



MedicinaliPlasmaDerivati:

farmací salvavíta

Dott.ssa Matilde Picozzi

Centro Regionale Sangue



Legge 21 ottobre 2005, n. 219

" Nuova disciplina delle attività trasfusionali e della produzione nazionale degli emoderivati "

pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 251 del 27 ottobre 2005

Il raggiungimento dell'autosufficienza regionale e nazionale di sangue, emocomponenti e farmaci emoderivati

1. L'autosufficienza del sangue e dei suoi derivati costituisce un obiettivo nazionale final zzato a garantire a tutti i cittadini uguali condizioni di qualità e sicurezza della terapia trasfusionale. La presente legge, riconoscendo la funzione sovraregionale e sovraziendale dell'autosufficienza, individua specifici meccanismi di programmazione, organizzazione e finanziamento del sistema trasfusionale nazionale.

18 Kg/1000 ab plasma industria 40 unità/1000 ab GR









Programma nazionale plasma e medicinali plasmaderivai, anni 2016-2020.

IL MINISTRO DELLA SALUTE







Plasma



La funzione del plasma è quella di essere il mezzo di trasporto di una vasta gamma di molecole quali il glucosio necessario al metabolismo cellulare, lipidi, ormoni, diversi prodotti di scarto derivati dal metabolismo, ossigeno e anidride carbonica.

<u>ímmunoglobulíne e fattorí della coagulazíone</u>

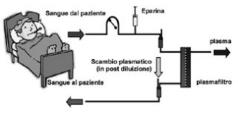




Círca il 20% del plasma viene utilizzato per uso clinico, trasfuso direttamente al paziente Neí deficit congeniti o acquisiti di singoli fattori della coagulazione in presenza di emorragia

Nella fase acuta della coagulazione intravascolare disseminata





Grandí ustíonatí
(rapída perdíta dí líquidí con riduzione del volume circolante)



Studio TSUNAMI







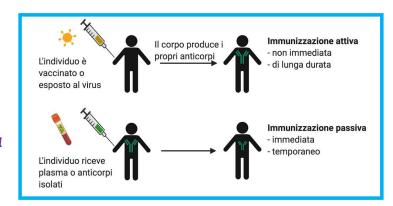


Il restante 80% viene conferito all'industria farmaceutica dove verrà trasformato in medicinali salvavita, insostituibili, i cosiddetti plasmaderivati come l'albumina, le immunoglobuline o i fattori della coagulazione

Il 70% dei farmaci plasmaderivati in Italia deriva da plasma raccolto dai nostri donatori

Il 30% è prodotto da plasma raccolto all'estero

Per le Immunoglobuline specifiche l'Italia è totalmente dipendente dall'estero



COME SI TRASFORMA IL PLASMA IN FARMACI SALVAVITA?







LE FASI DEL SISTEMA DI PLASMA DERIVAZIONE IN ITALIA

Ad ogní donazíone vengono eseguití, per legge, esamí virologicí relativi ai principali agentí infettivi (epatite B e C, HIV, sifilide).

Controllo di Stato

Prima dell'immissione in commercio i medicinali plasmaderivati devono superare controlli eseguiti presso laboratori autorizzati a livello europeo (OMCL)



Distribuzione alle Regioni

I medicinali sono consegnati alle Regioni proprietarie del plasma e distribuiti alle strutture farmaceutiche ospedaliere o alle farmacie pubbliche per l'assegnazione ai pazienti. Il sistema prevede la possibilità di compensazione dei medicinali plasmaderivati tra Regioni eccedenti e carenti. *





L'Azienda farmaceutica esegue
ulteriori controlli sulla materia prima
plasma così come previsto dalle
norme europee sui farmaci e
produce, attraverso processi di
separazione delle diverse proteine, i
medicinali plasmaderivati secondo le
buone norme di fabbricazione
(GMP). (+HAV E PARVOVIRUS B19)



Assegnazione dei medicinali ai pazienti

Direttamente in ospedale oppure a domicilio con indicazione medica.





