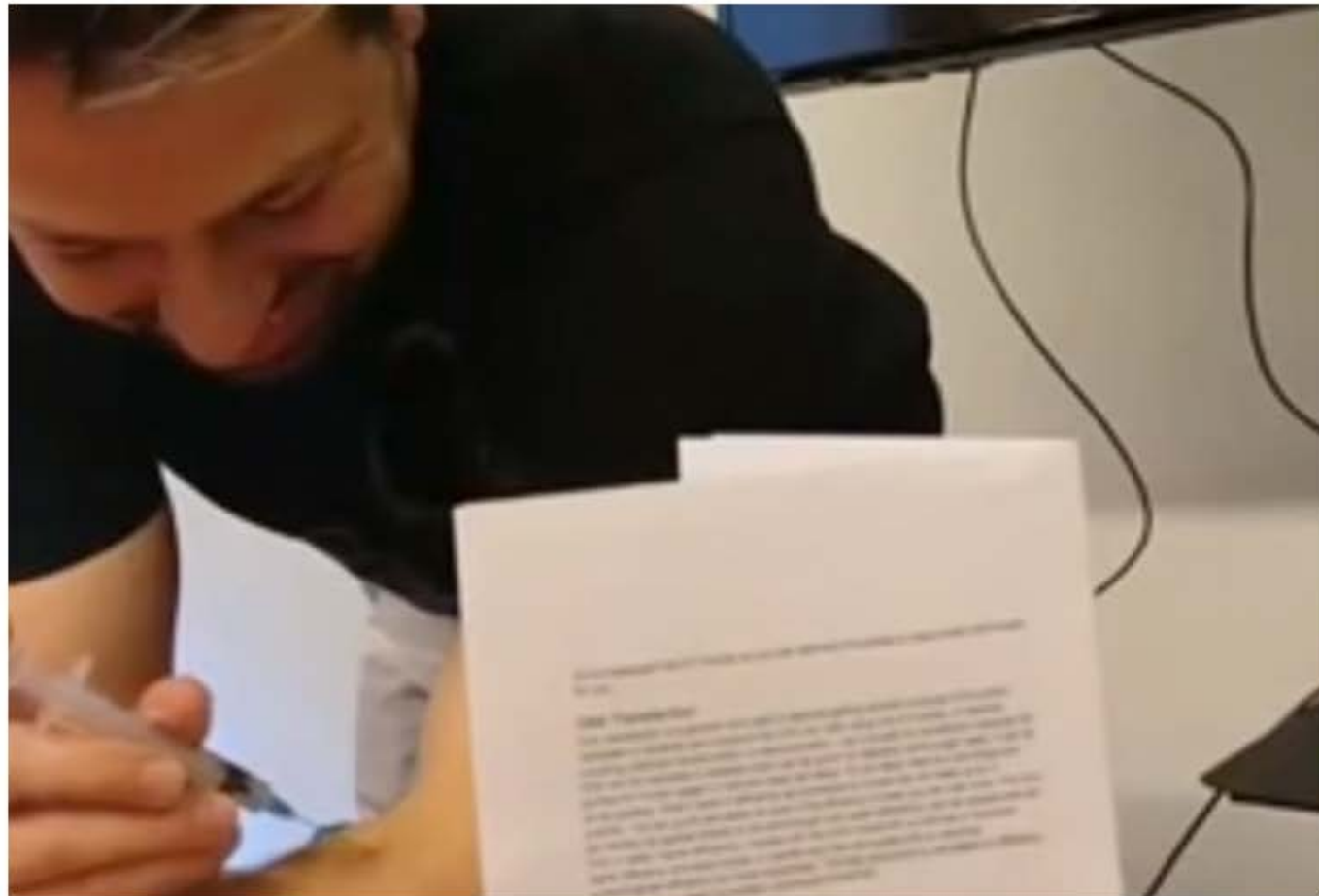


Brian Madeux sier han er beæret over å få være den første som får behandlingen han selv håper skal være revolusjonerende.

