

ПЕРСОНАЛИЗАЦИЯ  
ДЮШЕННА:  
ПРОПУСК ЭКЗОНА  
ДЛЯ ВСЕХ  
ПАЦИЕНТОВ, У  
КОГО ЭТО  
ПРИНЕСЕТ ПОЛЬЗУ

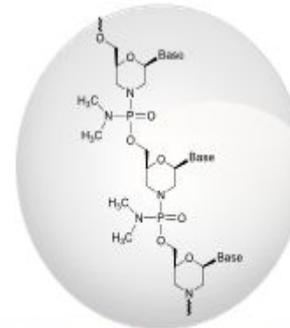
19 июня 2015

# SARERTA: КТО МЫ/ЧТО ДЕЛАЕТ НАС НЕПОХОЖИМИ НА ОСТАЛЬНЫХ



# СОЕДИНЕНИЯ ФМО

- УНИВЕРСАЛЬНОСТЬ Молекулы ФМ хорошо адаптируются и, с небольшими изменениями, потенциально могут быть использованы для решения задач в конкретных тканях, генетической последовательности, или патогенах.
- ОСОБЕННОСТИ ФМ имеют нейтральный заряд, который может ограничить взаимодействие с белками в организме, кроме РНК-мишени. \*
- СТАБИЛЬНОСТЬ ФМ обладают высокой устойчивостью к деградации ферментами, потенциально уменьшающими деятельность препаратов. \*



PHOSPHORODIAMIDATE MORPHOLINO OLIGOMER (PMO)

# ВЗГЛЯД КОМПАНИИ НА ПРОГРАММЫ РАЗВИТИЯ ПРЕПАРАТОВ ДЛЯ ЛЕЧЕНИЯ ДЮШЕННА

- Определить путь для всех мальчиков с МДД с делециями, поддающимися пропуску экзонов, чтобы получить доступ к лечению болезни.
- Проводить наиболее эффективный путь к нормативному утверждению терапии пропуска экзона.
- Включение всех пациентов для разработки лекарств.
- Продолжение исследований методов, анализов, конечных точек, и биомаркеров для того, чтобы меньше использовать инвазивную диагностику, лечение, и оценку.
- Разработка клинических моделей, которые позволяют решать исследовательские вопросы, чтобы получить ответы без ненужного бремени для пациентов.

# РАЗВИТИЕ ПРЕПАРАТОВ ДЛЯ МИОДИСТРОФИИ ДЮШЕННА

# ПРОБЛЕМЫ РАЗВИТИЯ ПРЕПАРАТОВ ДЛЯ МИОДИСТРОФИИ ДЮШЕННА

- Маленькая популяция
- Различные мутации в пределах болезни
- Гетерогенная популяция пациентов
- Суб-популяции поддаются лечению
- Пациенты в состоянии выполнить критерии оценки

# МЕХАНИЗМЫ ДЛЯ РЕШЕНИЯ ЭТИХ ПРОБЛЕМ. УВЕЛИЧЕНИЕ СКОРОСТИ И ЭФФЕКТИВНОСТИ

- Доклинические
  - Разработка и проверка биомаркеров
  - Связь фармакокинетики и токсикологии
- Клинические
  - Инновационные клинические испытания, проектирование и анализ.
  - Протоколы
  - Суррогатные конечные точки
  - Пациент сообщил результаты
  - Естественная история
  - Необработанные руки по сравнению с плацебо
- Регулирующий обзор и утверждение
  - Ускоренное одобрение
  - Приоритетный отзыв

