

## La próxima meta: Terapia génica experimental para la hemofilia A



Dr. Gordon Vehar, Wing Yen Wong y Barrie Carter

En 1984, el Dr. Barrie Carter, vicepresidente del departamento de biología de los vectores (Vector Biology) de BioMarin, describió por primera vez el uso de un virus adeno-asociado a modo de vehículo de transporte en la terapia génica (*Mol Cell Biol* 1984).<sup>2</sup>

Ese mismo año, el Dr. Gordon Vehar, vicepresidente del departamento de investigación de BioMarin, dirigió el equipo científico que llevó a cabo la clonación del factor VIII por primera vez, la proteína para la coagulación sanguínea que falta o no funciona como debería en las personas con hemofilia A (*Nature* 1984).<sup>3</sup>

El Dr. Wing Yen Wong, vicepresidente del departamento de ciencia clínica de BioMarin, aporta décadas de experiencia en la transformación de la ciencia en la práctica clínica para pacientes con hemofilia A, tanto en calidad de médico tratante como en el desarrollo de tratamientos nuevos.



Si desea obtener más información sobre el programa para la hemofilia de BioMarin, visite la página web [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) o póngase en contacto con el departamento de información médica de BioMarin a través del correo electrónico [medinfoeu@bmrn.com](mailto:medinfoeu@bmrn.com)

### Los expertos científicos y clínicos de BioMarin han contribuido de forma significativa en el ámbito de la hemofilia A.

El programa de BioMarin para la hemofilia A se presentó en 2017 en la reunión de la Sociedad Americana de Hematología (American Society of Hematology) y en la revista médica *The New England Journal of Medicine*.<sup>1</sup> En la actualidad se encuentran en curso dos ensayos clínicos fase III sobre la terapia génica experimental de BioMarin, valoctocogene roxaparvovec, en varones con hemofilia A grave: GENER8-1 y GENER8-2.



Instalaciones para la producción de terapias génicas de BioMarin en Novato, California, EE. UU.

### Experiencia en la fabricación de medicamentos complejos

BioMarin ha construido una de las instalaciones más grandes del mundo destinada a la producción de terapias génicas. Continuamos con nuestro compromiso firme por satisfacer las posibles demandas de nuestros productos a través de nuestras instalaciones de tecnología punta.

#### Referencias:

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.