FOTO: ERIC RISBERG / AP

- Hunters sykdom
- Intravenøs injeksjon
- AAV (målstyrt til lever)
- Zinkfingernuklease
- Kutter i albumingenet
- Cellenes eget reparasjonssystem (?)

- Noen måneder til vi vet om det fungerte



**Josiah Zayner forsøker å slå ut
genet for myostatin med CRISPR.**

Her tar biokjemikeren Josiah Zayner Crispr-teknologien i bruk. Se video av hele seansen nederst i saken. (Bilde: Josiah Zayner / Youtube)

CRISPR

Biohackere endrer DNA-et sitt med billig genredigerings-teknologi

Crispr åpner for utilsiktet bruk.

AV HANNE KOKKEGÅRD, ING.DK | **BIOTEKNOLOGI** | PUBLISERT: 22. NOV. 2017 - 19:00



Facebook

21

Twitter

ANNONSE

TU JOBB

Teknisk ukeblad 23.11.2017



Forskere ved Salk Institute i USA viste i januar at de hadde klart å dyrke frem menneskelige bukspyttkjertler i griser ved at griseembryer fikk tilført menneskelige stoffer. Bildet fra forsøket viser et fire uker gammelt griseembryo. FOTO: SALK INSTITUTE, AP/WIDE WORLD

To banebrytende studier gir håp om at det kan bli mulig å dyrke menneskeorganer i griser, men det vekker kraftig etisk debatt.

En fremtid for dyrking av menneskeorganer i dyr?

