



**13° CONGRESO COLOMBIANO &
19° CONGRESO IBEROAMERICANO DE
BANCOS DE SANGRE, MEDICINA
TRANSFUSIONAL Y TERAPIA CELULAR**

—  **CONECTADOS CON EL PACIENTE**  —

Octubre 31 a Noviembre 3 del 2024
Bogotá Colombia, Hotel Sheraton

Modelo e implementación de terapias avanzadas

Daniel R Couriel, MD, MS, MBA

Professor of Medicine

Director, Transplantation and Cellular Therapy Program

Huntsman Cancer Institute, University of Utah

Salt Lake City, Utah

Terapias Avanzadas

Terapia génica: Producto obtenido mediante procesos que transfieren un gen profiláctico, diagnóstico o terapéutico con su posterior expresión por parte de la célula tratada.

Terapia celular somática: Contiene células somáticas vivas autólogas, alogénicas o xenogénicas, cuyas características biológicas han sido alteradas sustancialmente como resultado de su manipulación para obtener un efecto terapéutico, de diagnóstico o preventivo por medios metabólicos, farmacológicos e inmunológicos.

Ingeniería de Tejidos: El producto contiene células o tejidos manipulados por ingeniería y del que se alega que tiene propiedades, se emplea o se administra a las personas para regenerar, restaurar o reemplazar un tejido humano. Puede contener células o tejidos de origen humano, animal o ambos. Las células o tejidos podrán ser viables o no.

En Colombia...

- IDCBIS construye una unidad de manufactura de células CAR-T de vanguardia
- Se manufactura el producto CAR-T ARI-0001 (Hospital Clinic)
- Se sucita la necesidad inevitable de unir el laboratorio con la hematología clínica Colombiana

Terapias avanzadas en Colombia

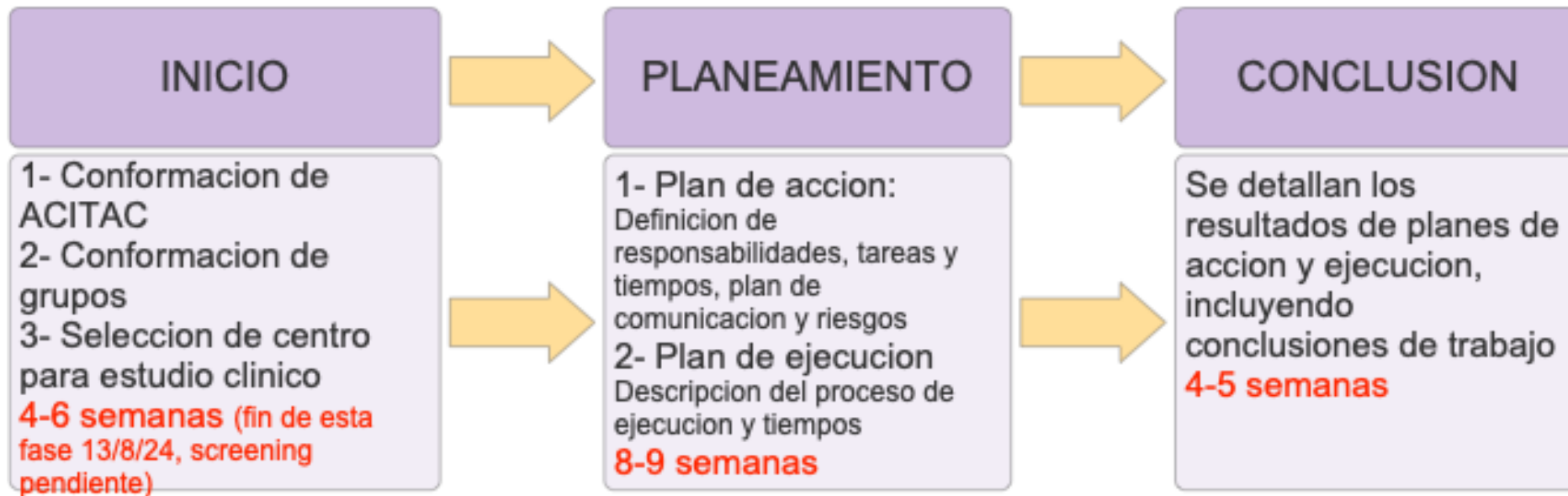
PROYECTO ALIANZA COLABORATIVA PARA LA IMPLEMENTACIÓN DE TERAPIAS AVANZADAS EN COLOMBIA -ACITAC- Junio 2024

