

Российские ученые создали первый в мире препарат для лечения  
редкой болезни

Препарат был успешно протестирован на предклинических этапах разработки. В настоящее время готовится регистрационное досье для медицинского применения препарата, и в этом году планируется подача заявления на проведение клинических испытаний на пациентах.

Препарат разрабатывается совместно с компанией «Артген Биотех» и основан на методах доставки гена, который кодирует отсутствующий белок, в мышечные клетки. Обе формы препарата прошли тщательные исследования по эффективности и безопасности.