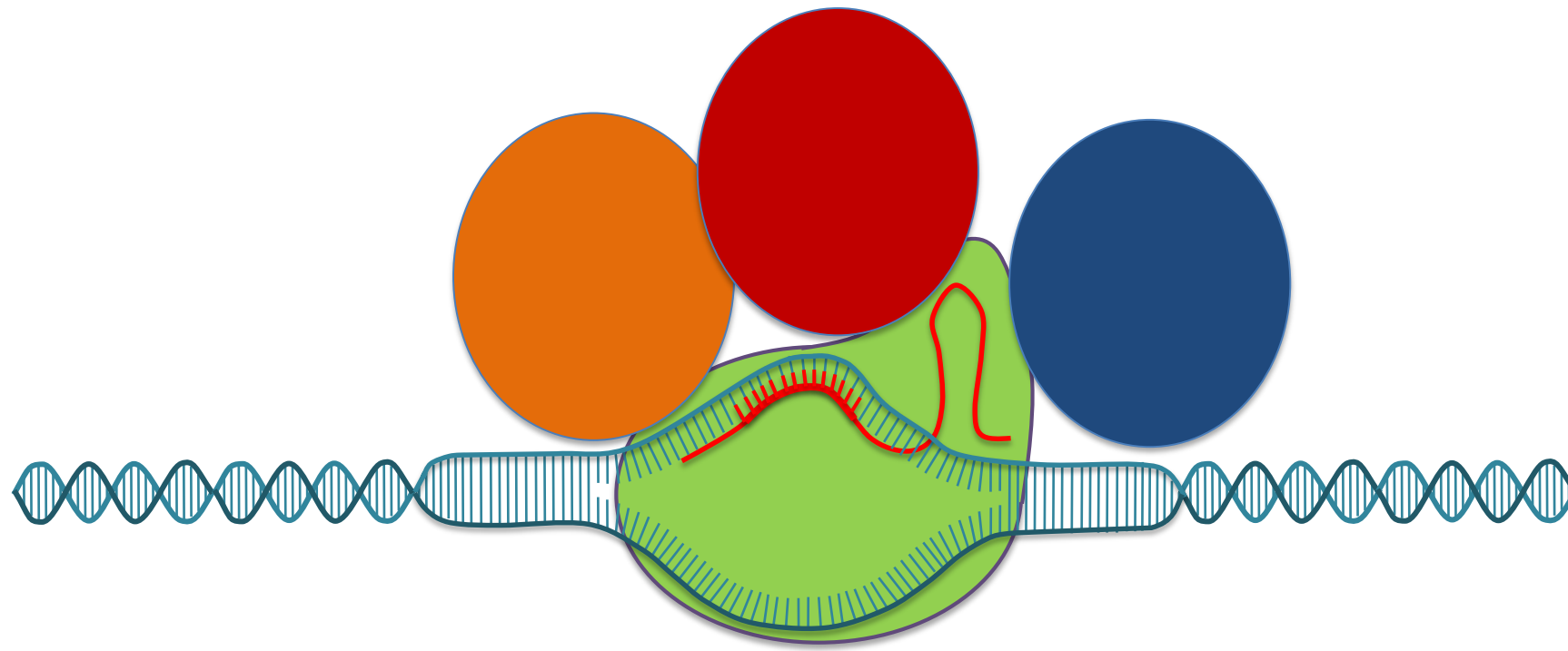


Nytt våpen i kampen mot smitteagenter?



Bioteknologirådet

Død Cas9



1. Aktivere/inaktivere gener
2. Korrigere enkeltnukleotider

We may be nearing
