### 受講無料 FREE

# FEB. 4<sup>th</sup> (TUE) 18:00 ▶ 19:10

#### 筑波大学医学地区 臨床講義室D

Clinical Lecture Room D つくば市天久保2-1-1 ★申込不要 Applications not required



T-CReDOでは医師、研究者の皆さんの研究成果の事業化を支援するトレーニング プログラム「Research Studio」を実施しています。

今回ご紹介する BioMarin社はカリフォルニアで22年前に創業し、

希少疾患治療薬を中心とした製品開発で成功しており、現在は血友病の遺伝子治療 候補品Valoctocogene Roxaparvovec を開発中です。

本製品は多くの競合企業が開発を進めているHemophilia Aの治療において FDAよりBreakthrough Therapyの指定を受けており、現在Phase IIIの 臨床試験が行われています。

VIII因子のクローニングから遺伝子治療に向けた研究に至るまで、 Vehar氏のScientistとしてのキャリアを含めてご講演をお願いしました。 また、Sr. DirectorのAoyagi-Scharber氏にはBioMarin社の先進的な 提携戦略についてもお話いただきます。皆さん奮ってご参加下さい。

T-CReDO is providing a course of training for physicians and scientists who are willing to commercialize their research achievements through startups.

To learn the real case of startups, we requested a lecture to scientists from BioMarin, which is one of leading biopharmaceutical companies from California.

They launched a series of products for rare diseases into the market from collaboration with academia and now evaluating Valoctocogene Roxaparvovec as a potential gene therapy, product for Hemophilia A in clinical trials. This investigational gene therapy, designated as Breakthrough Therapy by FDA, is currently undergoing Phase III studies.

We requested Dr. Vehar to share the story behind the development of Hemophilia A treatments, including his own experiences in biotech industry from cloning of Factor VIII to development of gene therapy.

In the lecture, Dr. Aoyagi-Scharber will provide current strategy for collaboration of BioMarin for the potential collaborations with academia.

### 【Research Studio powered by SPARK 特別セミナー】

## 希少遺伝性疾患治療製品を開発するカリフォルニアの バイオベンチャーの成長と、サイエンティストのキャリア



全 編

英

語

English lecture

#### Hemophilia A from the 1970's to 2020: evolution from confusion to gene therapy

Gordon Vehar, PhD.

Vice President, Research, BioMarin Pharmaceutical Inc.



# **BioMarin company overview and diseases of interest**

#### Mika Aoyagi-Scharber, PhD.

Sr. Director, Scientific Strategy & Discovert Portfolio

BioMarin Pharmaceutical Inc.

主催:つくば臨床医学研究開発機構(T-CREDO) RESEARCH STUDIO 事務局

・
TーCReDO 気波大学つくば臨床医学研究開発機構
Tukuba Clinical Research & Development Organization

**€** 029-852-3630 (内線3630) ⊠TR\_info@md.tsukuba.ac.jp http://www.s.hosp.tsukuba.ac.jp/t-credo/tr/research.html