

# МИОДИСТРОФИЯ ДЮШЕННА. УРОКИ.

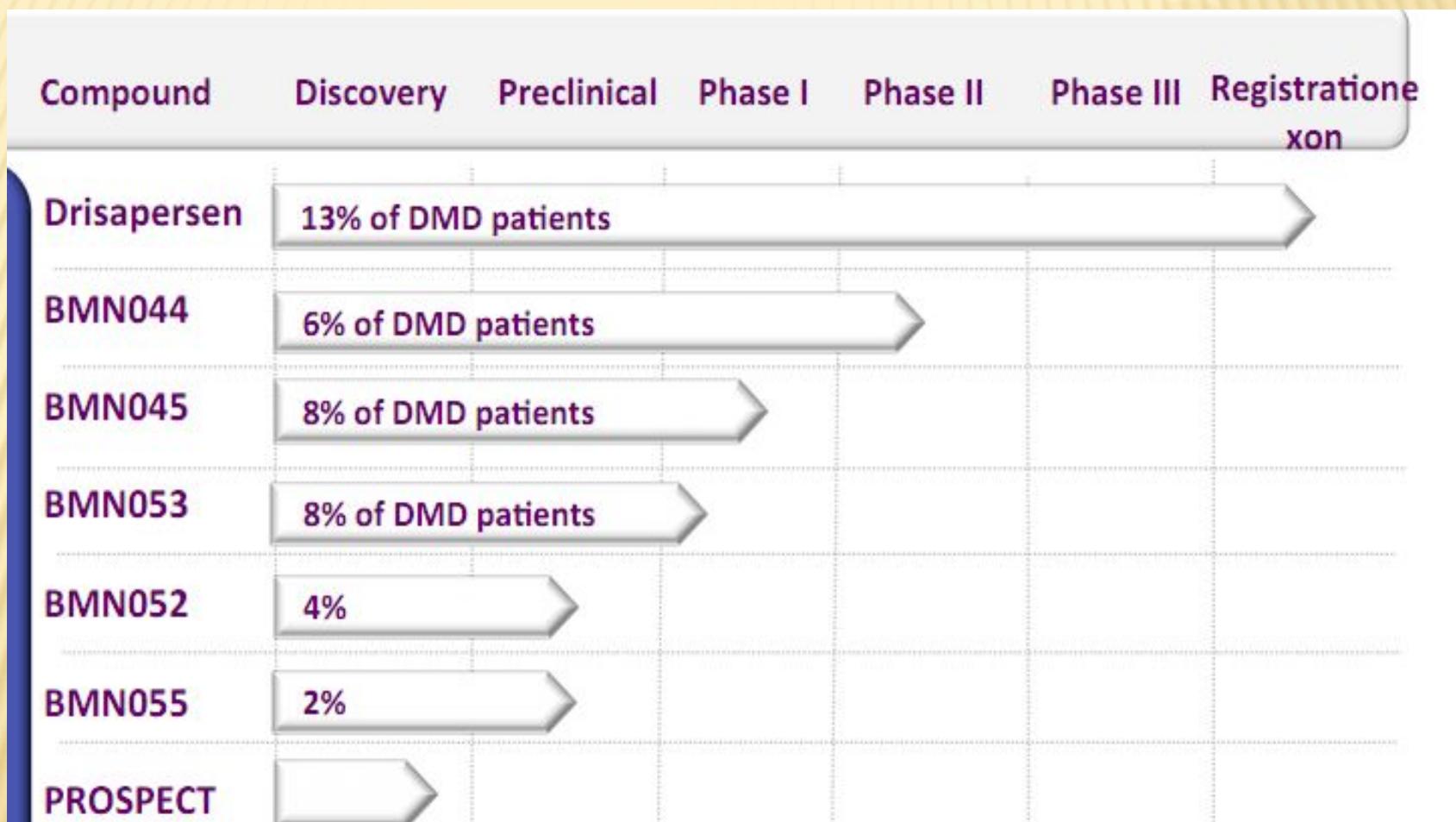
# ИНФОРМАЦИЯ О БЕЗОПАСНОСТИ

- Это не конфиденциальная презентация содержит отчетность о деловых перспективах BioMarin, в том числе потенциальные будущие продукты в различных областях исследований и разработки. Результаты могут отличаться в зависимости от развития программ продукции BioMarin, действий регулирующих органов, наличия капитала, фармацевтического рынка и развития конкурентов, и те, факторы подробно описаны в документах BioMarin по ценным бумагам и биржам.