ACITAC

- Grupo de espíritu nacional, que representa la necesidad de terapias avanzadas para todo el país mas allá de afiliaciones institucionales
- Expertos de la hematología colombiana y otros se organizan en grupos de trabajo, cada uno con un plan de acción específico
- Se reconocen en el contexto de estos grupos la necesidad de priorizar la serie de actividades que llevaran a la conclusión del protocolo clínico que evaluara las células CAR-T manufacturadas en el

IDCBIS

FASE 1 DEL PROYECTO



INICIO

Líderes Clínicos: Claudia Sossa y Ángela María Trujillo (clínica)

Miembros: Enrique Pedraza, Javier Figueroa, Maria Isabel Arbeláez, Carlos Fernando Gómez, Andrés Borda

Líderes Aféresis: Alberto Mario Pereira, Pilar Cortés

Miembros: Elena Mora, Beatriz Wills, Andrés Borda, Claudia Sossa, Juan M. Herrera,

Líderes: Raúl Gil y Cecilia Gamba

Miembros: Humberto Martínez, Fernanda Rodríguez, Xiomara Clavijo, Sebastián Bejarano, Marcela Sarmiento, Martha Arango

Líderes Adulto: Amado Karduss y Guillermo Quintero

Miembros Adulto: Laura Díaz, Juan Manuel Herrera y Oscar Peña

Líderes Pediátrico: Federico Arroyave y Javier Brito

Miembros Pediátrico: Alexis Franco

Líderes Adulto: Beatriz Wills y Virginia Abello

Miembros: Luis Eduardo Buitrago, Jaiver Fonseca, Juan Felipe Combariza, Alejandro Ospina, Humberto Martínez

Líderes Pediátrico: Natalia Builes y Diego Medina

Miembros: Angela María Trujillo

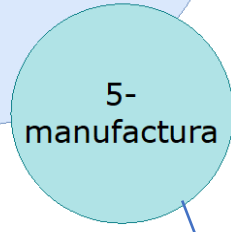
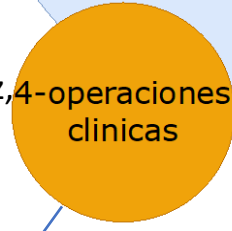
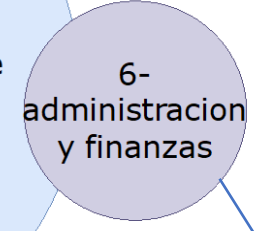
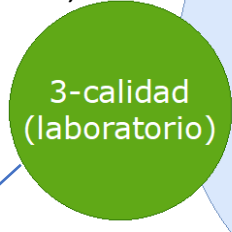
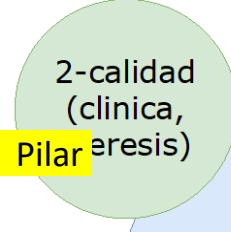
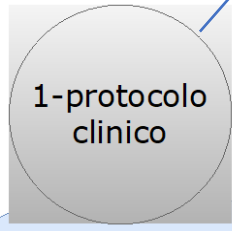
Líderes: MinSalud: Adriana Pereira y Ximena Bonilla / **INVIMA:** (por escoger) /

INS: Bernardo Camacho

Colíderes Buenas Prácticas de Manufactura: Gustavo Salguero, Liliana Bisigniano

Colíderes Buenas Prácticas Clínicas: Laura Díaz, Xiomara Olaya, Silvina Kuperman,

Miembros: (MinSalud), Carolina Wiessner, Virginia Abello



Agrupacion colombiana de terapia celular (ACOTEC)

COMITÉ EJECUTIVO

- 1 Repr. Hospitalario:** Claudia Sossa
- 1 Repr. IDCBIS:** Gustavo Salguero
- 1 Repr. Externo:** Yolima Méndez – *Fund. Colombiana de Leucemia y Linfoma*
- 1 Repr. CellServe:** Daniel Couriel
- Program Manager:** Daniel Couriel/Yaneth López

Líderes: Carolina Wiessner y Gustavo Salguero

Miembros: Mario Legarda Richard Malan, Ana Lucía Caicedo

Escojer max 1

Líder: Mariana Cañas y Marta Arango

Miembro clínico: Alejandro Ospina, Martín Escobar

PLANEAMIENTO

Plan de acción

Aspectos generales: Párrafo incluyendo en forma general un plan de acción realista, claro, incluyendo objetivos y entregables.

