МИОДИСТРОФИЯ ДЮШЕННА. УРОКИ.

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ИНФОРМАЦИЯ О БЕЗОПАСНОСТИ

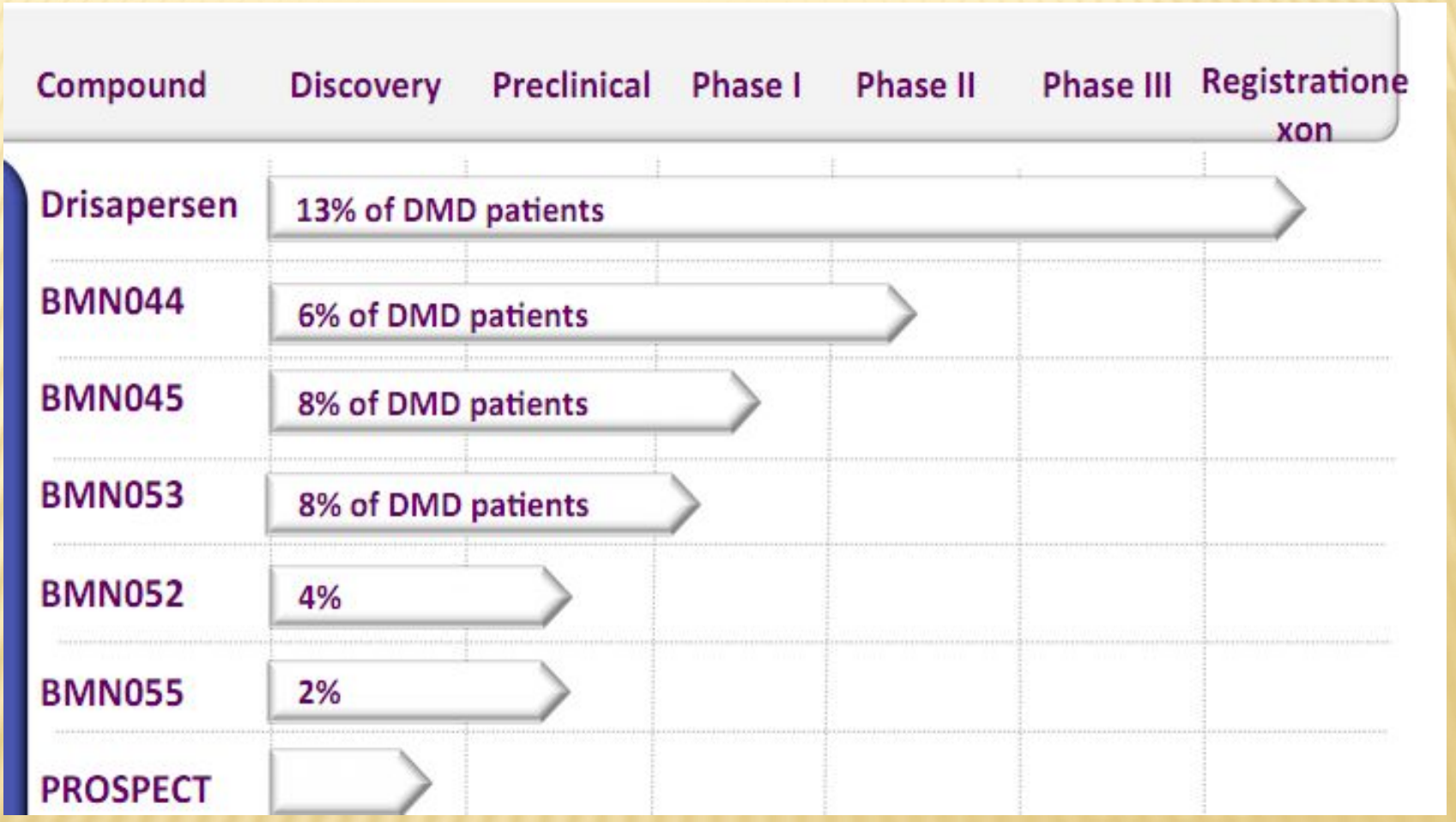
- Это не конфиденциальная презентация содержит отчетность о деловых перспективах BioMarin, в том числе потенциальные будущие продукты в различных областях исследований и разработки. Результаты могут отличаться в зависимости от развития программ продукции BioMarin, действий регулирующих органов, наличия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

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

BIOMARIN?