the beginning of the
end of genetic
diseases.

Jennifer Doudna
Professor of Chemistry and
Molecular and Cell Biology
University of California



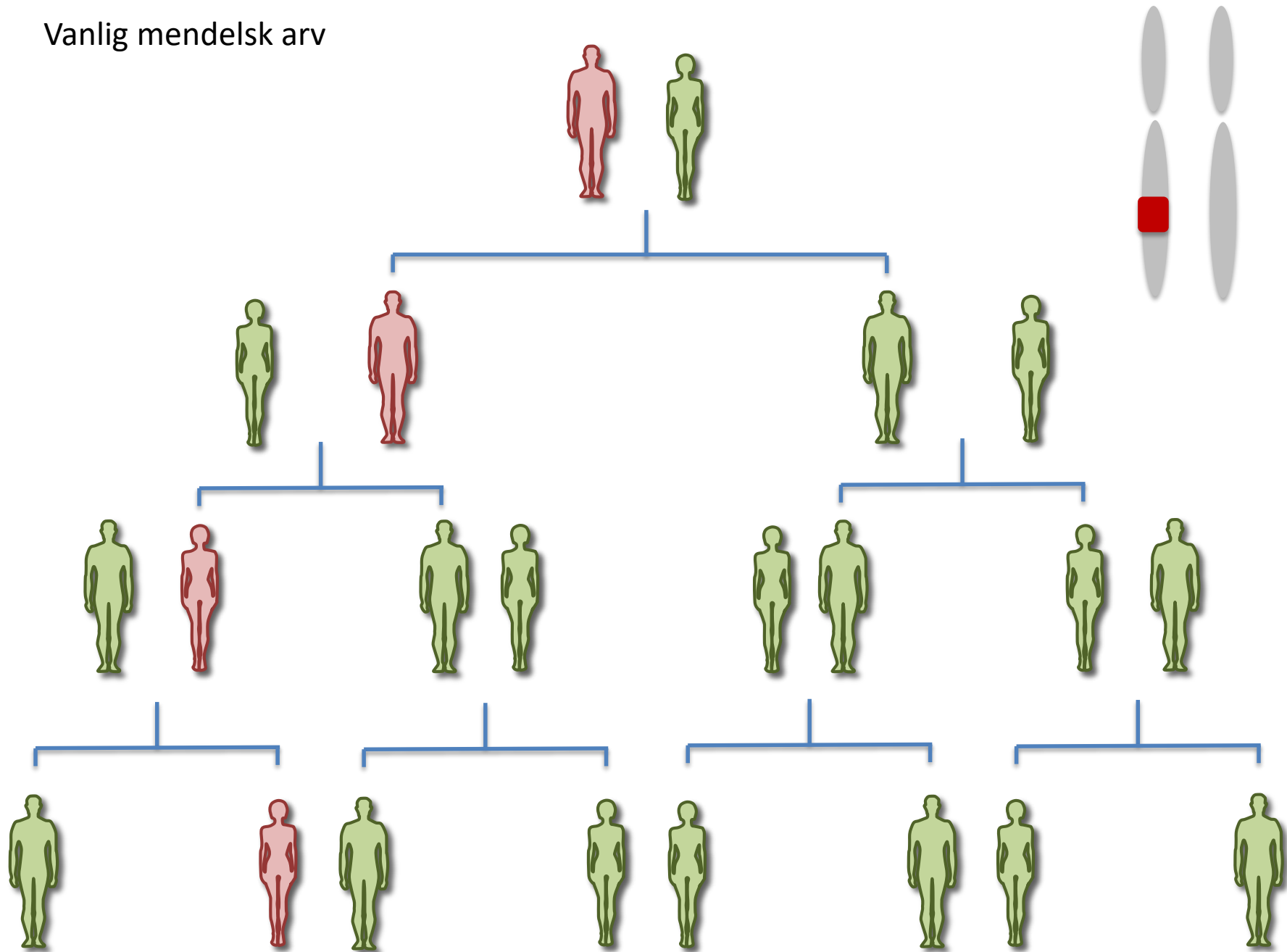
HYPE?