Tareas específicas: Detallar tareas específicas de el plan de acción. Especificar la necesidad de interacción con otros grupos de trabajo en la medida que sea necesario. Esta es la sección más relevante y la que explica en detalle los pasos a seguir.

Miembros y responsabilidad específica de cada uno de ellos

Plan de comunicación: Detalle de encuentros intragrupo y también con otros grupos en la medida que sea necesario. Incluir frecuencia o cronograma de encuentros.

Evaluación de riesgos: Anticipación de riesgos o contingencias que pueden afectar los objetivos del grupo de trabajo. Cada uno de estos deberá ser acompañado por un breve plan de resolución.

Plan de Ejecucion

Procesos específicos para cada tarea detallada para el grupo en el plan de acción.

Procesos específicos para miembros con tareas especiales
(como interacción con otros grupos)

Plan de comunicación y cronograma definitivos finalizados y
ajustados a procesos detallados

CONCLUSION

Resumen de actividades logradas por el grupo, incluyendo obstáculos y actividades no concluidas

Inclusión de cualquier evento o situación que haya afectado el desarrollo de actividades del grupo

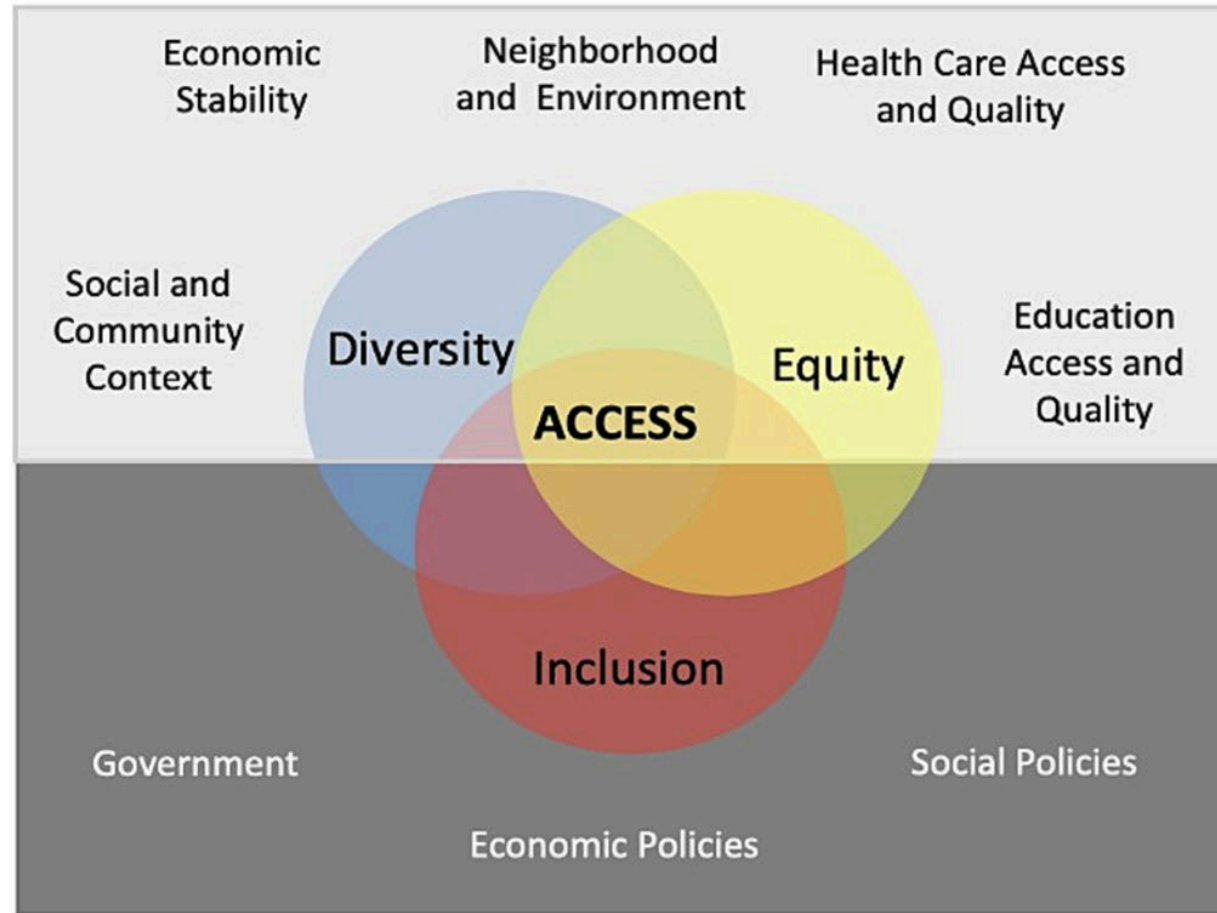
Inclusión de aspectos referidos al entregable que fueran relevantes o que requieran explicación

¿Qué estamos aprendiendo?