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

РАЗВИТИЕ ПРОПУСКА ЭКЗОНА. PROSENSA .



МойМио
Мы боремся, Мы победим.

УРОКИ РАЗВИТИЯ ЭКСПЕРЕМЕНТАЛЬНОГО ПРОПУСКА ЭКЗОНА

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

УРОК 1

- Двойное слепое плацебо контролируемое исследование возможно и информативно

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ПРИЕМУЩЕСТВА

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

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ПРОБЛЕМЫ: НЕИЗВЕСТНЫЕ НЕИЗВЕСТНЫЕ

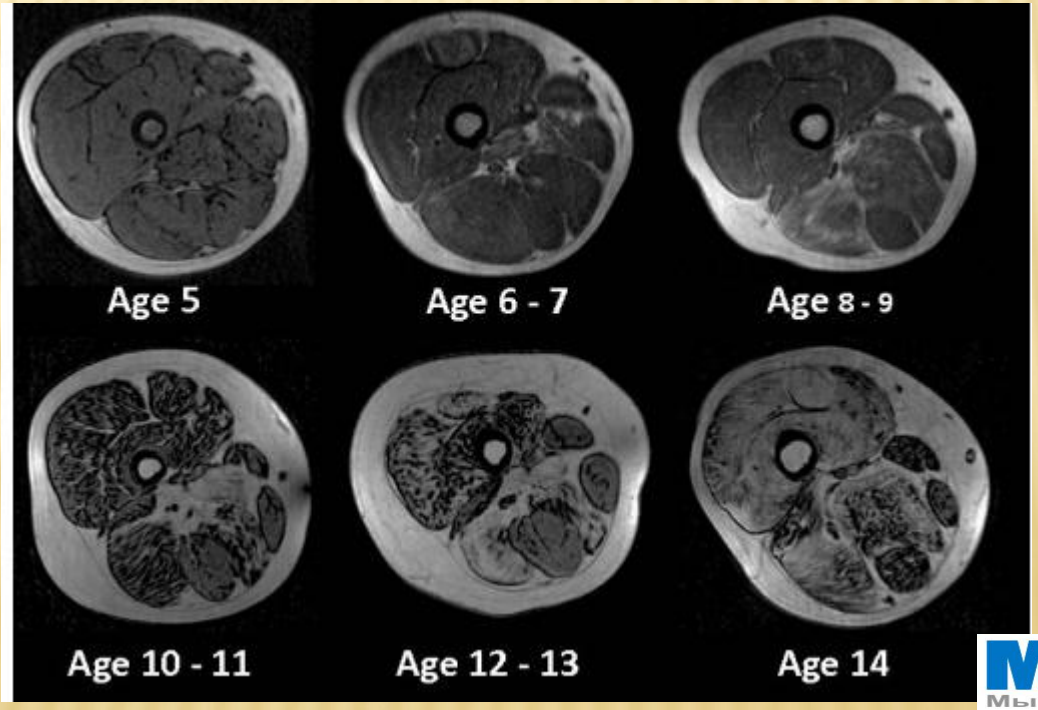
МойМио
Мы боремся, Мы победим.

УРОК 2. ПОНИМАНИЕ ЕСТЕСТВЕННОГО ТЕЧЕНИЯ- КЛЮЧ.

