

Sonraki Sınır: Hemofili A için Araştırma Amaçlı Gen Tedavisi



BioMarin Vektör Biyolojisi Başkan Yardımcısı Dr. Barrie Carter, 1984 yılında, ilk olarak adeno ile ilişkili bir virüs kullanarak gen tedavisi iletim aracını tanımlamıştır (*Mol Cell Biol* 1984).²

Aynı yıl içinde, BioMarin Araştırma Başkan Yardımcısı Dr. Gordon Vehar, bilimsel ekibi, ilk olarak hemofili A hastalarında kusurlu veya eksik olan kan pıhtılaşma proteini faktör VIII'i klonlamıştır (*Nature* 1984).³

BioMarin Klinik Bilim Başkan Yardımcısı Dr. Wing Yen Wong, hemofili A hastaları için hem tedavi sunan hem de yeni tedaviler geliştiren bir hekim olarak, bilimin kliniklere sunulduğu onlarca yıllık tecrübeyi sunmaktadır.



BioMarin'in bilimsel ve klinik liderleri hemofili A alanında önemli katkılarda bulunmuştur.

Hemofili A ile ilgili BioMarin programı 2017'de Amerikan Hematoloji Toplantısı ve *The New England Journal of Medicine* dergisinde bahse konu edilmiştir.¹ BioMarin'in araştırma amaçlı gen tedavisi, valoctocogene roxaparvovec'in iki Faz 3 çalışması, şiddetli hemofili A hastası erkeklerde devam etmektedir. GENr8-1 ve GENr8-2.



Üretim Kompleksi Tıbbi Ürünlerinin Geçmiş Performansı

BioMarin, dünyanın en büyük gen tedavisi üretim tesislerinden birini inşa etmiştir. Son teknolojiye sahip üretim tesisleri ile ürünlerimiz için olası talepleri karşılamakta kararlıyız.

Referanslar:

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.

BioMarin'in hemofili programı hakkında daha fazla bilgi edinmek için, lütfen www.clinicaltrials.gov adresini ziyaret edin veya medinfoeu@bmrn.com adresinden BioMarin Tıbbi Bilgiler ile irtibat kurun