



El CIEMAT presenta la primera terapia génica diseñada por uno de sus equipos investigadores con autorización para comercializarse en los Estados Unidos

- El medicamento abre una nueva vía para pacientes con inmunodeficiencias graves y pone en valor el liderazgo de la investigación pública española.
- Esta nueva terapia está indicada para el tratamiento de pacientes con deficiencia de adhesión leucocitaria tipo I (LAD-I), una enfermedad rara asociada a infecciones graves que impedía que muchos niños superaran los primeros años de vida.
- El acto de presentación ha contado con la participación del secretario de Estado de Ciencia, Innovación y Universidades, Juan Cruz Cigudosa; la secretaria general de Investigación y presidenta del CIEMAT, Eva Ortega; y la comisionada del PERTE para la Salud de Vanguardia, Raquel Yotti.

Madrid, 13 de abril de 2026. El Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT) ha acogido hoy la presentación institucional de KRESLADI™, la primera terapia génica diseñada en España que ha obtenido autorización de comercialización en Estados Unidos, en un acto que ha reunido a responsables del Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades, comunidad científica, profesionales sanitarios y representantes de pacientes.

Durante el evento, distintas autoridades han destacado el valor de este avance como un hito para la investigación biomédica española y un ejemplo del impacto de la colaboración público-privada en el desarrollo de terapias innovadoras.

El secretario de Estado de Ciencia, Innovación y Universidades ha destacado que “España no solo quiere participar en la ciencia del siglo XXI, sino liderarla en ámbitos clave. Este proyecto demuestra que invertir de forma sostenida en ciencia pública y fomentar la colaboración internacional permite transformar el conocimiento en soluciones reales para los pacientes”.

Juan Cruz Cigudosa también ha afirmado que “las enfermedades raras no pueden depender del azar científico. Este proyecto demuestra que una inversión

MÁS INFORMACIÓN Y ENTREVISTAS:

Unidad de Comunicación y
Relaciones Públicas CIEMAT
prensa@ciemat.es
91 496 26 78

CIEMAT. Centro de Investigaciones
Energéticas, Medioambientales y
Tecnológicas
Av. Complutense, 40, 28040 Madrid



estratégica en ciencia permite cambiar la vida de los pacientes y avanzar hacia un modelo más colaborativo y orientado a las personas”.

Por su parte, la secretaria general de Investigación y presidenta del CIEMAT, Eva Ortega, quien ha inaugurado la jornada, ha puesto en valor el modelo científico que ha hecho posible este desarrollo: “Hoy no solo presentamos un medicamento, sino un modelo de excelencia basado en la fortaleza del sistema público de investigación”, ha señalado, subrayando que este avance “demuestra que la ciencia española puede generar terapias con potencial curativo y situarse en la vanguardia de la biomedicina internacional”.

La comisionada del PERTE para la Salud de Vanguardia, Raquel Yotti, también ha incidido en la necesidad de reforzar los mecanismos de transferencia: “Tenemos capacidades científicas de altísimo nivel, pero necesitamos que las ideas lleguen a los pacientes”, ha apuntado, defendiendo que “la cadena de la innovación empieza en la idea, pero termina con el acceso real a los tratamientos”.

Por su parte, la directora general del CIEMAT, Yolanda Benito, ha subrayado el carácter histórico de este avance y el papel de la investigación pública: “Este es un hito histórico para nuestra institución y para el conjunto del sistema de I+D+i en España”, ha afirmado, destacando que “la investigación pública puede transformar vidas cuando existe colaboración, perseverancia y una clara vocación de trasladar el conocimiento a la sociedad”.

De la investigación española al medicamento

El desarrollo de KRESLADI™ se inició en los laboratorios de la Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT, en colaboración con el Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER) y el Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz, donde se llevaron a cabo los primeros estudios preclínicos que demostraron su potencial terapéutico en el tratamiento de la deficiencia de adhesión leucocitaria tipo I (LAD-I).

