



Sala blanca de la Unidad de Investigación Biomédica del Ciemat, donde se hicieron las primeras pruebas.

Estados Unidos aprueba la primera terapia génica basada en una investigación española

El medicamento, surgido en el Ciemat, corrige una enfermedad letal en niños que sufren infecciones recurrentes incontrolables

R. ROMAR

REDACCIÓN / LA VOZ

La ciencia española ha alcanzado un nuevo hito en el ámbito de la medicina avanzada con la aprobación por parte de la FDA (la agencia reguladora de Estados Unidos) del medicamento Kresladi. Este fármaco de terapia génica, desarrollado por la empresa Rocket Pharmaceuticals, tiene un origen puramente español: fue concebido y ensayado originalmente por los investigadores de la Unidad de Innovación Biomédica del Ciemat, en colaboración con el Ciberer y el Instituto de Investigación Sanitaria de la Fundación Jiménez Díaz. Se trata del primer medicamento de terapia génica nacido de una investigación en España que logra obtener la autorización comercial internacional.

El tratamiento está diseñado pa-

ra combatir la deficiencia de adhesión leucocitaria de tipo I (LAD-I), una inmunodeficiencia genética muy poco frecuente pero extremadamente grave. Los niños que nacen con esta patología presentan mutaciones en la proteína CD18, lo que impide que sus glóbulos blancos se peguen a los vasos sanguíneos para acudir a los focos de infección. Como resultado, los pacientes sufren infecciones recurrentes que ponen en riesgo su vida desde la primera infancia y presentan serios problemas de cicatrización. Hasta ahora, la única esperanza era un trasplante de médula ósea de un donante compatible, un proceso complejo y no exento de riesgos importantes.

La innovadora técnica desarrollada por el equipo del profesor Juan Bueren y la doctora Elena Almaraz consiste en extraer las células madre de la médula ósea del propio paciente para modifi-

carlas fuera de su cuerpo (*ex vivo*). Mediante un vector viral diseñado en colaboración con el University College de Londres, los científicos insertan una versión correcta del gen defectuoso en las células. Una vez reparadas, estas se reinfunden en el niño, facilitando que aniden y generen glóbulos blancos sanos capaces de defender el organismo.

A la vista de los resultados obtenidos en la investigación preclínica realizada, esta terapia génica fue licenciada a la empresa Rocket Pharma en el 2016, que patrocinó un ensayo clínico internacional dirigido a evaluar la eficacia y seguridad de fármaco para pacientes con LAD-I grave. Los resultados obtenidos después de más de 3 años tras el tratamiento muestran una supervivencia sostenida de los pacientes, sin que estos hayan sufrido infecciones graves recurrentes ni necesitado de un trasplante.