DIFFERENZA TRA MPD IN CONTO LAVORO E COMMERCIALI





BAXALTA BAXALTA KIOVIG 5 g	FIXNOVE 1200 UI	CEPROTIN 1000 UI	FEIBA 1000 UI HJII HF	TALATE 1000 UI + 750 UI	CUVITRU 1 g/5 ml	CUVITRU 8 g/40 ml
----------------------------	--------------------	---------------------	-----------------------------	-------------------------------	---------------------	----------------------

MPD IN CONTO LAVORO



I farmací sono prodottí con plasma dí donatorí volontarí, períodící e non remuneratí

Prevedono come unico costo il costo di lavorazione del plasma frutto di una gara regionale (o gara per Aggregazione) e a carico delle Regioni (istituzioni)

Il valore economico del MPD finale è stabilito da un Accordo Stato Regioni del 17 giugno 2021



MPD COMMERCIALI

Derívano da pool dí plasma estero raccolto da donatorí remuneratí e acquistato dalla ditta dí plasmalavorazione (per lo più dagli USA)

Il costo del prodotto finale è costituito dal costo del plasma acquistato + dal costo stabilito da AIFA + costo della lavorazione da parte della ditta farmaceutica





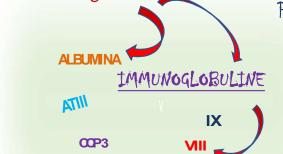
ACCORDO PLANET

Toscana, Campanía, Lazío, Marche, Ispettorato Generale della Sanítà Mílítare, Molíse



MPD obbligatori

Convenzione per il servizio di trasformazione industriale del plasma prodotto dalle strutture trasfusionali delle regioni



190000 Kg/anno

26% <u>LAZIO</u>



Il target di indipendenza strategica dal mercato è 18 kg/1.000 abitanti (drivers 19 e Albumina)

2024

15.4 kg/1.000 abitanti











ORPHAN DRUGS

Malattie rare

ALTRI

- SD Plasma
- Colla di Fibrina

Sanguinamenti e chirurgia

INIBITORI

- Antitrombina
- Proteina C
- C1 Esterase Inibitore
- Alpha 1 Antitrypsina

Deficienze congenite ed acquisite

IMMUNOGLOBULINE SPECIFICHE

- Ig Anti-Epatite B
- Ig Anti-Tetano
- Ig Anti-Rh0

Malattie autoimmuni

- Ig Anti-Rabbia
- Ig Anti-Cytomegalovirus

IMMUNOGLOBULINE STANDARD

Immunodeficienze primarie ed acquisite

IVIG & SCIG immunoglobuline normali e.v./s.c.

Profilassi della infezione/reinfezione di differenti agenti patogeni e prevenzione prevention of HDN (Malattia Emolitica del neonato)

SOLUZIONI DI ALBUMINA

- Albumina 200gr/l, 250gr/l, 50gr/l
- · Plasma Protein solution

Ipoalbuminemia, shock, chirurgia, emodialisi

FATTORI DELLA COAGULAZIONE

- pd FVIII
- pd FVIII complessato con FvW
- Concentrato di Fattore von Willebrand
- pd FIX
- PCC/aPCC concentrato di complesso protrombinico
- Fibrinogeno
- F XIII

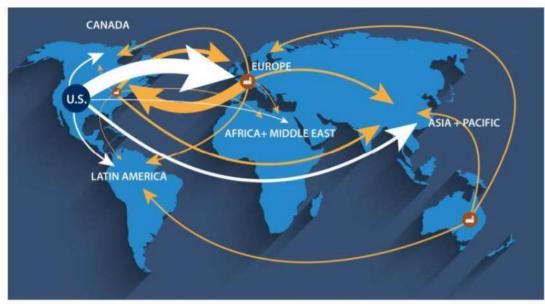
Disordini della coagulazione congeniti e acquisiti





Movimentazione del plasma a livello mondiale

Plasma frazionato a livello mondiale (2019): 69 milioni di litri



Legenda: In bianco la movimentazione di plasma dagli USA agli altri Paesi In arancione i trasferimenti di prodotto finito a livello internazionale

ARMINDUSTRIA

Nel 2019 gli Stati Uniti hanno raccolto il 67% del plasma per frazionamento mondiale

Fonte: Marketing Research Bureau



Nel 2020 l'impatto del **Covid-19** ha provocato a livello mondiale una forte riduzione della raccolta e del frazionamento del plasma nell'ordine di circa il 20%.





Fonte: Report Farmindustria 2021

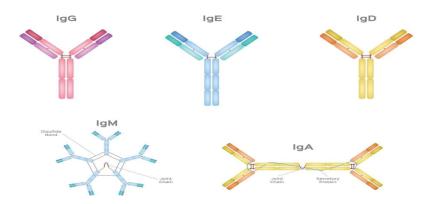






Le immunoglobuline, conosciute anche come <u>anticorpi</u>, svolgono un ruolo fondamentale nella difesa del nostro organismo contro infezioni e malattie.