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

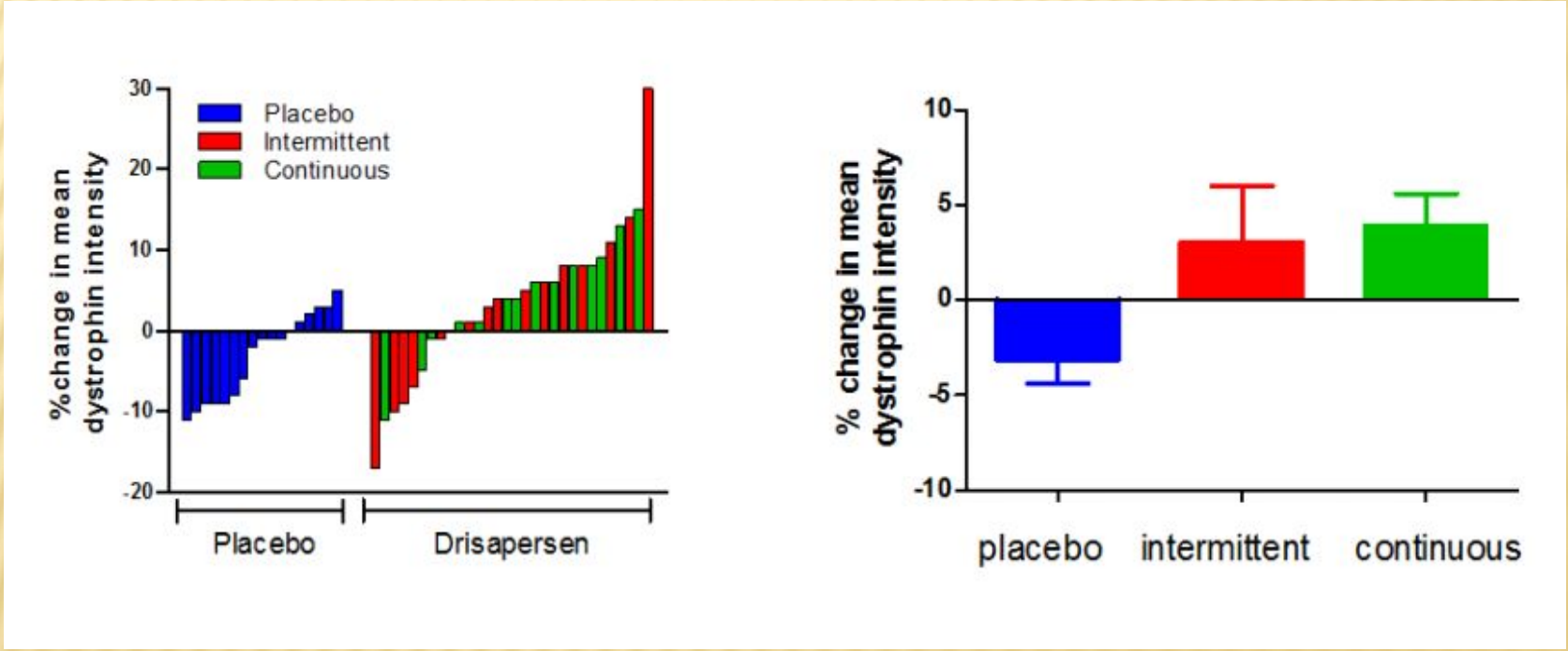
МойМио
Мы боремся, Мы победим.