La LAD-I es una enfermedad rara de origen genético que afecta al sistema inmunitario e impide que los glóbulos blancos puedan desplazarse correctamente hacia los focos de infección. Como consecuencia, los pacientes, principalmente niños, sufren infecciones tan graves y recurrentes desde los

MÁS INFORMACIÓN Y ENTREVISTAS:

Unidad de Comunicación y
Relaciones Públicas CIEMAT
prensa@ciemat.es
91 496 26 78

CIEMAT. Centro de Investigaciones
Energéticas, Medioambientales y
Tecnológicas
Av. Complutense, 40, 28040 Madrid



primeros meses de vida que, en su forma más severa, comprometen gravemente su supervivencia en la infancia.

A partir de estos resultados, la terapia fue licenciada en 2016 a la compañía biotecnológica Rocket Pharma, que impulsó su desarrollo clínico a nivel internacional mediante un ensayo en pacientes con LAD-I en hospitales de referencia en España, Estados Unidos y Reino Unido.

Este proceso, basado en la colaboración entre instituciones públicas, hospitales y empresa privada, ha permitido transformar un avance científico generado en España en un medicamento autorizado, fortaleciendo un modelo de transferencia de conocimiento que sitúa a la investigación española en la vanguardia de las terapias avanzadas.

Pacientes y familias: el impacto real de la terapia génica

Durante el acto, pacientes y familias participantes en el ensayo clínico han compartido su experiencia, poniendo rostro al impacto real de esta terapia. Entre ellos, la familia Langenhop, cuyos tres hijos, Ava, Olivia y Landon, nacieron con LAD-I, ha trasladado su agradecimiento al equipo científico: “Ha cambiado completamente nuestras vidas”, han señalado.

También ha participado la paciente Marley Gawkins junto a su madre, destacando el cambio tras el tratamiento: “No tuvimos ninguna duda. En cuanto conocimos la posibilidad de esta terapia, supimos que era el camino. Hoy nuestra hija lleva una vida normal: se resfría y se recupera como cualquier otra persona”.

El director de la Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT, Juan Bueren, ha agradecido a las familias su compromiso y confianza, afirmando que ellos son “la razón de nuestro trabajo y una parte muy importante de nuestras vidas”.

Sobre la Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT

El CIEMAT (Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas) es un Organismo Público de Investigación adscrito al Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades, que articula su actividad de I+D+i en torno a proyectos de envergadura en diferentes áreas, buscando servir de puente entre la I+D+i y los objetivos de interés social. La Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT tiene por objeto el desarrollo de estudios innovadores dirigidos al desarrollo de nuevos métodos diagnósticos y el desarrollo de terapias avanzadas para el tratamiento de diferentes enfermedades, con especial

MÁS INFORMACIÓN Y ENTREVISTAS:

Unidad de Comunicación y
Relaciones Públicas CIEMAT
prensa@ciemat.es
[91 496 26 78](tel:914962678)

CIEMAT. Centro de Investigaciones
Energéticas, Medioambientales y
Tecnológicas
Av. Complutense, 40, 28040 Madrid



GOBIERNO
DE ESPAÑA

MINISTERIO
DE CIENCIA, INNOVACIÓN
Y UNIVERSIDADES

40 **Ciemat**
aniversario

NOTA DE PRENSA

atención a las enfermedades de baja prevalencia. Gracias al uso de las últimas tecnologías de genética y biología molecular y celular, ha generado modelos de enfermedad, y lleva a cabo estudios fisiopatológicos de enfermedades, así como desarrollos innovadores de terapias celulares y génicas.

La Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT ha establecido unidades de investigación conjuntas con otros centros de investigación, que incluyen el CIBERER del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII); la Unidad de Terapias Avanzadas creada entre el CIEMAT y IIS-FJD, UAM; el Centro Nacional de investigaciones Oncológicas (CNIO) y la Unidad Mixta de terapias Avanzadas con el Hospital San Joan de Deu. La Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT forma también parte de la Red Nacional de Terapias Avanzadas (TERAV y TERAV PLUS) del ISCIII, que tiene por objeto el desarrollo de nuevas terapias avanzadas para enfermedades de mal pronóstico.

MÁS INFORMACIÓN Y ENTREVISTAS:

Unidad de Comunicación y
Relaciones Públicas CIEMAT
prensa@ciemat.es
[91 496 26 78](tel:914962678)

CIEMAT. Centro de Investigaciones
Energéticas, Medioambientales y
Tecnológicas
Av. Complutense, 40, 28040 Madrid