Vengono utilizzate ai fini terapeutici fin dagli anni '50, in particolare per le Immunodeficienze Primarie.



Le immunoglobuline ad alte dosi (IVIG) sono una preparazione purificata di anticorpi prelevati dal plasma di migliaia di donatori sani, con una significativa diversità idiotipica e conseguente maggiore copertura anticorpale per il ricevente – 19G+++.

Come Funzionano le IVIG?







Supporto al Sístema Immunítario



Centro di Coordinamento regionale delle Malattie Rare:

- Ubicazione: Sede della Regione Lazio, Via Rosa Raimondi Garibaldi, 7 00145
 Roma.
- E-mail: areareteospedaliera@regione.lazio.it.

Centri specializzati per immunodeficienze primitive:

- ASL RM 1 Azienda Ospedaliero-Universitaria Sant'Andrea: Roma (RM). @
- Policlinico Umberto I: Roma (RM), I Clinica Medica.
- Policlinico Tor Vergata: Roma (RM), UOSD Immunopatologia e Allergologia Pediatrica.
- ASL Rieti Ospedale S.Camillo De Lellis: Rieti (RI).
- ASL Viterbo Ospedale di Belcolle: Viterbo (VT).
- Fondazione Policlinico Universitario Agostino Gemelli: Roma (RM).
- Ospedale Pediatrico Bambino Gesù: Roma (RM).



Forniscono anticorpi aggiuntivi per combattere le infezioni, particolarmente utile per pazienti con deficit immunitari.

<u>Trattamento delle Immunodeficienze</u>: Per le persone con immunodeficienze primarie, che non producono abbastanza anticorpi, le IVIG offrono una protezione vitale contro le infezioni.

1	N pazienti ner centro	, patologia e malattia/gruppo e	Asl di residenza	- assistiti con età<17 anni
1	in publication per centro,	patologia e malattia/gruppo e	Mai di l'Caldelled	ussisuu con cui - 17 unni

PATOLOGIA	GRUPPO ALL 7	N PAZIENTI
RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	1
RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	107
RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	13
RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	152
RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	2
	RDG020 RDG020 RDG020 RDG020	RDG020 DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE

N pazienti per centro, patologia e malattia/gruppo e Asl di residenza - assistiti con età>=18 anni

COMR	PATOLOGIA	GRUPPO ALL 7	N PAZIENTI	
AO San Camillo Forlanini	RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	350	
AOU Policlinico Umberto I	RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	2000	
Fondazione Policlinico A. Gemelli	RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	898	
IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesù	RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	147	
Ospedale S.M. Goretti - ASL LATINA	RDG020	DIFETTI EREDITARI DELLA COAGULAZIONE	15	





Con il frazionamento del plasma il trattamento con IGIV è diventato un'importante opzione terapeutica e, dal 2007, sono disponibili in Italia sia i preparati IG solubili per infusione sottocutanea (IGSC - CUVITRU) che quelli per uso endovenoso (IGEV - KIOVIG).









H Terapia sostitutiva in pazienti adulti, bambini e adolescenti (0-18 anni) in:

Cuvitru

Immunoglobulinum humanum normale (s.c.)
200 mg / mi
injektionslösung (s.c.) / Solution pour injection (s.c.)
Nur zur subkutanen Anwendung,
Packungsbeilage beachten,
Packungsbeilage beachten,
Consulter la notice d'emballage.

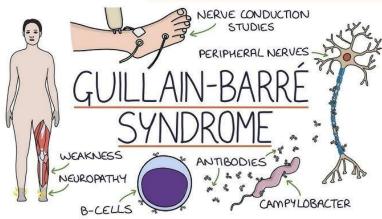
- Sindromi da immunodeficienza primaria con compromissione della produzione di anticorpi (vedere paragrafo 4.4).
- Ipogammaglobulinemia e infezioni batteriche ricorrenti in pazienti con leucemia linfocitica cronica (LLC), ove gli antibiotici per uso profilattico abbiano fallito o siano controindicati.
- Ipogammaglobulinemia e infezioni batteriche ricorrenti in pazienti con mieloma multiplo (MM).
- Ipogammaglobulinemia in pazienti prima e dopo allotrapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT, hematopoietic stem cell transplantation).