T1 МРТ БЕДРА У МАЛЬЧИКОВ С МДД СВИДЕТЕЛЬСТВУЕТ О РАСТУЩЕЙ ЗАМЕНЕ МЫШЦ ЖИРОМ И ФИБРОЗНОЙ ТКАНЬЮ С ВОЗРАСТОМ



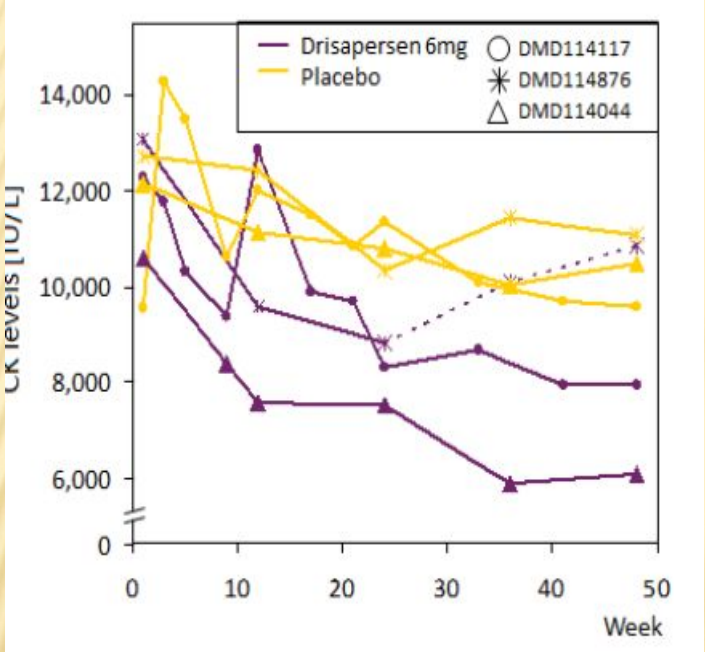
МойМио
Мы боремся, Мы победим.

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

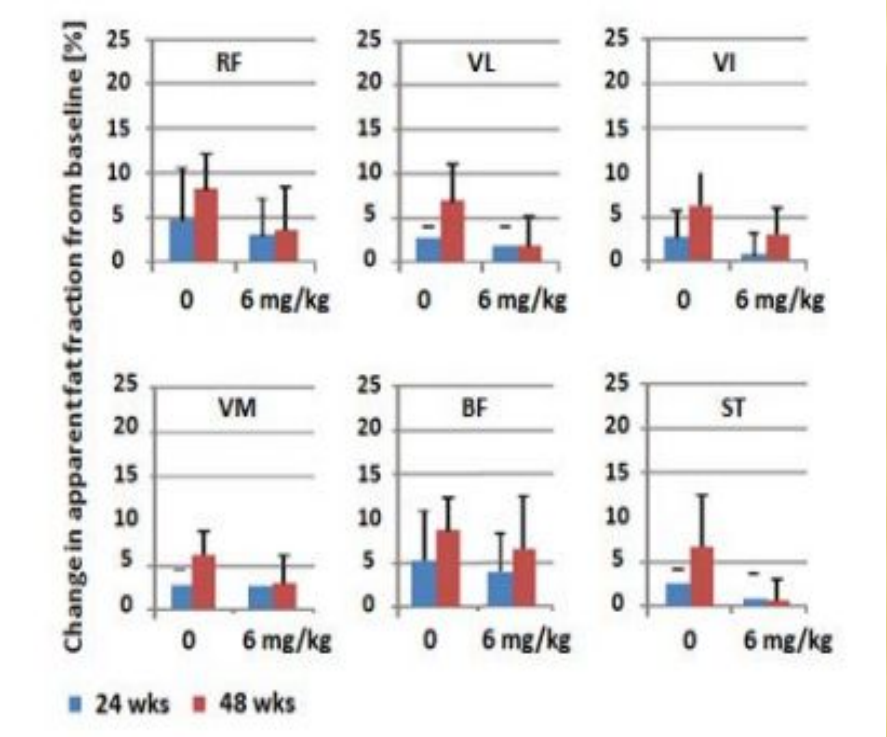


МойМио
Мы боремся, Мы победим.

