



KÖZVETLEN BRÜSSZELI FORRÁS PÁLYÁZATI TÁJÉKOZTATÓ

Program	Horizon Europe
Pályázat megnevezése (magyar)	Új technológiák fejlesztése a sejt- és génterápia területén
Pályázat megnevezése (angol)	Emerging Technologies in Cell and Gene therapy
Pályázat kódja	HORIZON-EIC-2021-PATHFINDERCHALLENGES-01-03

Általános információk

Célok

A sejt- és génterápia (CGT) már több mint három éve széles körben elfogadott biomedicinális irányzat, és továbbra is fejlődik az emberi betegségek kezelésében. A CGT-k várhatóan egyre inkább alakítják az orvosi kezelést és a diagnózist, amikor a precíziós orvoslás korához közeledünk. A sejtalapú terápia ígéretes stratégia a betegségek széles skálájának hatékony kezelésére, bár eddig a hangsúly elsősorban a rákra irányult, pl. Kiméra antigénreceptor T-sejt (CAR-T) terápia, amelynek során a T-sejteket eltávolították egyes betegekről, mérlegetje őket, hogy képesek legyenek felismerni és elpusztítani a rákos sejteket, mielőtt újra beadnák őket ugyanazon betegnek. A CAR-T (Chimeric antigen receptor T cell)sejtterápiát széles körben úgy tekintik, mint amely forradalmasította egyes vérrákok kezelését. A legújabb kutatási eredmények szerint a sejterápia hatékonyan alkalmazható szilárd rákos megbetegedésekre is.

A génterápia ezzel szemben még korántsem fedte fel teljes potenciálját, ezért az innovatív génterápiák továbbra is a genomorvoslás elsődleges prioritásai. Néhány vállalat úgy véli, hogy miután megalapozott koncepciót nyert, könnyű lesz a klinikai fejlesztés és a szabályozási ügynökségekkel folytatott interakció. A valóság azonban az, hogy az egész folyamat a koncepciótól a kereskedelmi forgalomba hozatalig, a kutatástól a GMP (Good Manufacturing Practice) szabványok szerinti kereskedelmi minőségű vírusvektorig, nagyon megterhelő, mivel folyamatosan szükség van technológiai fejlesztésekre, hogy sikeresen leküzdjék az olyan kihívásokat, mint a pontosság / specifitás növelése és a betegeknél történő felhasználás előtt befejezendő tesztek előállításának vagy kiadásának növelése. Végül kombinált sejt- és génalapú megközelítések a preklinikai vizsgálatokban,

A Pathfinder Challenge segítségével az EIC stratégiai célja az európai sejt- és génterápiás közösség kritikus elemeinek, például a koncentrált kutatási konzorciumoknak, az induló vállalkozásoknak és a spinoffoknak a megerősítése abban a képességükben, hogy



versenyezzenek és fenntarthassák magukat ezen az erőteljesen versenyző, kihívásokkal teli területen. akadályok a felfedezéstől a gyártási lépésig. A felhívásra benyújtott pályázatoknak pontosan ezt kell megoldaniuk, meggyőző technológiai megoldásokkal és / vagy új áttörési koncepciókkal, amelyek messze túlmutatnak a jelenlegi korszerűségeken.

A pályázókat felkérjük, hogy nyújtsanak be betegség-specifikus vagy nem-betegség-specifikus javaslatokat, amelyek az újonnan megjelenő technológiákra vagy technológiai megoldásokra összpontosítanak, amelyek célja az aktuális sejt- és génterápiás kihívások leküzdése az alább felsorolt egy vagy több területen, de nem korlátozódnak csak ezekre a területekre. .

A sejttérápia gyártás és a termékek klinikai stádiumba kerülése:

- Fejlett technológiai megoldások, amelyek hatékonyan támogathatják a sejttérápia GMP gyártási lépését, például a sebesség és a költséghatékonyság szempontjából.
- Új sejttérápiás termékek, amelyek olyan gyakori betegségekre irányulnak, mint a rák és a szervek elégtelensége, de olyan ritkább betegségekre is, mint az immunhiányos rendellenességek, amelyeket a klinikai stádiumú biofarmáciai gyógyszergyártó vállalatok használhatnak.
- Sejtterápiás technológiai megoldások, amelyek javíthatják a rekombináns biológia nagyon koncentrált és komplex összetételeinek kezelésében felmerülő fontos korlátokat, például a terápiás szerek szabályozott felszabadulását és az injekciózhatóságot.

Az adoptív sejttérápiák fejlesztése (CAR-T, TCR, TIL):

- Új technológiai megoldások, amelyek elősegítik a jelenlegi adoptív sejttérápiás megközelítések javítását: i) az eljárás magas költségének és bonyolultságának csökkentésével; ii) a polcon kívüli vagy allogén CAR-T sejttérápiákban megfigyelt régóta ismert kilökődési probléma leküzdésével; iii) a CAR-t egy helyre irányítva, amely elhárítaná a variabilitási problémát (a CAR véletlenszerűen bekerül a sejtek genomjába, ami változó hatékonyságot eredményez), és iv) a CAR-T-alapú új immunterápiás megközelítések kifejlesztésével a monoklonális antitestek alkalmazása.

