

今後の研究開発分野： 血友病Aの遺伝子 治療薬研究



Drs. Gordon Vehar, Wing Yen Wong, Barrie Carter

BioMarinの臨床科学部門のリーダー達には血友病Aの分野における顕著な実績があります。

BioMarinの血友病Aに関するプログラムは2017年の米国血液学会総会、および *The New England Journal of Medicine*¹ で取り上げられました。BioMarinの遺伝子治療薬valoctocogene roxaparvovecについての2件の第3相試験（GENEr8-1およびGENEr8-2）が重度血友病Aの男性患者を対象に実施されています。

1984年、BioMarinのベクター・バイオロジー部門副社長であるDr. Barrie Carterは、遺伝子治療薬の送達にアデノ随伴ウイルスを用いる方法を初めて示しました (*Mol Cell Biol* 1984)。²

同年、BioMarinの研究部門副社長であるDr. Gordon Veharが率いる科学チームが、第VIII因子（血友病Aの患者で欠如または消失している血液凝固タンパク質）のクローン化に初めて成功しました (*Nature* 1984)。³

BioMarinの臨床科学部門副社長であるDr. Wing Yen Wongは、医師として、また新薬の開発に携わる者として、数十年の歳月を費やし、こうした科学技術を診療所での血友病Aの患者の治療用に活用させています。



BioMarinの遺伝子治療薬研究施設（米国、カリフォルニア州ノバト）

複雑な医薬品製造の実績

BioMarinは世界最大級の遺伝子治療薬製造施設を建設しました。弊社では、最先端の製造施設・設備を通して弊社製品に対する潜在的ニーズを満たすことを、常に目標として掲げています。



参考文献：

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の血友病研究プログラムの詳細については、以下のウェブサイトをご覧ください：www.clinicaltrials.gov またはBioMarin Medical Information (medinfoasia@bmrn.com) までご連絡ください。