УМЕНЬШЕНИЕ КФК



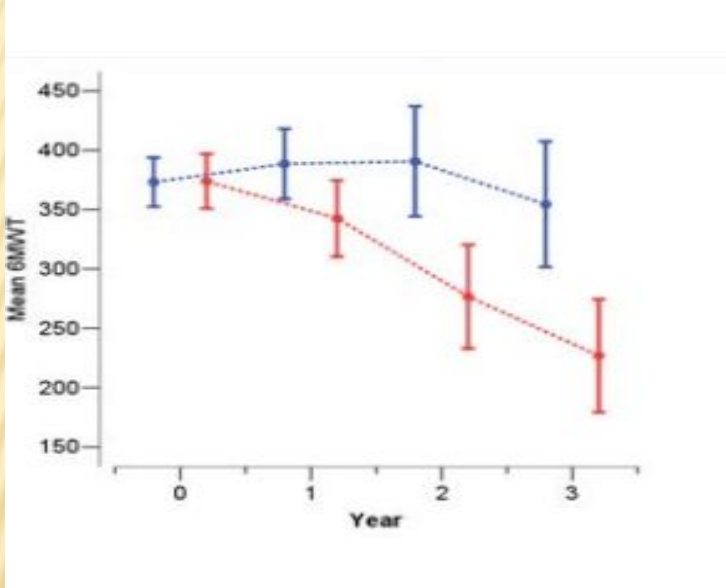
МРТ. ФРАКЦИЯ ЖИРОВОЙ ТКАНИ



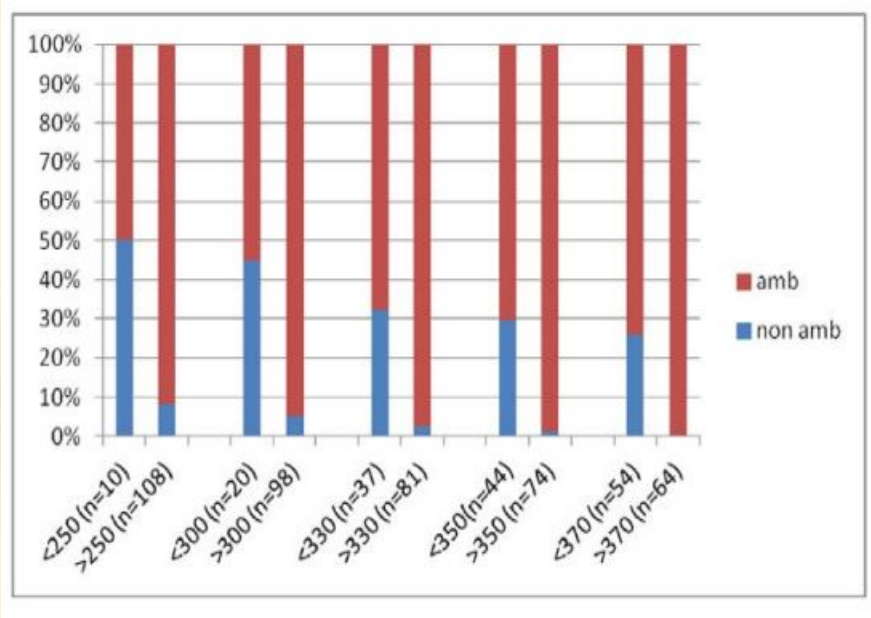
ДОПОЛНИТЕЛЬНЫЕ ДОКАЗАТЕЛЬСТВА БИОЛОГИЧЕСКОЙ АКТИВНОСТИ

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ИЗМЕНЕНИЯ ЗА 36 МЕСЯЦЕВ



РИСК ПОТЕРИ СПОСОБНОСТИ ХОДИТЬ



ШЕСТИМИНУТНЫЙ ТЕСТ ПОД ВЛИЯНИЕМ ВОЗРАСТА И ФУНКЦИИ

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ИССЛЕДОВАНИЕ ЕСТЕСТВЕННОГО ТЕЧЕНИЯ ЗАБОЛЕВАНИЯ

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

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ОБНОВЛЕНИЕ ТЕКУЩИХ КЛИНИЧЕСКИХ ИСПЫТАНИЙ

- Drisapersen
- BMN044
- BMN053
- BMN045

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ДОПОЛНИТЕЛЬНОЕ ИССЛЕДОВАНИЕ ДЛЯ DRISAPERSEN НАЧНЕТСЯ В 4 КВАРТАЛЕ 2 015/1 КВАРТАЛ 2016