CONTEXTO

SOCIAL DETERMINANTS



STRUCTURAL DETERMINANTS

La complejidad en el manejo del proyecto

- **El producto**
- **El paciente**
- **Los espacios e infraestructura**
- **Los procesos específicos para cada componente (clínico, aféresis, laboratorio, manufactura)**
- **La comunicación y coordinación**
- **La estrategia y logística**

La complejidad en la investigación clínica

- En general, dependiendo del tipo de cliente, se propone una estructura en donde CellServe funciona en equipo con el sponsor o funciona como sponsor.
- En general, el manejo del estudio esta en manos de CellServe. En casos donde hay una infraestructura preexistente para el manejo de estudios clínicos, CellServe conservara la función de manejo del estudio. El grado de utilización y tipo de interacción de CellServe con dicha infraestructura será determinada por CellServe y definida en detalle previo a la iniciación del estudio

La complejidad del modelo de negocio

El modelo de negocio debe ser flexible y adaptarse a:

- **El tipo de cliente (industria farmacéutica, hospital, inversor independiente, gobierno/entidad pública)**
- **El producto**
- **Las expectativas del cliente**
- **El alcance geografico del servicio y la licencia**
- **El monto de la inversion**
- **La estrategia y logística de manufactura**
- **El nivel de infraestructura existente**

La complejidad del modelo de negocio

El modelo de negocio debe ser flexible y adaptarse a:

- **El tipo de cliente (industria farmacéutica, hospital, inversor independiente, gobierno/entidad pública)**
- **El producto**
- **Las expectativas del cliente**
- **El alcance geografico del servicio y la licencia**
- **El monto de la inversion**
- **La estrategia y logística de manufactura**
- **El nivel de infraestructura existente**

La complejidad del modelo de negocio

El modelo de negocio debe ser flexible y adaptarse a:

- **El tipo de cliente (industria farmacéutica, hospital, inversor independiente, gobierno/entidad pública)**
- **El producto**
- **Las expectativas del cliente**
- **El alcance geografico del servicio y la licencia**
- **El monto de la inversion**
- **La estrategia y logística de manufactura**
- **El nivel de infraestructura existente**