# BIOMARIN?



# РАЗВИТИЕ ПРОПУСКА ЭКЗОНА. PROSENSA .



# УРОКИ РАЗВИТИЯ ЭКСПЕРИМЕНТАЛЬНОГО ПРОПУСКА ЭКЗОНА



# УРОК 1

- Двойное слепое плацебо контролируемое исследование возможно и информативно



# ПРИЕМУЩЕСТВА

- Золотой стандарт доказательства эффекта лечения
- Синхронизация популяции с двойным слепым дизайном при ограничении смещения
- Рандомизация естественно уравновешивает особенности и известные, и неизвестные.

# ПРОБЛЕМЫ: НЕИЗВЕСТНЫЕ НЕИЗВЕСТНЫЕ

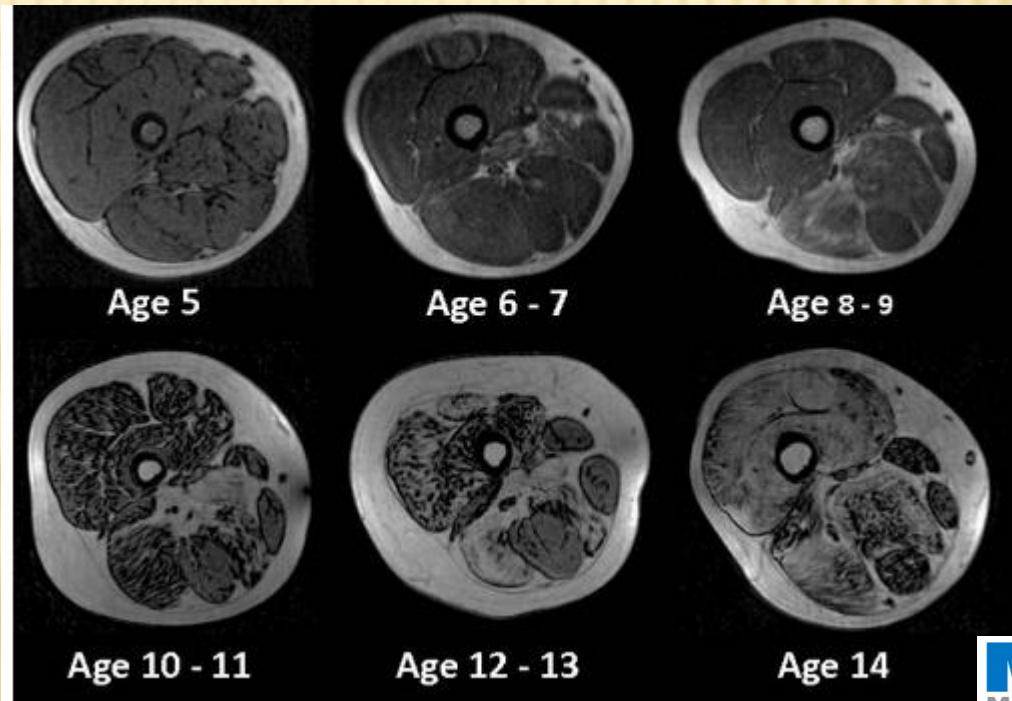


## УРОК 2. ПОНИМАНИЕ ЕСТЕСТВЕННОГО ТЕЧЕНИЯ- КЛЮЧ.

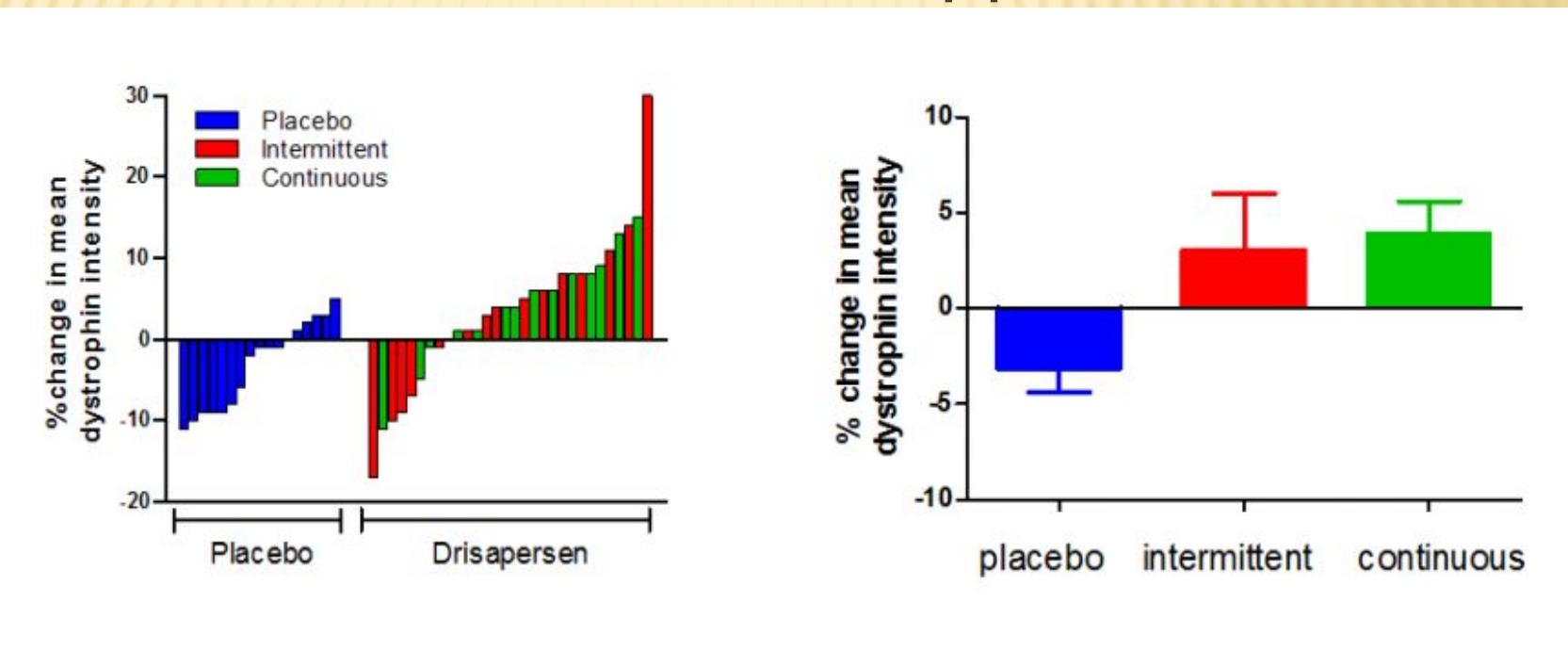
- Помогает понять лечебное воздействие на клинический исход.
- Помогает определить и интерпретировать потенциальные биомаркеры



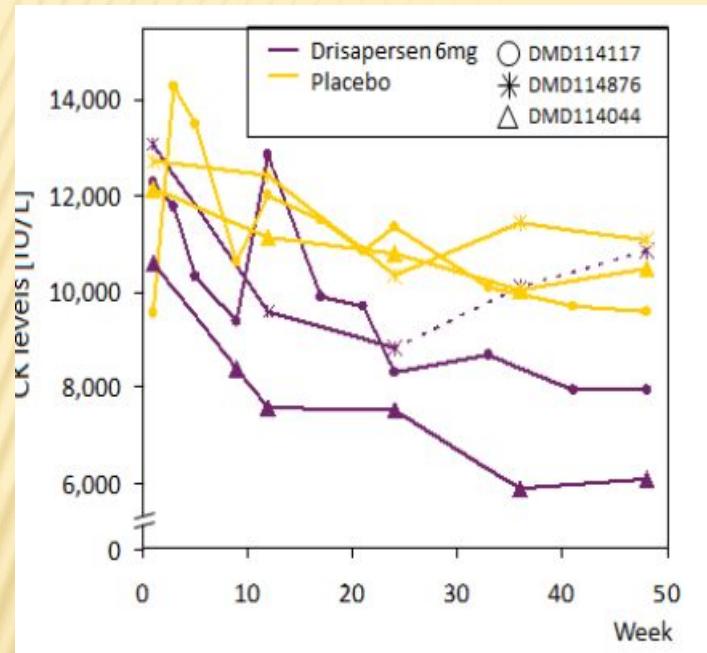
# Т1 МРТ БЕДРА У МАЛЬЧИКОВ С МДД СВИДЕТЕЛЬСТВУЕТ О РАСТУЩЕЙ ЗАМЕНЕ МЫШЦ ЖИРОМ И ФИБРОЗНОЙ ТКАНЬЮ С ВОЗРАСТОМ