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

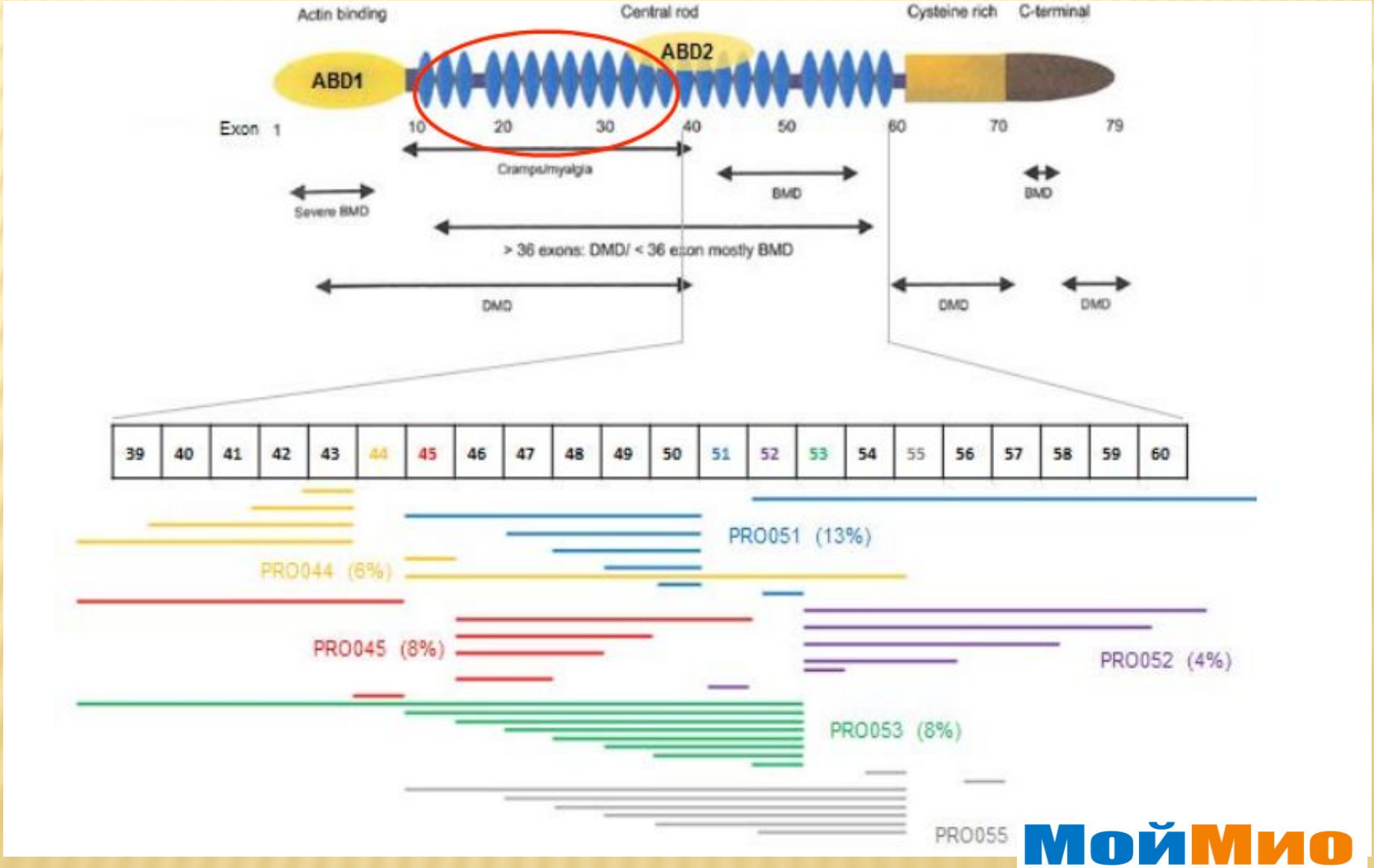
МойМио
Мы боремся, Мы победим.