Come Funzionano le IVIG?









Trattamenti specifici:

Plasmaferesi:

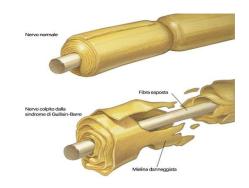
Questo trattamento rimuove dal sangue gli anticorpi che attaccano i nervi, migliorando il decorso della malattia.

Immunoglobuline per via endovenosa:

Le immunoglobuline aiutano a bloccare gli anticorpi dannosi, riducendo l'infiammazione e i danni ai nervi.

Le IVIG possono aíntare a modulare un sistema immunitario iperattivo, riducendo l'infiammazione e prevenendo il danneggiamento dei tessuti in malattie autoimmuni.

Malattie Autoimmuni: Malattie Neurologiche, come la miastenia gravis - migliorano trasmissione neuromuscolare e riducono la debolezza muscolare, la polineuropatía cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) - ríducono infiammazione e migliorano forza muscolare e funzionalità- e la sindrome di Guillain-Barré accelerano la guarigione e riducono gravità sintomi neurologici.



Come Funzionano le IVIG?







Neutralizzazione di Anticorpi Patogeni





In alcune malattie autoimmuni, le IVIG possono neutralizzare gli anticorpi dannosi che attaccano il corpo.

<u>Dísturbí Ematologíci</u>: Le IVIG possono essere usate per trattare condizioni come la porpora trombocitopenica immune (ITP), dove il sistema immunitario distrugge le piastrine -aumentano il conteggio piastrinico e riducono il rischio sanguinamento.

Trattamento di Prima Linea:

Corticosteroidi (prednisone):

Sono il trattamento di prima scelta per la PTI. Possono essere somministrati per via orale o endovenosa, a seconda della gravità della condizione. In molti casi, il cortisone aiuta a ridurre la distruzione delle piastrine e a far aumentare i loro livelli.

Immunoglobuline (IVIG):

In caso di necessità di un rapido aumento dei valori piastrinici, si possono somministrare immunoglobuline endovena ad alto dosaggio. Questo trattamento ha un effetto più rapido rispetto ai corticosteroidi, ma è anche più costoso.



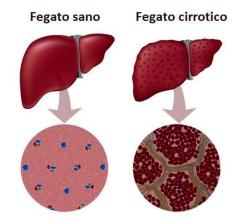
Albumina bassa (ipoalbuminemia):

cause e sintomi

Le cause di ipoalbuminemia sono molteplici, e possono comprendere:

- Alterazione della sintesi dell'albumina: cirrosi epatica (è la causa più frequente), epatiti acute o croniche, anomalie genetiche con sintesi di albumine alterate.
- Alterazione dell'eliminazione dell'albumina: sindrome nefrosica e glomerulonefriti.
- Aumentato catabolismo dell'albumina: stati infiammatori gravi, stati febbrili, cachessia, tumori avanzati, ipertiroidismo, ipercortisolismo o sindrome di Cushing.
- Deficit proteico: da ridotto apporto con la dieta (Kwashiorkor) o da stati di malassorbimento (enteropatie, celiachia e morbo di Crohn).
- Gravidanza: in questo caso l'ipoalbuminemia deriva sia da modificazioni ormonali che colpiscono i vasi sanguigni e diversi organi, sia dall'aumentato uso delle proteine da parte del feto.





Al microscopio si vede il sovvertimento del lobulo con i tralci fibrosi.

Quali sono i sintomi

dell'albumina bassa?

L'ipoalbuminemia può manifestarsi con diversi sintomi, tra cui i principali sono:

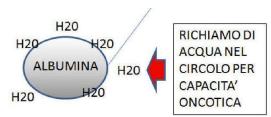
- · Dimagrimento eccessivo.
- · Edema, ossia gonfiore agli occhi e alle gambe.
- Debolezza e affaticamento.
- Concentrazione di liquido nell'addome.
- Ittero, ossia pelle giallastra.
- Frequenti ematomi e altre manifestazioni di alterazione del sistema di coagulazione.

Va ricordato inoltre che, oltre a questi sintomi, possono essere presenti altri sintomi diversi e legati alla causa specifica e sottostante all'ipoalbuminemia.

