

Следующий рубеж: Экспериментальная генотерапия для гемофилии А



Д-р Гордон Вехар (Gordon Vehar), д-р Вин Йень Вон (Wing Yen Wong)
и д-р Барри Картер (Barrie Carter)

В 1984 году д-р Барри Картер (Barrie Carter), вице-президент отдела биологии переносчиков в компании BioMarin, впервые описал применение аденоассоциированного вируса в качестве носителя в генотерапии (*Mol Cell Biol* 1984).²

В том же году д-р Гордон Вехар (Gordon Vehar), вице-президент отдела научных исследований в компании BioMarin, возглавил научную группу, которая впервые клонировала фактор VIII, белок свертывания крови, который имеет дефекты или отсутствует у пациентов с гемофилией А (*Nature* 1984).³

Д-р Вин Йень Вон (Wing Yen Wong), вице-президент отдела клинической науки в компании BioMarin, посвятил десятилетия работы как в качестве лечащего врача, так и при разработке инновационных терапий, с целью применения науки для клинических целей пациентов с гемофилией А.



Научные и клинические лидеры компании BioMarin сделали значительный вклад в сфере лечения гемофилии А.

Программа компании BioMarin по лечению гемофилии А была представлена в 2017 г. на заседании Американского общества гематологов и в журнале *The New England Journal of Medicine*.¹ Проводятся 2 исследования фазы 3 экспериментального геннотерапевтического препарата валоктокоджен роксапарвовек компании BioMarin с участием мужчин с гемофилией А тяжелой степени тяжести: GENE8-1 и GENE8-2.



Предприятие по производству геннотерапевтических препаратов компании BioMarin в Новато, штат Калифорния, США

История производства Комплексные лекарственные препараты

Компания BioMarin построила одно из наиболее крупных предприятий по производству геннотерапевтических препаратов в мире. Мы продолжаем неуклонно следовать нашей цели по удовлетворению потенциального спроса на нашу продукцию, производимую на ультрасовременных производственных предприятиях.

Ссылки:

1. Rangarajan S, et al. *N Engl J Med*. 2017;337:2519-2530.
2. Tratschin JD, et al. *Mol Cell Biol*. 1984;4(10):2072-81.
3. Vehar GA, et al. *Nature*. 1984; 312(5992):337-42.

Дополнительную информацию о программе по гемофилии компании BioMarin вы можете узнать, посетив веб-сайт www.clinicaltrials.gov или связавшись со специалистом по медицинской информации компании BioMarin по электронной почте medinfoeu@bmrn.com