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(MAA)
- MAA представлен в июне 2015 года

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

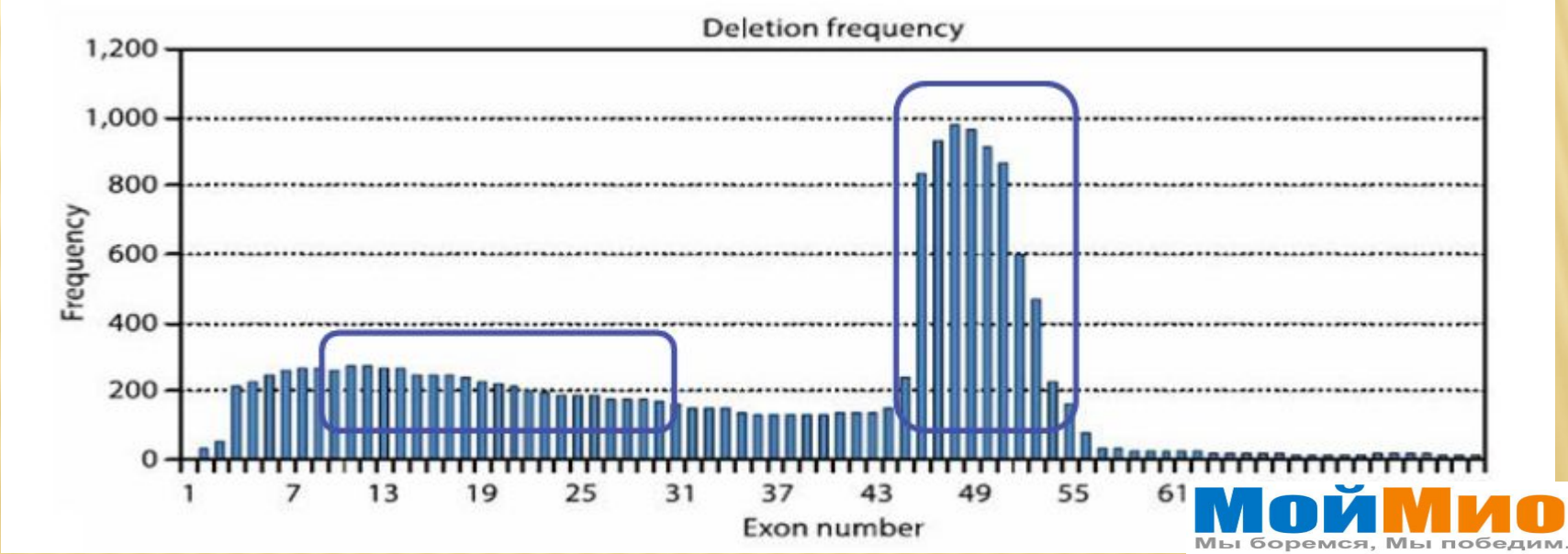
НАШИ ТЕКУЩИЕ ЦЕЛИ У ПОПУЛЯЦИИ ПАЦИЕНТОВ И МУТАЦИЙ



МойМио
Мы боремся, Мы победим.

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



МойМио
Мы боремся, Мы победим.

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

МойМио
Мы боремся, Мы победим.

ПЕРЕВЕДЕНО ПРОЕКТОМ МОЙМИО: HTTP://MYMIO.ORG
ОРИГИНАЛ: HTTP://WWW.PARENTPROJECTMD.ORG/SITE/PAGESERVER?PAGENAME=CONNECT_CONFERENCE_PRESENTATIONS_15