IMPIEGO IN CLINICA

CONDIZIONI ACUTE con bisogno di aumento del volume ematico:

USTIONI



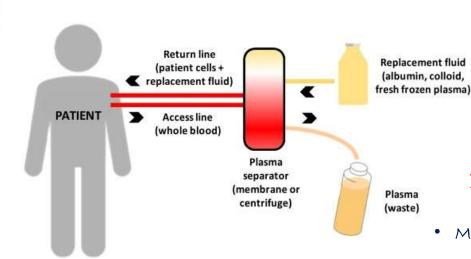
CONDIZIONI CRONICHE con ipoalbuminemia: CIRROSI, DENUTRIZIONE







PLASMAEXCHANGE







Paziente con malattia neurologica tipo Guillain-Barrè

- · Maschio età 59 anni
- · Terapía di mantenimento
- Per síngola seduta dí plasmaferesí terapeutica
- > 11 flaconí da 250 ml dí albumina al 5 %
- Volume processato 6979 ml
- · Volume rímosso 2924 ml
- · Volume sostituito 2757 ml



CENTRO REGIONALE





Volume 21, 2021 - Issue 8

Special Report

REVIEW

Therapeutic plasma exchange with albumin: a new approach to treat Alzheimer's disease

Mercè Boada , Pablo Martínez-Lage, Pedro Serrano-Castro, Montserrat Costa & Antonio Páez Pages 843-849 | Received 22 Jun 2021, Accepted 23 Jul 2021, Published online: 04 Aug 2021

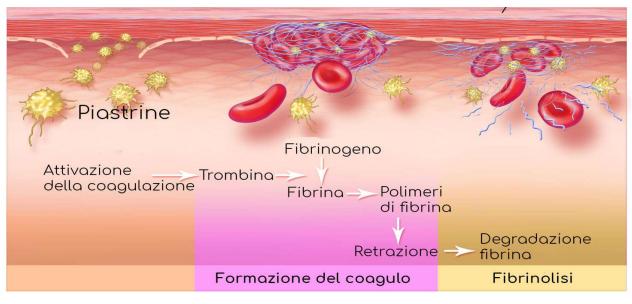




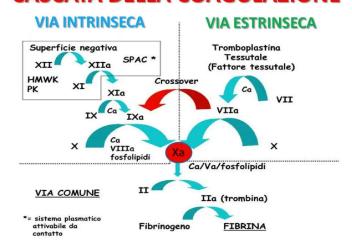


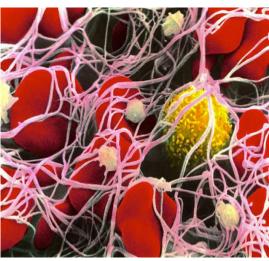




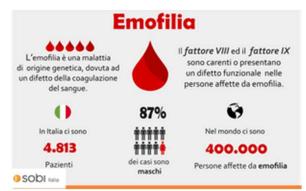


CASCATA DELLA COAGULAZIONE















TIPO B

FATTORE IX

1/30.000





Segni e sintomi dell'emofilia

- Il disturbo (sintomo) principale che caratterizza l'emofilia è il sanguinamento prolungato che può verificarsi in seguito ad una ferita o dopo un intervento medico come, ad esempio, l'estrazione di un dente.
- Alcuní esempi di sanguinamento spontaneo sono:
- fuoríuscita improvvisa di sangue dal naso (epistassi)
- · gengive sanguinanti
- sanguinamento all'interno delle articolazioni, ad esempio gomiti o ginocchia (emorragie articolari)
- sanguinamento muscolare (ematomi).



Emartro ginocchio

Ematoma muscolare e cutaneo





Ematoma post traumatico





Principali terapie

Oggi il malato di emofilia, grazie ai progressi scientifici, riesce a condurre una <u>vita abbastanza normale</u>. Curare e bloccare le emorragie rapidamente è fondamentale per limitare i danni.

LA CURA DELL'EMOFILIA CONSISTE NELLA SOMMINISTRAZIONE DEL FATTORE DI COAGULAZIONE SPECIFICO.