A rák következő generációs sejttérápiáinak azonosítása:

- Új technológiai platformok, amelyek hozzájárulhatnak a rák következő generációs sejttérápiáinak azonosításához (új célpontok keresése a házba tervezett immunsejtek számára, vagy új sejtforrás az új terápiás megközelítésekhez), valamint javíthatják a meglévő terápiákat hatékonyabbá tételük érdekében és biztonságosabb. Ez utóbbi tartalmazhat naív, teljesen funkcionális T-sejteket.

Sejttérápia alkalmazása személyre szabott módon a rákos betegek kezelésében:

- Fejlett technológiai megoldások, amelyek lehetővé tennék a sejtalapú terápiák alkalmazását a betegek személyre szabott / precíziós kezelésében. Egysejtalapú megközelítések (DNS, RNS, epigenetikus jelek, fehérjék, egysejtű szekvenálással, egysejtes képképzéssel és térprofilozással kombinációban használt metabolitok elemzése), különösen annak lehetővé tétele érdekében, hogy feltérképezzék az egyes



sejtek jelenlétét a tumor környezetében.

- Új technológiai megoldásokat keresnek, ideértve a laboratóriumban termesztett rákorganoidokat vagy egy chipen lévő szerveket, amelyek lehetővé tennék a páciens reakciójának tesztelését különféle sejterápiákra és gyógyszerekre önmagukban vagy kombinációban a kezelés megkezdése előtt.

A gének közvetítő rendszerek (vektorok) hatékonyságának javítása és kockázatainak csökkentése:

- Újszerű génterápiás megközelítések a CRISPR-Cas vagy más molekuláris gépek erejének felhasználásával, amely hatékonyabb és robusztusabb génbemutató rendszereket (vektorokat) és / vagy a genetikai mutációk pontosabb és megbízhatóbb korrekcióját eredményezi.
- Technológiai megközelítések, amelyek képesek kezelni a génterápia hosszú távú kihívásait (pl. A tranziens a transzfektált gén stabil expressziója helyett).
- Új technológiai megoldások a toxicitás csökkentésére annak eredményeként, hogy a vírusvektor (ok) ismétlődő dózisait adják be a betegeknek a klinikai vizsgálatok során.
- Új vagy továbbfejlesztett génkihordó hordozók, amelyek új generációs AAV-t vagy más rekombináns vektorokat használnak, képesek specifikus szövettípusokat megcélolni és hosszú ideig fennmaradni a nem osztódó sejtekben.

A génterápiás gyártási folyamatok és termelés javítása:

- Az első génterápiákkal a piacon és még több tucat kísérlettel a verseny folytatódik a termelési és gyártási folyamatok javítása érdekében a génterápiák széleskörű bevezetése érdekében. Technológiai megoldásokat keresnek a vírusvektorok termelésével járó kihívások hatékony irányítására a klinikai vizsgálati lépés eléréséhez szükséges nagy léptékben. A sebesség kritikus, ugyanakkor a túlzott sebesség veszélyeztetheti a termék minőségét, biztonságát és hatékonyságát.

A kihívás sajátos feltételei

A jelentkezéshez a pályázásnak a feltörekvő technológiákra vagy az új, koncepciókon alapuló technológiai megoldásokra kell összpontosítania, amelyek messze túlmutatnak a jelenlegi korszerűségeken, célja a sejt- és génterápiás kihívások és akadályok leküzdése, amelyekkel a vállalatok jelenleg szembesülnek preklinikai, klinikai vagy biológiai gyártási szinten. A pályázók betegségre vagy nem betegségre vonatkozó javaslatokat nyújthatnak be.

A projektnek arra kell törekednie, hogy a végére elérje a kihíváshoz meghatározott konkrét eredmények legalább egyikét. Adott esetben figyelembe kell venni a kutatási tartalom nemi dimenzióját.

Részvételi forma	
Konzorcium	-



MAGYAR FEJLESZTÉSI KÖZPONT

Pénzügyi információk	
Teljes keret	132.000.000 EUR
Támogatási intenzitás	100%
Támogatási forma	Vissza nem térítendő
Határidők	
Benyújtási határidő	2021.10.27.17:00
Benyújtás	Elektronikusan https://ec.europa.eu/info/funding-tenders/opportunities/portal/screen/opportunities/topic-details/horizon-eic-2021-pathfinderchallenges-01-03;callCode=null;freeTextSearchKeyword=HORIZON-EIC-2021-PATHFINDERCHALLENGES-01-03;matchWholeText=true;typeCodes=1,0;statusCodes=31094501,31094502,31094503;programmePeriod=null;programCcm2Id=null;programDivisionCode=null;focusAreaCode=null;destination=null;mission=null;geographicalZonesCode=null;programmeDivisionProspect=null;startDateLte=null;startDateGte=null;crossCuttingPriorityCode=null;cpvCode=null;performanceOfDelivery=null;sortQuery=sortStatus;orderBy=asc;onlyTenders=false;topicListKey=topicSearchTablePageState