**Прорыв России в генной терапии гемофилии В.**

В Международный день безопасности пациентов состоялся Совет экспертов, посвященном началу клинической разработки первого в России препарата для генной терапии гемофилии В. Участники врачебного и пациентского сообщества совместно с учеными BIOCAD обсудили ключевые моменты предстоящей I–II фазы клинических исследований, в первую очередь безопасность потенциальных участников исследования, вопросы сопутствующей терапии и удобства выполнения необходимых процедур, а также режима посещения исследовательских центров в рамках получаемой терапии.

«Большинство пациентов сегодня вынуждены вводить инъекции факторов свертываемости крови до 3 раз в неделю на протяжении всей жизни, в зависимости от тяжести заболевания. Перспектива появления первого отечественного препарата генной терапии может существенно изменить качество жизни пациентов благодаря потенциальной возможности отказа от постоянных инъекций», — Жулёв Юрий Александрович, президент Всероссийского общества гемофилии.

Участниками совета стали эксперты и ведущие гематологи страны, специализирующиеся на лечении гемофилии: профессор Вадим Вадимович Птушкин, г Москва , заведующая городского центра по лечению гемофилии (ГЦЛГ)  г. к.м.н. Татьяна Андреевна Андреева, г. Санкт-Петербург, д. м. н. Владимир Юрьевич Зоренко и к.м.н. Татьяна Юрьевна Полянская, г Москва , д. м. н., профессор Игорь Леонидович Давыдкин, г. Самара, д. м. н. Андрей Николаевич Мамаев г. Барнаул, профессор д. м. н. Елена Анатольевна Климова г. Москва, а также сопредседатель Всероссийского союза общественных объединений пациентов, президент Всероссийского общества гемофилии Жулёв Юрий Александрович.

Ученые BIOCAD завершили раннюю разработку генотерапевтического препарата для терапии гемофилии В, на данный момент успешно завершены доклинические исследования, показавшие высокий уровень безопасности и эффективности у животных.

Предполагается, что препарат будет вводиться однократно, сохраняя эффект в течение нескольких лет.

BIOCAD ведет работу над созданием генотерапевтических препаратов для терапии не только гемофилии типа B, но гемофилии типа А. «В процессе работы над этими проектами мы создали платформенную технологию получения аденоассоциированных векторов (AAV), которая позволяет разрабатывать генную терапию и для других более распространенных заболеваний. Например, хронических болезней и болезней, ассоциированных с возрастом», — комментирует Павел Яковлев, заместитель генерального директора по ранней разработке и исследованиям.

Стоит отметить, что до недавнего времени не было ни одного зарегистрированного генотерапевтического препарата для лечения гемофилии. Первый такой препарат получил регистрацию в Европе в конце августа 2022 года, на данный момент это лекарственное средство еще не поступило в продажу.

***Для информации:***

BIOCAD — одна из крупнейших биотехнологических инновационных компаний в России, объединившая научно-исследовательские центры мирового уровня, современное фармацевтическое и биотехнологическое производство, доклинические и клинические исследования, соответствующие международным стандартам.

BIOCAD — компания полного цикла создания лекарственных препаратов от поиска молекулы до массового производства и маркетинговой поддержки. Препараты предназначены для лечения онкологических, аутоиммунных и других социально значимых заболеваний. Продуктовый портфель компании состоит из 61 лекарственного препарата, из которых 9 — оригинальные, а 22 продукта — биологические. В настоящее время около 40 продуктов находятся на разных стадиях разработки. В штате компании работает более 3 000 человек, треть из которых ученые и исследователи. Международные офисы компании представлены в Бразилии, Китае, Вьетнаме, Индии и ОАЭ.