Talate ®



fattore viii umano di coagulazione/fattore di von willebrand | 1.000 ui Polvere e solvente per soluzione iniettabile (Takeda Italia Spa)

FIXNOVE FL 600UI+FL 5ML

Produttore: TAKEDA ITALIA SPA

Terapía preventíva (profilassí) somministrazione del fattore mancante per prevenire emorragie e/o danni alle articolazioni e muscoli



Terapía a domanda somministrazione fattore mancante per bloccare una emorragia in atto





PROT 439-CRS del 26 agosto 2019

Come comunicato con nota della Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria Area Rete Ospedaliera e Specialistica Prot. N. U0660689 del 09-08-2019, su richiesta dell'Associazione Emofilici Lazio (AEL), con lo scopo di garantire un percorso terapeutico efficace e tempestivo per i pazienti emofilici che si trovino in condizioni cliniche di emergenza/urgenza, è stato elaborato un protocollo operativo risultato del lavoro, coordinato dalla Direzione Salute e integrazione Sociosanitaria, dei rappresentanti di ARES 118, del Centro Regionale Sangue (CRS), del Coordinamento Regionale Emergenza-Urgenza, dell'Associazione Emofilici Lazio (AEL), e condiviso con i responsabili dei Centri Emofilia del Policlinico Umberto I (Hub), della Fondazione Policlinico Universitario A. Gemelli e dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù (Presidi di II livello).





 in caso di ricovero in PS di un assistito affetto da emofilia A o B, deve essere disponibile, presso il PS, una scorta di concentrato di fattore FVIII e di FIX plasma derivato;

 a tal fine, il Centro Regionale Sangue fornirà a tutte le farmacie interne degli ospedali pubblici o convenzionati in cui è presente il PS, il concentrato di FVIII e FIX plasmaderivato (pdFVIII, pdFIX), prodotto in conto lavorazione;





Le prime terapie specifiche per l'emofilia si sono rese disponibili circa 40 anni fa concentrati dei fattori della coagulazione carenti (terapia sostitutiva): fattore VIII per i soggetti con emofilia A e fattore IX per i soggetti con emofilia B (MPD da donatori di sangue)



nel tempo si sono evoluti grazie alla possibilità di produrre i fattori di coagulazione in laboratorio (tecnologia del DNA ricombinante) e a lunga durata d'azione. SOLO EV

Inízío entro í 2 anni dí vita con infusioni endovenose ogni 7-14 giorni nei soggetti con emofilia B e ogni 2-7 giorni per pazienti con emofilia A, proseguita fino al raggiungimento dell'età adulta e, idealmente, dovrebbe essere portata avanti per tutta la vita.

Dí recente sí è reso disponibile (al momento solo per i soggetti con Emofilia A) il primo farmaco a somministrazione sottocutanea. Si tratta di un anticorpo monoclonale capace di attivare la coagulazione in modo da prevenire la maggior parte delle emorragie. Esso può essere somministrato ogni 7, 14 o 28 giorni. Non è tuttavia efficace per la









TECNICA DEL DNA RICOMBINANTE

La tecnica del DNA ricombinante è alla base delle moderne biotecnologie

Possíamo definire *biotecnologie* tutte quelle teniche che, basandosi sull'utilizzo di organismi viventi o di loro derivati, siano volte alla produzione di sostanze specifiche.

Sí definisce tecnología del DNA ricombinante l'insieme delle tecniche di laboratorio che consentono di <u>isolare e tagliare brevi sequenze di DNA per trasferirle e inserirle nel genoma di altre cellule</u>, in modo da modificarne uno o più geni.



Biotecnologie











genere

серро







- · E = Escherichia
- · co = coli specie
- •R = strain RY12
- I = numero romano = primo enzima isolato

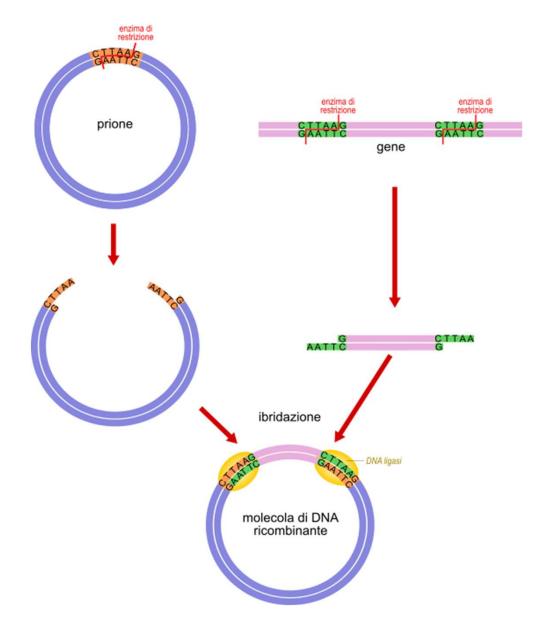


5'- G AATTC - 3' 3'- CTTAA G - 5'





Questa tecnología permette interventi mirati, che modificano in modo specífico solo i geni dei caratteri su cui si vuole agire. Inoltre, le metodologíe odierne consentono di trasferire DNA non solo tra individui della stessa specie, ma anche tra specie diverse, spesso molto differenti l'una dall'altra. Si possono, per esempio, trasferire geni da un batterio a una pianta o introdurre in un batterio un gene proveniente da una cellula eucariotica.







