



BIOMEDICINA



M.G.

Miembros del equipo de Rocket Pharmaceuticals en España implicados en el desarrollo del fármaco.

La FDA aprueba la primera terapia génica con base científica española

REDACCIÓN

La agencia reguladora del medicamento en Estados Unidos (FDA por sus siglas en inglés) ha aprobado una innovadora terapia génica dirigida a pacientes con deficiencia de adhesión leucocitaria tipo I (LAD-I), una inmunodeficiencia rara y muy grave asociada a infecciones potencialmente

mortales desde los primeros meses de vida.

Marnetegrane autotemcel, comercializado como Kresladi, ha sido desarrollado a partir de investigación pública española liderada por la Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT, que llevó a cabo esta línea de investigación en colaboración con el CIBERER y el Instituto de Investigación Sanitaria Fundación Jiménez Díaz. La tera-

pia se basa en la modificación genética de células madre hematopoyéticas del propio paciente. El origen del fármaco se sitúa en los estudios dirigidos por la investigadora Elena Almarza y el profesor Juan Buenren, quienes desarrollaron un vector viral capaz de introducir una copia funcional del gen ITGB2, cuya mutación impide a los glóbulos blancos expresar la proteína CD18.