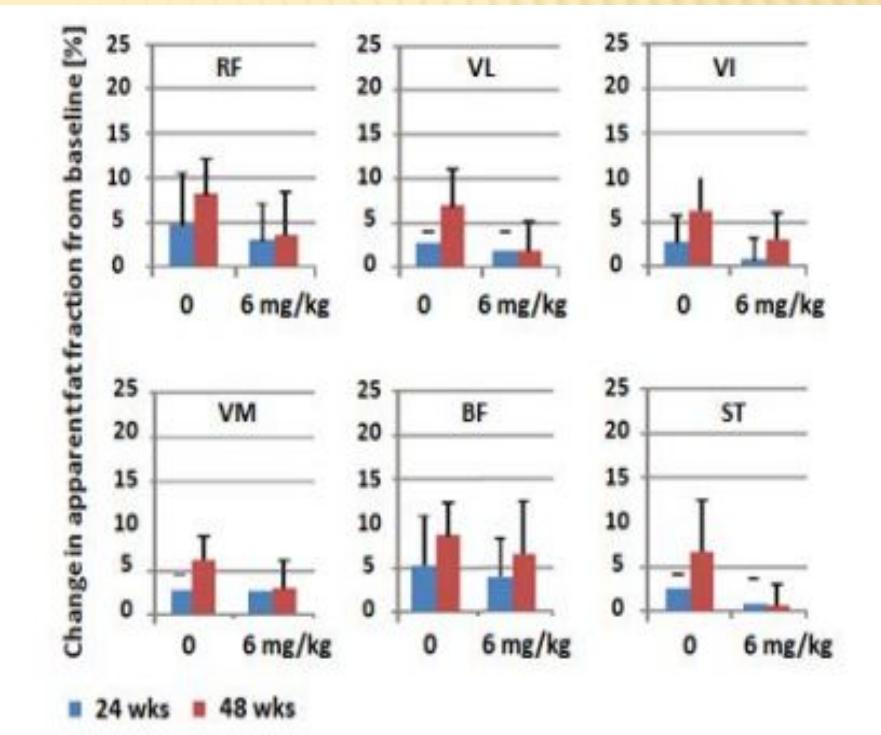
# ЛУЧШИЙ РЕЗУЛЬТАТ БЫЛ У ПОПУЛЯЦИИ С С ОХРАНЕНОЙ СПОСОБНОСТЬЮ ХОДИТЬ С ОПТИМАЛЬНОЙ БИОПСИЕЙ И НАГРУЗОЧНОЙ ДОЗОЙ