UN PO'DI STORIA

cellula umana cellula batterica contenente il gene dell'insulina estrazione del gene estrazione e apertura di un plasmide batterico enzimi di restrizione inserzione del gene nel plasmide introduzione del plasmide in una cellula batterica i batteri si riproducono e sintetizzano l'insulina

Nel 1928, Alexander Fleming scoprì il primo antibiotico, la penicillina



produzione industriale di molecole ottenute dal metabolismo microbico

Dagli anni Quaranta, la biologia molecolare cominciò a offrire tecniche adeguate a quella che venne definita *ingegneria genetica*, vale a dire la capacità di sfruttare le tecniche genetiche come base per le «nuove biotecnologie».

Nel 1969 venne realizzata la prima sintesi in vitro di un enzima



sí riuscì finalmente a raggiungere un obiettivo a lungo perseguito: la produzione biotecnologica di proteine

L'ingegneria genetica consenti la produzione dell'insulina nel 1978 e dell'ormone della crescita nel 1979.



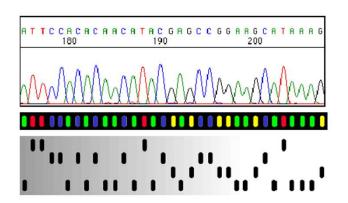




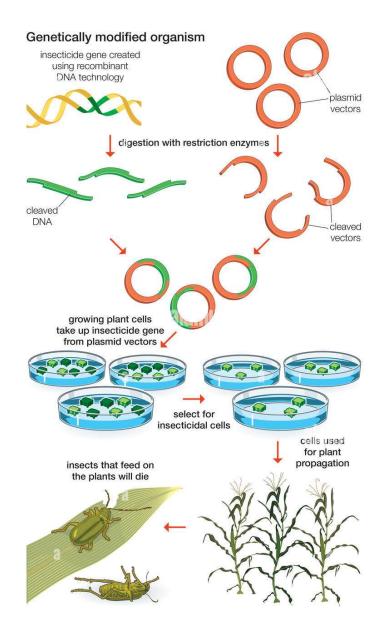


Glí anní Ottanta Videro la nascíta dei cromosomi artificiali, della PCR, dell'impronta genetica e dei primi OGM (Organismi Geneticamente Modificati) usati in agricoltura.

Glí anní Novanta sono statí il decennio dell'avvio del Progetto Genoma Umano, delle prime terapie geniche applicate all'uomo, dei primi animali transgenici. Nel 1995 fu sequenziato per la prima volta il genoma di un organismo vivente, Haemophilus influenzae. Nel 1997 nacque Dolly, la prima pecora clonata da cellule adulte, presto seguita da altri mammiferi.







TECNICA DEL DNA RICOMBINANTE





Esperoct® 1.000

molto complessa dal punto di vista operativo, ma dal punto di vista concettuale si basa su criteri abbastanza semplici:

> identificare il gene;

Isolamento del gene:

Il gene che codifica per il fattore VIII viene isolato dal genoma umano



- > taglíarlo e ísolarlo dalla molecola del DNA;
- uníre íl gene a un vettore a sua volta costítuíto da DNA;

> trasferírlo all'interno di una cellula ricevente;

<u>Ingegnería genetica:</u>

Il gene isolato viene modificato per essere espresso efficacemente nelle cellule ospiti, ad esempio, inserendo sequenze regolatorie specifiche e ottimizzando la sequenza del gene per la traduzione.

Trasformazione cellulare:

Il gene modificato viene introdotto in cellule, come cellule di coltura cellulare di mammifero o microrganismi (CELLULE RENALI DI CRICETO)

Selezione e crescita:

Le cellule che hanno integrato con successo il gene vengono selezionate e coltivate in un ambiente specifico per produrre grandi quantità di fattore VIII.

Purificazione e formulazione:

Il fattore VIII prodotto dalle cellule viene purificato e formulato in una soluzione o polvere per essere utilizzata come farmaco



Grazie per l'attenzione