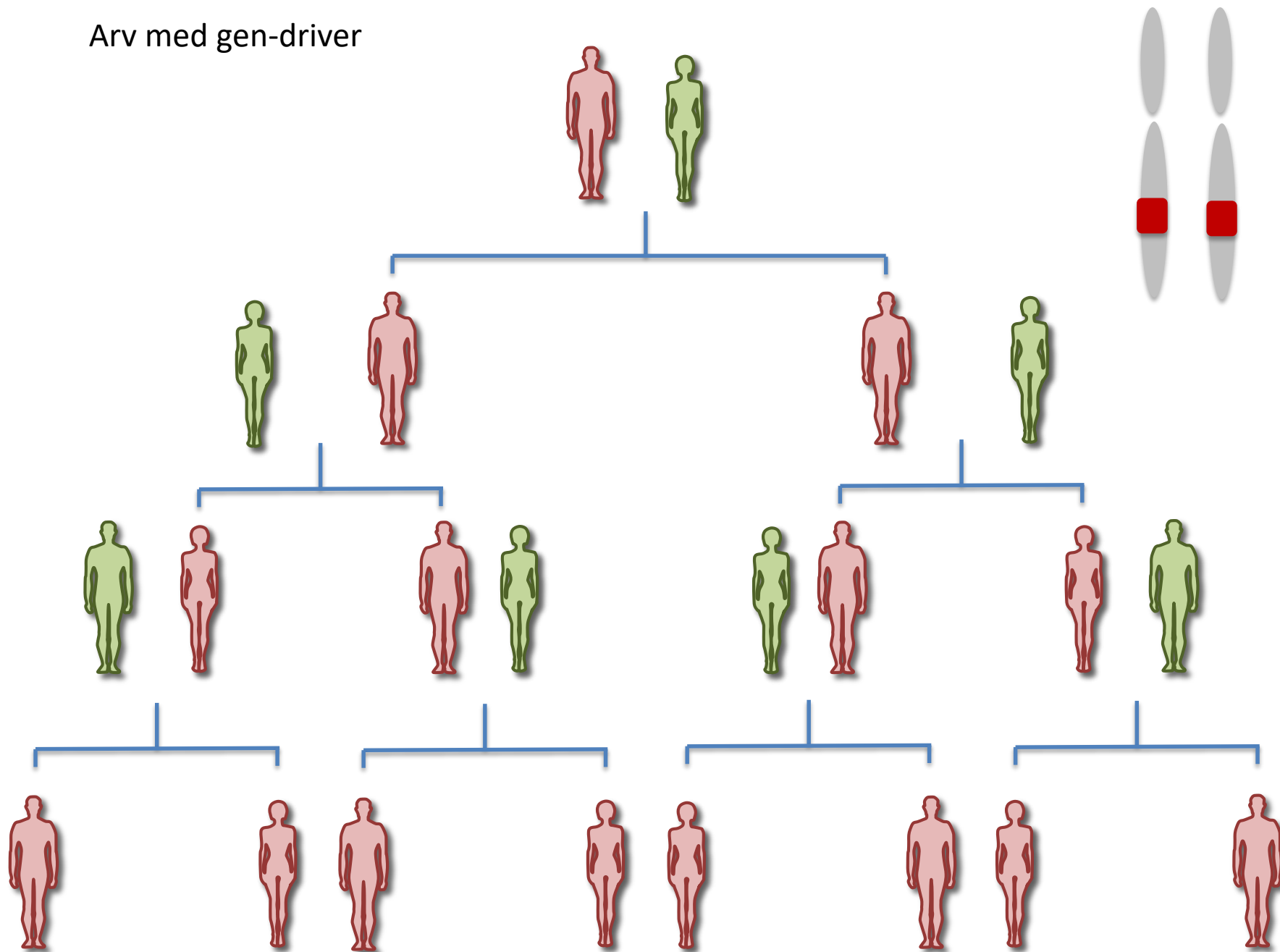
Bioteknologirådet

Gendrivere

Vanlig mendelsk arv



Arv med gen-driver





Malaria – smitter 200 millioner hvert år, og tar livet av en halv million



A world map is centered on the page, rendered in a dark green color against a lighter, textured green background that resembles watercolor or marbled paper. The map shows the outlines of the continents. Overlaid on the lower half of the map is the text "Konsekvenser?" in a large, bold, black, sans-serif font.

Konsekvenser?

Takk for oppmerksomheten!



facebook.com/bioteknologiradet



[@biotekradet](https://twitter.com/biotekradet)

Achondroplasi

- Sjelden skjelettmisdannelse
- Omdannelsen fra brusk til ben er forstyrret
- Normalt hode
- Meget korte armer og bein, og liten kropp
- Mutasjon i genet for FGFR3 (fibroblast growth factor receptor 3)



CRISPR rettet genfeilen i stamceller fra pasient



Redigerte stamceller kan gi nye muskelceller

Redigere muskelceller direkte

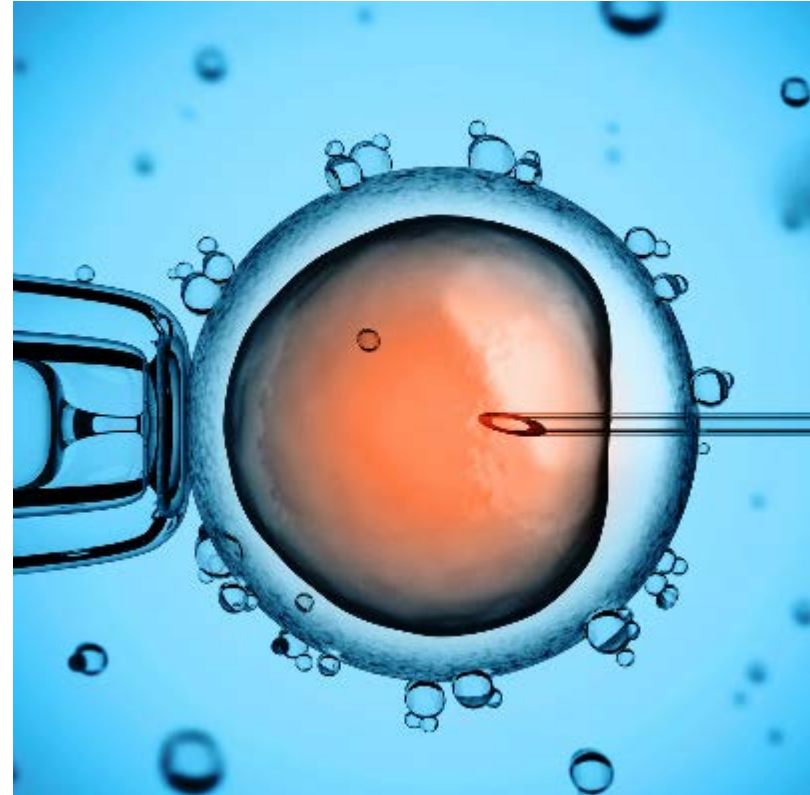
Redigerte embryoer gir friske avkom

Arvelige endringer



- April 2015: forsøk på genterapi på humane embryoer i Kina
- Ikke-levedyktige overskuddsembryoer
- Halvparten hadde riktig gen kuttet
- Ulike endringer i cellene i samme embryo