## УМЕНЬШЕНИЕ КФК

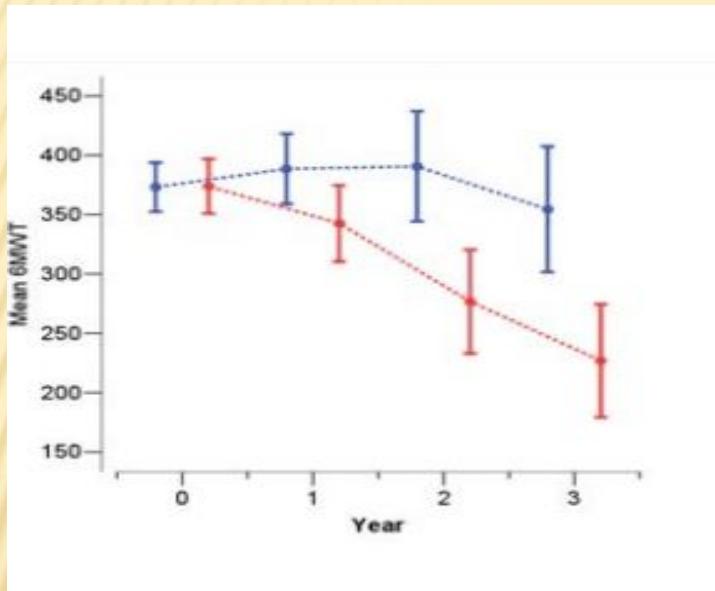


## МРТ. ФРАКЦИЯ ЖИРОВОЙ ТКАНИ

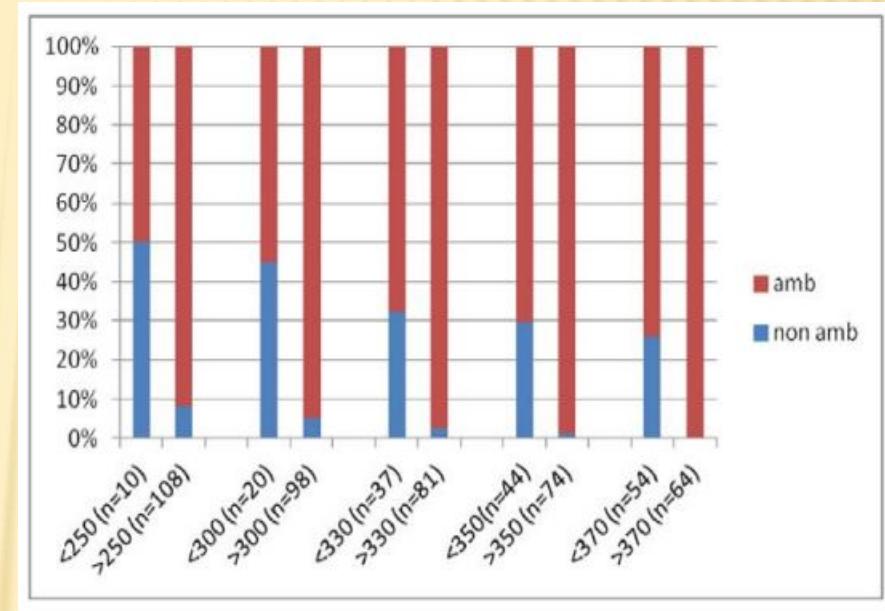


ДОПОЛНИТЕЛЬНЫЕ ДОКАЗАТЕЛЬСТВА  
БИОЛОГИЧЕСКОЙ АКТИВНОСТИ

## ИЗМЕНЕНИЯ ЗА 36 МЕСЯЦЕВ



## РИСК ПОТЕРИ СПОСОБНОСТИ ХОДИТЬ



ШЕСТИМИНУТНЫЙ ТЕСТ ПОД ВЛИЯНИЕМ ВОЗРАСТА И ФУНКЦИИ

# ИССЛЕДОВАНИЕ ЕСТЕСТВЕННОГО ТЕЧЕНИЯ ЗАБОЛЕВАНИЯ

- Первый пациент - июль 2012
- Последний пациент - июль 2017
- 10 стран; 16 центров
- 269 мальчиков



