

La prochaine frontière: Le développement de la thérapie génique pour l'hémophilie A



Dr Gordon Vehar, Dr Wing Yen Wong et Dr Barrie Carter

En 1984, Dr Barrie Carter, vice-président du département de biologie vectorielle chez BioMarin, a été le premier à décrire l'utilisation d'un virus adéno-associé comme véhicule d'administration de la thérapie génique (*Mol Cell Biol* 1984).²

La même année, Dr Gordon Vehar, vice-président de la recherche chez BioMarin, dirigeait l'équipe scientifique qui a cloné pour la première fois le facteur VIII, la protéine de la coagulation du sang défectueuse ou manquante chez les personnes atteintes d'hémophilie A (*Nature* 1984).³

Dr Wing Yen Wong, vice-président du département de science clinique chez BioMarin, apporte des décennies d'expérience dans la traduction de la science en traitement clinique pour les patients atteints d'hémophilie A, à la fois en tant que médecin traitant et en développant de nouvelles thérapies.



La contribution scientifique et clinique de BioMarin est significative dans le domaine du traitement de l'hémophilie A

Le programme de BioMarin dans le domaine de l'hémophilie A a été présenté en 2017 lors de la réunion de la Société américaine d'hématologie et dans la revue scientifique *The New England Journal of Medicine*.¹ Deux essais de phase 3 portant sur la thérapie génique expérimentale de BioMarin, le valoctocogène roxaparvovec, sont en cours chez des hommes atteints d'hémophilie A sévère : GENER8-1 et GENER8-2.



Usine de thérapie génique de BioMarin à Novato, en Californie, États-Unis

Une expertise prouvée dans la production de médicaments hautement technologiques

BioMarin a construit une des plus grandes usines de fabrication de thérapie génique au monde. Nos objectifs visant à satisfaire aux demandes potentielles de nos produits sont inébranlables grâce à nos usines de production à la pointe de la technologie.

Références :

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.

Pour en savoir plus sur le programme d'hémophilie de BioMarin, veuillez consulter le site www.clinicaltrials.gov ou contacter BioMarin Medical Information à l'adresse medinfoeu@bmrn.com