CellServe Provides Workflows and Tools

- **Workflows:**

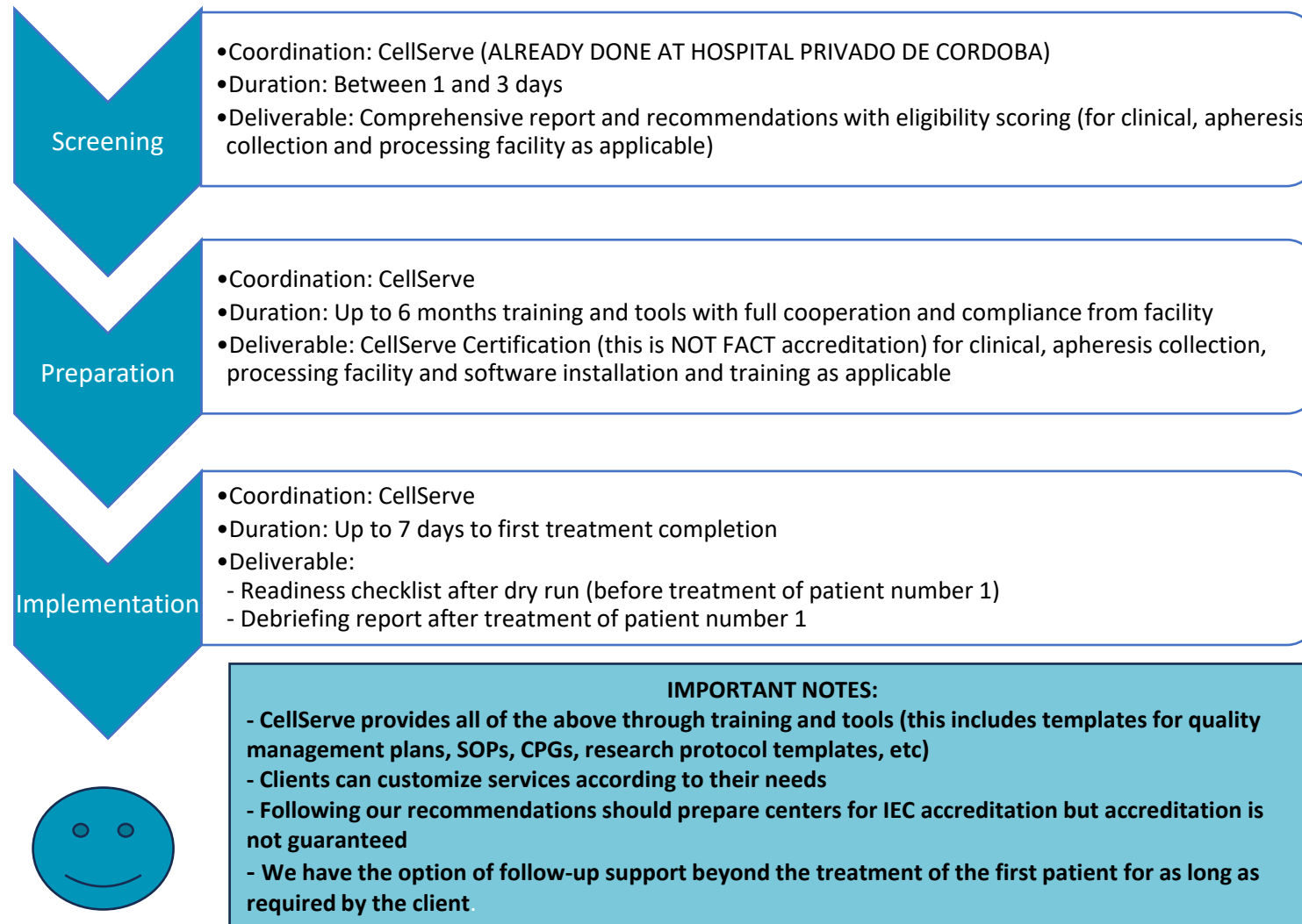
They explain and summarize the services provided by cellserve

- **Tools:**

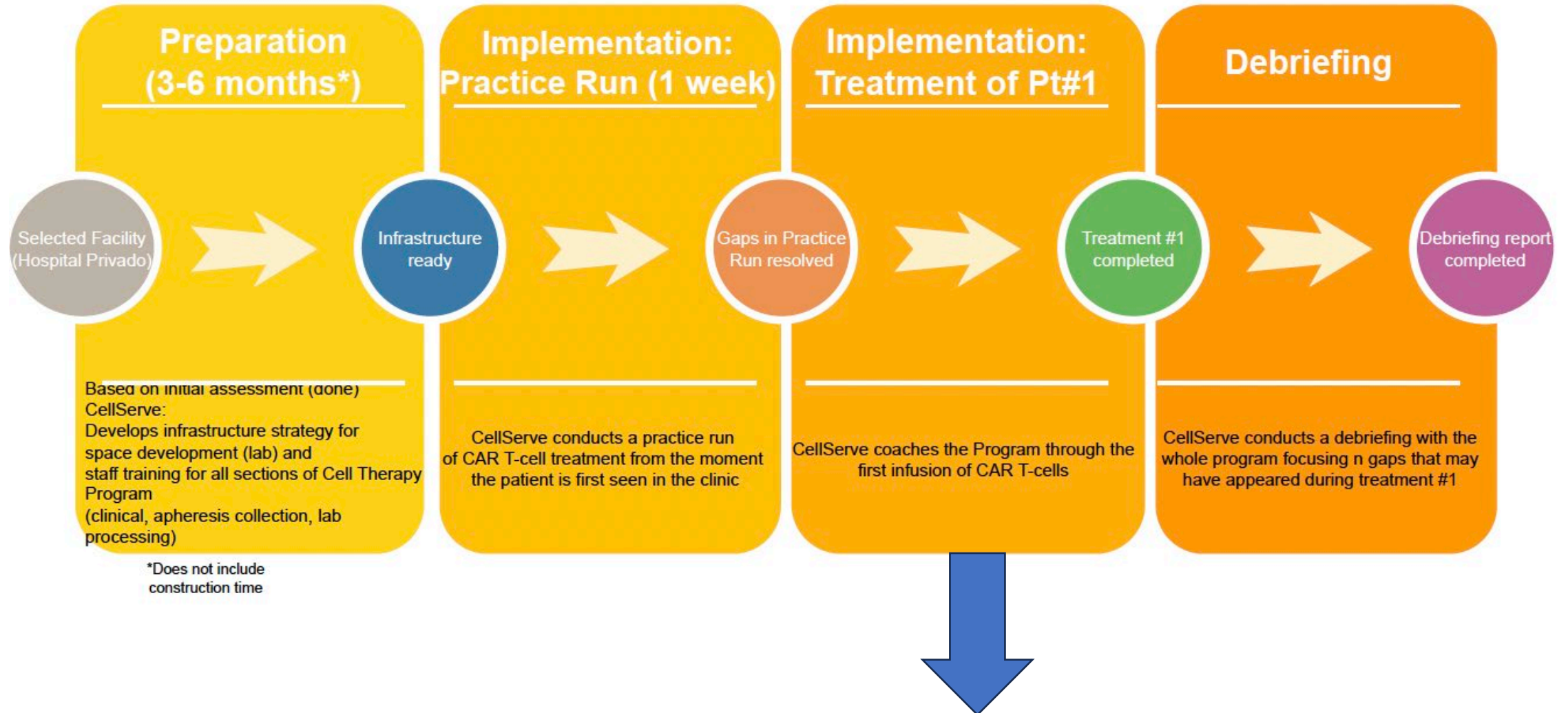
These are the tools that we offer to supplement our services, including:

- SOP templates
- Clinical Practice Guideline (CPG) templates
- Clinical Protocol templates
- Different reports that will serve as tools to work on areas that require improvement
- Flowcharts and Gantt charts to facilitate project management and timelines

Workflow 1: Selecting and Preparing the Center for Cellular Therapy



WORKFLOW 1-DIAGRAM 1: DETAILS ON IMPLEMENTATION



SEE WORKFLOW 2 (NEXT SLIDE) FOR DETAILS ON TREATMENT

Workflow 2: Patient Care



TREATING THE PATIENT: CELLSERVE

Initial Visit

Apheresis Collection

Lymphodepletion

CART-cell Infusion

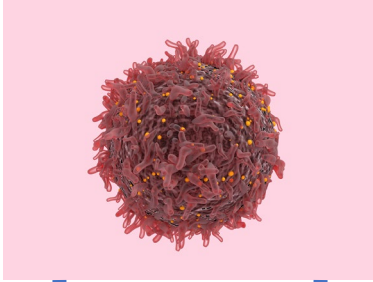
Inpatient (duration to be determined depending on)

Follow up (after day 30 post treatment q 2 to 4 weeks until day 60)

MANUFACTURING THE PRODUCT: KURE.AI



FROM MONONUCLEAR CELLS TO CAR T-CELLS



THIS IS DONE AT HOSPITAL PRIVADO AFTER TRAINING AND UNDER SUPERVISION OF CELLSERVE

MONONUCLEAR CELLS GO TO MANUFACTURING CENTER

CAR T-CELLS GO BACK TO THE PATIENT

Proprietary and Confidential Not for Distribution

IMPORTANT NOTES: Product can be manufactured:

- In the treating facility if conditions are adequate
- In a newly built facility
- In an existing facility modified as needed
- Shipped from another manufacturing facility

THIS WILL HAVE A GREAT IMPACT ON BUDGET.
We can design the best model for you.

Workflow 3: Clinical Trial

CELLSERVE

PROTOCOL DEVELOPMENT

- Inclusions: Design, IND application or similar, regulatory approvals, budget, software installation and training of the facility team as needed.
- Duration: Varies depending on protocol.
- Tools: Clinical trial template and other training tools. CellServe will provide consultation services for regulatory documents such as IND but will not perform the submissions.
- Deliverable: IRB-approved clinical trial, software for data management and CRF (case report form) generation installed and ready.

CELLSERVE

CONDUCTING THE CLINICAL TRIAL

- Inclusions: Initiation, follow-up and closing visits as arranged, audits, data management.
- Duration: Varies, approximately 2 yrs for a 20-25 patient study and actively accruing program.
- Tools: Visit reports and audits.
- Deliverable: Fully executed trial, data management and collection customized to client needs.

CELLSERVE

PUBLICATION AND FURTHER SUPPORT

- Inclusions: Publication support, regulatory aspects of cell therapy, and consultation path to registration and commercialization.
- Duration: 1-2 months after completion and analysis of the clinical trial.
- Tools: None for this phase
- Deliverable: Publication.



IMPORTANT NOTES:

CellServe provides all of the above listed services, and this includes strategic planning and project management

QUESTIONS/DISCUSSION