# ОБНОВЛЕНИЕ ТЕКУЩИХ КЛИНИЧЕСКИХ ИСПЫТАНИЙ

---

- Drisapersen
- BMN044
- BMN053
- BMN045

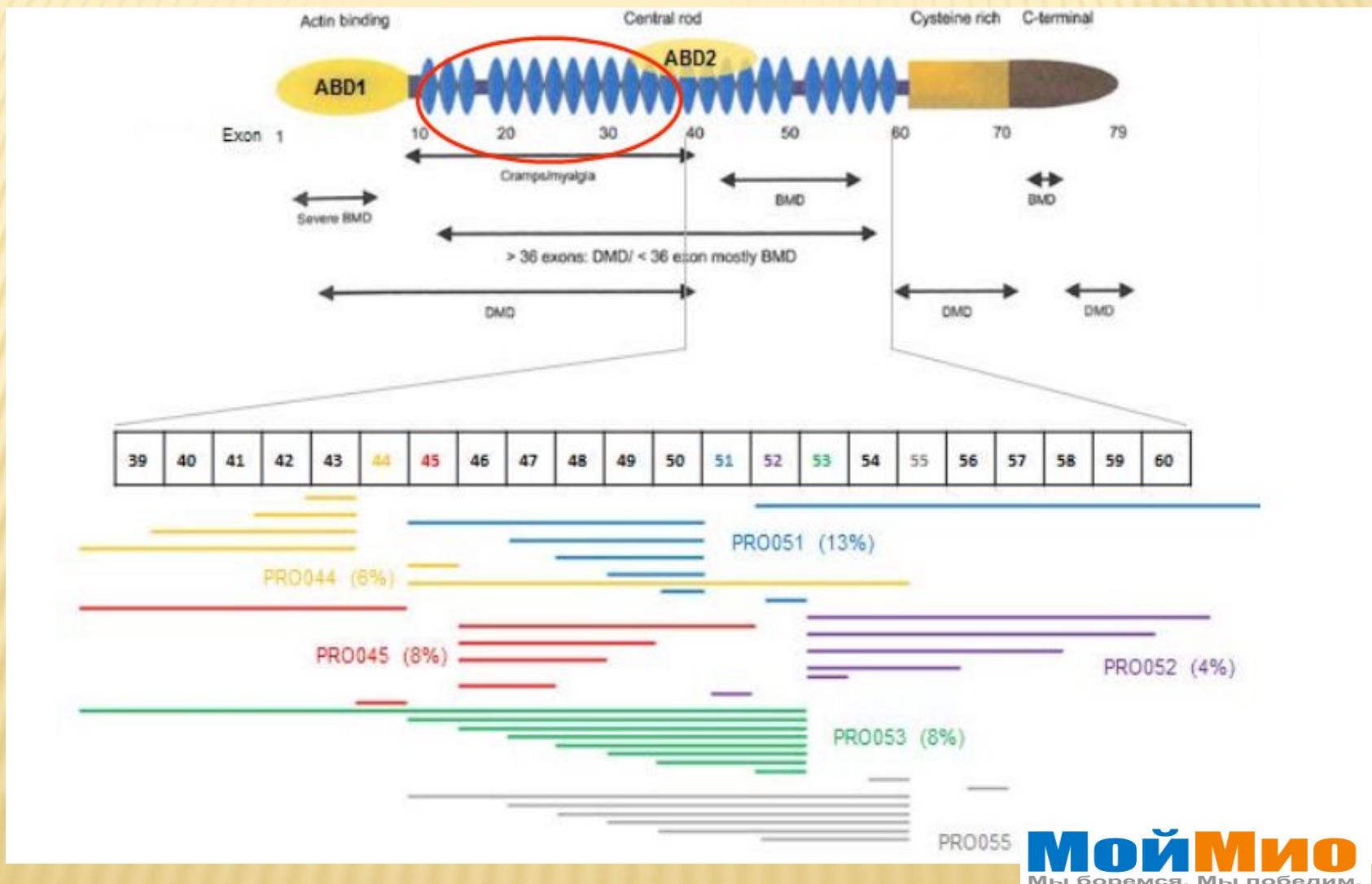
# ДОПОЛНИТЕЛЬНОЕ ИССЛЕДОВАНИЕ ДЛЯ DRISAPERSEN НАЧНЕТСЯ В 4 КВАРТАЛЕ 2015/1 КВАРТАЛ 2016

- Исследования планируется начать у неходячих пациентов
- В возрасте до 5 лет
- Внутривенный путь введения