# ПРОГРАММА ПРОПУСКА ЭКЗОНА

# НАДЕЖДЫ НА ПРОГРАММУ ПРОПУСКА ЭКЗОНА

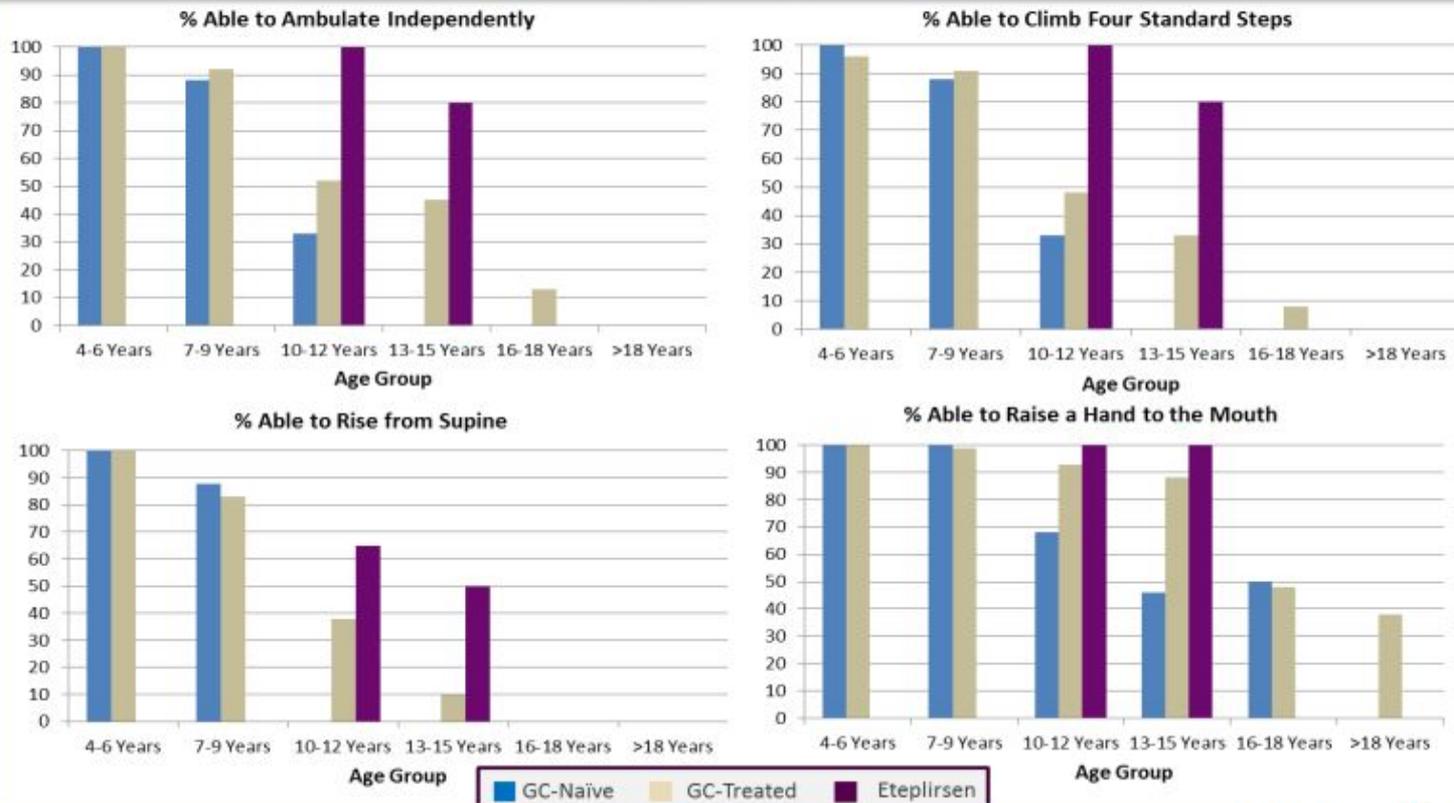
- Для разработки семейство ФМ, которое будет направлено на каждую мутацию поддается экзона пропуска, чтобы использоваться отдельно или в сочетании с другими препаратами для лечения мышечной дистрофии Дюшенна.

# ДОСТИЖЕНИЯ ЦЕЛИ УСКОРЕНИЯ РАЗВИТИЯ ДИНАМИЧНАЯ И ИТЕРАТИВНЫЙ ПОДХОД

- **Остальные редкие экзоны**
  - В пробирке доказательства пропуска экзона
- **Эзоны 52, 50, 44, 55, 8, 35**
  - В пробирке доказательства пропуска экзона
  - Доклиническое исследование токсичности
  - Производство дистрофина
  - Клинические результаты (6MWT, PFT)
- **Эзоны 53,45**
  - В пробирке доказательства пропуска экзона
  - Доклиническое исследование токсичности
  - Производство дистрофина
  - Клинические результаты (6MWT, PFT)
- **Eteplirsen (Эксон 51)**
  - В пробирке доказательства пропуска экзона
  - Доклиническое исследование токсичности
  - Производство дистрофина
  - Клинические результаты (6MWT, PFT)
  - Безопасность

# МАЛЬЧИКИ, ПОЛУЧАВШИЕ ЕТЕПЛИРСЕН. ФУНКЦИОНАЛЬНЫЙ СТАТУС

Eteplirsen Treated, Week 168:  
Age 10-12 (n=6) and Age 13-15 (n=6)



# ИННОВАЦИОННОЕ РАЗВИТИЕ ПРЕПАРАТА

Нормативная власть

Промышленность Пациент Патентные  
группы

Клинические исследователи

ПЕРЕВЕДЕНО ПРОЕКТОМ

МОЙМИО: [HTTP://MYMIO.ORG](http://MYMIO.ORG)

ОРИГИНАЛ:

[HTTP://WWW.PARENTPROJECT  
MD.ORG/SITE/PAGESERVER?PAG  
ENAME=CONNECT\\_CONFERENC  
E\\_PRESENTATIONS\\_15](http://WWW.PARENTPROJECTMD.ORG/SITE/PAGESERVER?PAGE_NAME=CONNECT_CONFERENCE_PRESENTATIONS_15)