

# HEMOFILIA A

## Miércoles 21 de julio

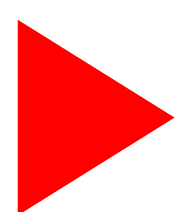
### *State of the Art SOA 24: Translational Research in Rare Bleeding Disorders*

---

#### **Rationale Design of Therapeutics in Hemophilia**

*Christopher B. Doering*

Repaso del arsenal terapéutico generado y en investigación para en la hemofilia a través de la bioingeniería de proteínas. Se presenta la Plataforma ASR (Ancestral sequence reconstruction), y su papel en el descubrimiento y diseño de nuevas proteínas que ayuden a combatir esta patología.



[Link a las sesiones](#)

### *Oral Communication 67 Safety and Efficacy in Gene Therapy for Hemophilia*

---

#### **Hemostatic Response is Maintained for up to 5 Years Following Treatment with Valoctocogene Roxaparvovec, an AAV5-hFVIII-SQ Gene Therapy for Severe Hemophilia A**

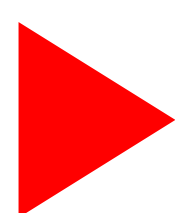
*Michael Laffan*

El Dr. Laffan nos presentan los datos a 5 años de la fase precoz de la terapia génica de Biomarin, centrandose en los 13 pacientes que han tenido las dosis de 4 y 6  $10E6$  vg/kg. Presenta los datos de seguridad, eficacia en forma de ABRs, reducción de infusiones de FVIII y actividad del FVIII. Además comparan estos datos con los primeros comunicados de la FIII.

#### **Phase I/II Trial of SPK-8011: Stable and Durable FVIII Expression after AAV Gene Transfer for Hemophilia A**

*Lindsey A. George*

La Dra. George nos presenta los resultados de la terapia génica de Spark, SPK8011-101 en las cohortes en escalada de dosis. Los datos de seguridad, consumo de corticoides o transaminasas complementan los datos de actividad de factor VIII o ABRs en las primeras 52 semanas tras el tratamiento.



[Link a las sesiones](#)

# HEMOFILIA A

Miércoles 21 de julio

## *Oral Communication OC 75: Basic and Laboratory Aspects of Gene Therapy for Hemophilia*

---

**Prenatal Therapy with Placental Cells Transduced with an Engineered fVIII Transgene Results in Curative fVIII Plasma Levels for 3 Years after Birth, Without Immune- or Toxicity-related Adverse Events**

*Martin Rodriguez*

**Investigation of Early Outcomes Following Adeno-associated Viral Gene Therapy in a Canine Hemophilia Model**

*Paul Batty*

**In vitro and In vivo Models to Understand One-stage and Chromogenic Factor VIII Activity Assay Discrepancy of Hepatocyte-derived Factor VIII**

*Anna Rose Sternberg*

**AAV Delivery of a Novel Human Factor VIII Variant with Improved Secretion Results in Higher FVIII Expression in Hemophilia A Dogs**

*Giang Nguyen*

Estudio en modelo animal que investiga la utilidad de usar como terapia prenatal mcoET3 (lentivirus + transgen FVIII) con el objetivo de aumentar FVIII en plasma y producir tolerancia evaluando la eficacia, duración de la respuesta y seguridad de la terapia

Estudio de una nueva terapia (AAV5-cFVIII) en modelo canino por su similar fenotipo y genotipo comparado con humanos para evaluar seguridad y eficacia de esta terapia especialmente elevación de transaminasas, variabilidad o integración.

Trabajo que aborda la diferencia que encontramos en las dos técnicas de laboratorio en el contexto de las terapias génicas debido a que OSA mide la actividad del pro-factor (FVIII) y CSA mide el cofactor (FVIIIa)

Presentación de nueva terapia en investigación pre-clinica buscando administrar la terapia génica en dosis mas bajas para mejorar los resultados



[Link a las sesiones](#)