# СОСТОЯНИЕ РЕГИСТРАЦИИ ДЛЯ DRISAPERSEN

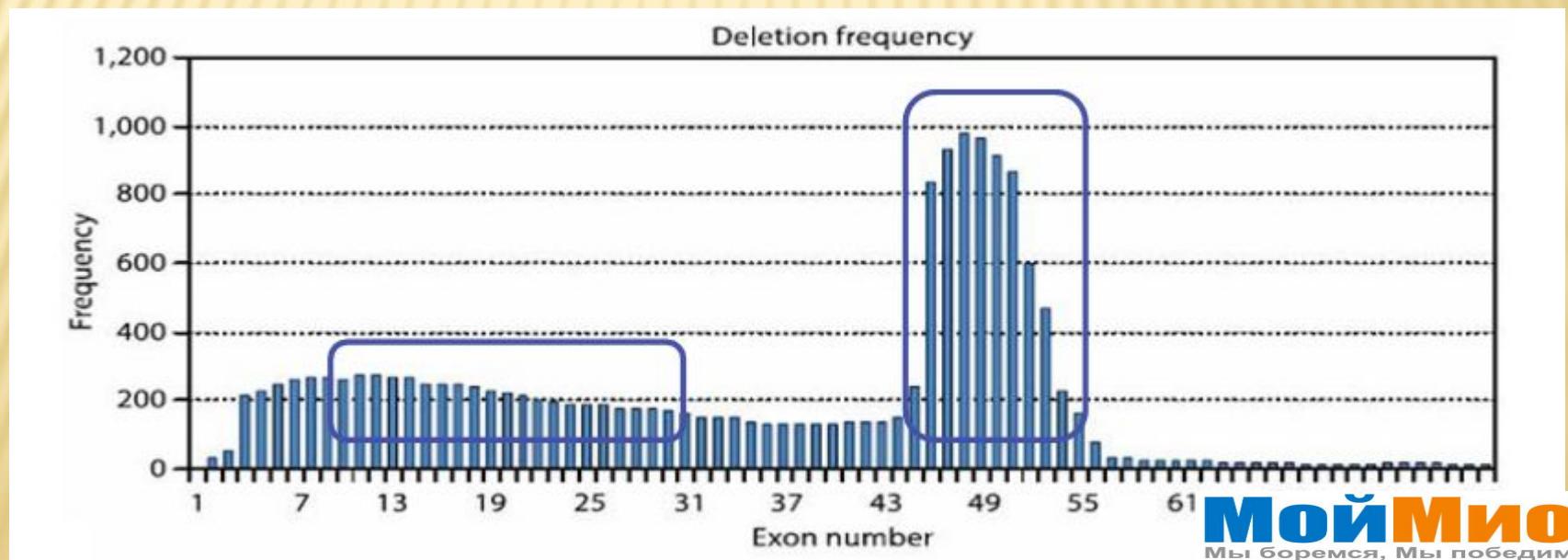
- Соединенные Штаты, Прошение о регистрации нового препарата (NDA)
- Представление в начале октября 2014
- Представление NDA завершено в апреле 2015 года
- Прием NDA в конце июня 2015 года
- Раннее решение об утверждении потенциально к концу года.
- Европа: Заявка на утверждение на рынке(МАА)
- МАА представлен в июне 2015 года

# НАШИ ТЕКУЩИЕ ЦЕЛИ У ПОПУЛЯЦИИ ПАЦИЕНТОВ И МУТАЦИЙ



# МНОЖЕСТВЕННЫЙ ПРОПУСК ЭКЗОНОВ

- Цель- редкие мутации, первоначально в регионе от 10 до 40 экзонов
- Доказательство правильности концепции получены в нескольких культурах мышечных клеток пациента
- Первоначально применим у 5% - 20% пациентов с МДД



# ВЫВОДЫ

---

- Значительный прогресс произошел за последние 5 лет.
- Drisapersen представлен на регулятивную проверку в США и Европе.
- Испытания продолжаются.
- Новые исследования у потерявших способность ходить, до 5 и при внутривенном введении.
- Клинические исследования продолжается для BMN 44,45 и 53
- Подход множественного пропуска для редких мутаций

---

ПЕРЕВЕДЕНО ПРОЕКТОМ МОЙМИО:  
[HTTP://MYMIO.ORG](http://mymio.org)

ОРИГИНАЛ:

[HTTP://WWW.PARENTPROJECTMD.O  
RG/SITE/PAGESERVER?PAGENAME=  
CONNECT\\_CONFERENCE\\_PRESENTA  
TIONS\\_15](http://www.parentprojectmd.org/site/pageserver?pagename=connect_conference_presentations_15)