- **Uønskede kutt**



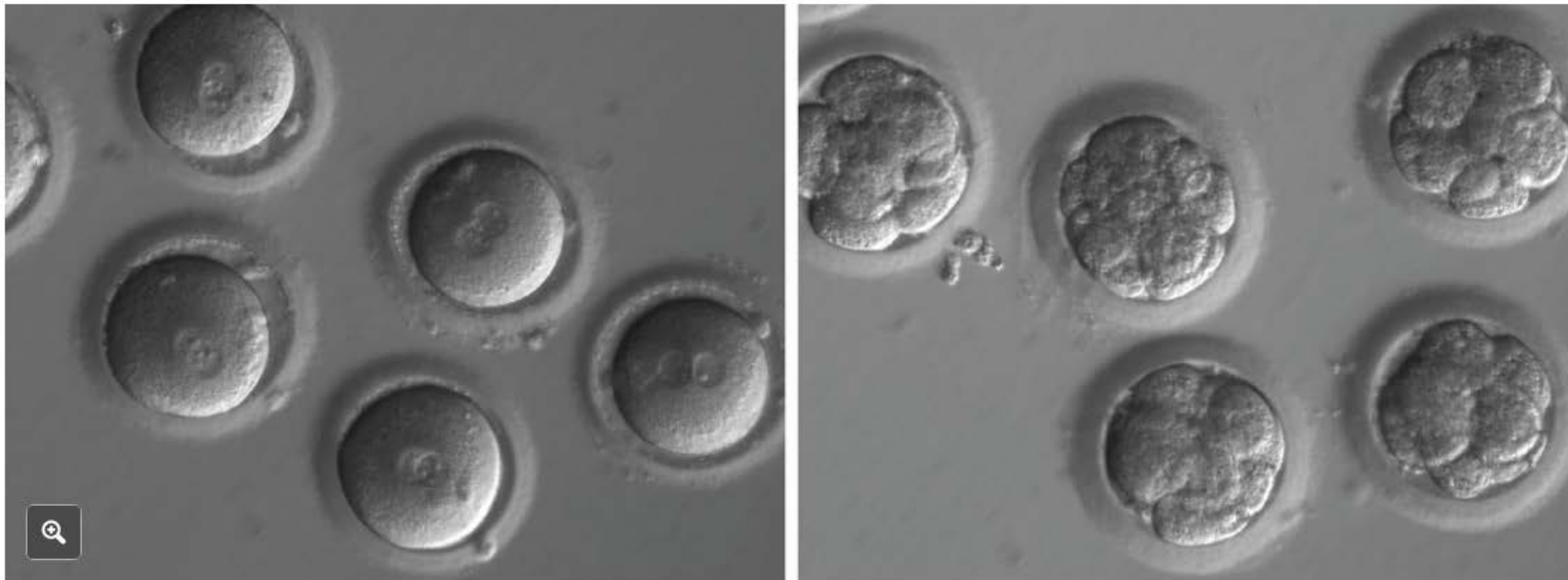


SCIENCE

In Breakthrough, Scientists Edit a Dangerous Mutation From Genes in Human Embryos

[查看简体中文版](#) | [查看繁體中文版](#) | [Leer en español](#)

By PAM BELLUCK AUG. 2, 2017



Newly fertilized eggs before gene editing, left, and embryos after gene editing and a few rounds of cell division. A study published on Wednesday announced that edited human embryos can repair common and serious disease-causing gene mutations. Shoukhrat Mitalipov