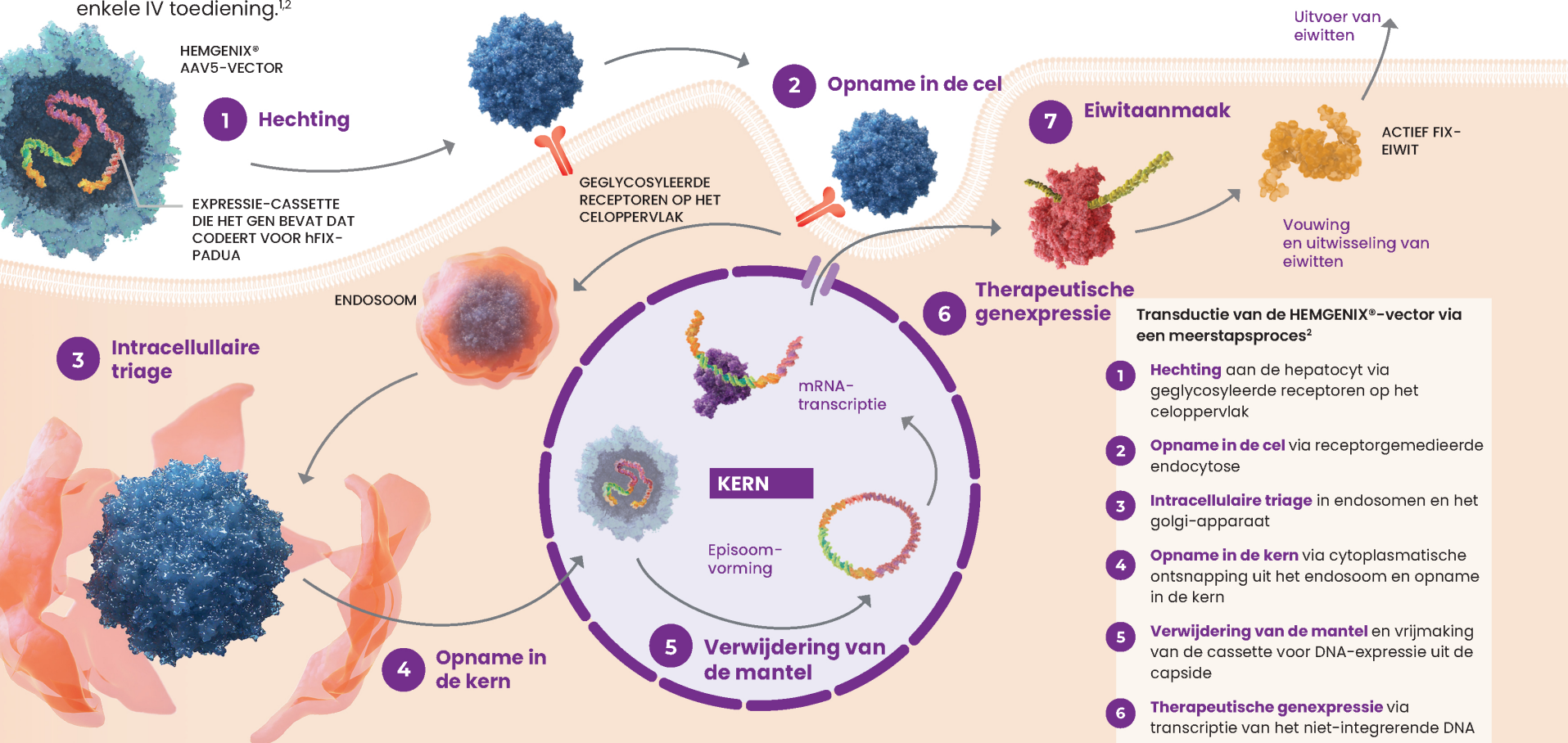


Werkingmechanisme bij hemofilie B

HEMGENIX® is een gentherapie die gebruik maakt van een recombinante AAV5-vector om een functionele kopie van het F9-gen af te leveren aan de hepatocyten bij volwassenen met hemofilie B die ervoor in aanmerking komen. De vector is specifiek ontworpen voor genoverdracht in de lever in de vorm van een meerstaps *in vivo* proces, met als doel de endogene expressie van functionele factor IX blijvend te verhogen na een enkele IV toediening.^{1,2}



AAV5 = adeno-geassocieerd virus serotype 5; FIX = factor IX; hFIX-Padua = paduavariant van humane FIX

1. CSL Behring (02/2023). SKP Hemgenix®

2. Wang D, et al. *Nat Rev Drug Discov.* 2019;18(5):358-378.