



Nota de prensa

Presentación de resultados de un ensayo clínico sobre Anemia de Fanconi en Chicago

- ▶ El Dr. Bueren, CIEMAT, presentó nuevos resultados del ensayo clínico Fase 1/2 de terapia génica en pacientes de Anemia de Fanconi.

Madrid, 21.05.18.- El Dr. Juan Bueren presentó un avance de los resultados del ensayo clínico de terapia génica en pacientes de Anemia de Fanconi, en la sesión presidencial del congreso de terapia génica de la Sociedad Americana de Terapia Génica y Celular (ASGCT) celebrado en Chicago del 16 al 19 de mayo. Este ensayo en Fase 1/2, en el cual se han tratado hasta la fecha cinco pacientes, está coordinado por el Dr. Bueren, director de la División de Terapias Innovadoras del Sistema Hematopoyético en CIEMAT e investigador del CIBERER y de la Fundación Jiménez Díaz. El Dr. Julián Sevilla es el investigador principal del ensayo que se está realizando en el Hospital del Niño Jesús, Madrid, y en colaboración con el Hospital Vall d'Hebron de Barcelona.

El medicamento objeto del estudio, RP-102, ha recibido la designación de medicamento huérfano para el tratamiento de la Anemia tipo A de Fanconi en los Estados Unidos y en Europa. El ensayo clínico ha sido aprobado por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, y ha recibido financiación del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad de España y el "Innovation I Program" de la Comisión Europea.

La evidencia clínica demuestra que este medicamento huérfano puede restaurar la función de la médula ósea de pacientes con anemia de Fanconi, en ausencia de tratamiento de acondicionamiento. Asimismo, la detección de leucocitos corregidos genéticamente demuestra la presencia de células corregidas en la médula ósea, lo que conduce a la estabilización hematológica de los pacientes.

"El ensayo Fase 1/2 está arrojando importantes conclusiones. Primero, las células corregidas de su defecto genético están anidando en la médula ósea de los pacientes tratados, incluso en ausencia de acondicionamiento. En segundo lugar, se está observando una mejora de la estabilidad cromosómica en las células hematopoyéticas corregidas de estos pacientes. Tercero, en estos pacientes, la progresión natural del fallo de la médula ósea se está estabilizando. Finalmente, el aumento progresivo de leucocitos en sangre periférica corregidos de su defecto genético, indica que la terapia génica está restableciendo la funcionalidad de las células madre hematopoyéticas de médula ósea. Todo ello indica la estabilización de los recuentos de sangre periférica, que irían disminuyendo en estos pacientes en la ausencia de tratamiento. En base a estos resultados, se considera que este nuevo tratamiento podría constituir una prevención mínimamente tóxica para el fallo de médula ósea en pacientes de anemia de Fanconi", dijo el Dr. Bueren.



GOBIERNO
DE ESPAÑA

MINISTERIO
DE ECONOMÍA, INDUSTRIA
Y COMPETITIVIDAD

Ciemat

Centro de Investigaciones
Energéticas, Medioambientales
y Tecnológicas

"En el futuro, planeamos utilizar un proceso optimizado con la adición de potenciadores de la transducción, y tratar a los pacientes en un momento más temprano en el curso de su enfermedad. Estas modificaciones probablemente permitirán respuestas más robustas", dijo Gaurav Shah, M.D., CEO y presidente de Rocket Pharmaceuticals, Ltd., empresa que ha adquirido la licencia exclusiva y mundial sobre los derechos de RP-102. "Rocket continúa comprometido con el avance de la terapia estándar para anemia de Fanconi, y con el avance continuo de nuestros programas de desarrollo de cinco terapias génicas basadas en vectores lentivirales (LVV) y adenovirales (AAV). Continuaremos innovando y aspirando a crear nuevas opciones terapéuticas para enfermedades devastadoras."

En esta dirección, la Dra. Paula Río, investigadora del mismo departamento que el Dr. Bueren, fue invitada a presentar en este congreso sus prometedores resultados sobre nuevas técnicas de edición génica para el futuro tratamiento de los pacientes con anemia de Fanconi.

Más información:

<https://www.businesswire.com/news/home/20180518005551/en/Rocket-Pharmaceuticals-Presents-Updated-Data-Phase-12>

<http://www.ciberer.es/noticias/colaboracion-multimillonaria-para-el-desarrollo-y-la-autorizacion-de-terapia-genica-para-enfermedades-raras-en-espana>

Contacto:

Unidad de Comunicación y RR PP del CIEMAT
Avda. Complutense, 40
28040 Madrid
Tfno.: 913460822 / 6355
Correo-e: prensa@ciemat.es

Ciemat