

Esta terapia génica reduce las hemorragias en hemofilia.

Publicado el: 03-08-2022

Una única inyección de una terapia génica podría reducir drásticamente el riesgo de hemorragia al que se enfrentan las personas con un tipo de hemofilia B.

Se trata de un ensayo clínico llevado a cabo en 10 pacientes cuyos resultados se publican hoy en «The New England Journal of Medicine», en el que investigadores del University College of London-UCL, el Royal Free Hospital y la empresa de biotecnología Freeline Therapeutics probaron un nuevo tipo de candidato a terapia génica con virus adeno-asociado (AAV), denominado FLT180a, para tratar los casos graves y moderadamente graves de la hemofilia B.

La hemofilia B es un trastorno hemorrágico genético raro y hereditario causado por niveles bajos de la proteína del factor IX (FIX), necesaria para la formación de coágulos de sangre que ayudan a prevenir o detener las hemorragias. **El gen responsable de la producción de la proteína FIX se encuentra en el cromosoma X, por lo que la forma grave de hemofilia B es mucho más frecuente en los hombres.**

En la actualidad, los pacientes con hemofilia B deben inyectarse periódicamente -por lo general, semanalmente- FIX recombinante, es decir, una terapia de sustitución periódica para evitar las hemorragias excesivas. A pesar de los avances en el tratamiento, los pacientes pueden seguir sufriendo daños articulares.

Este ensayo clínico multicéntrico de fase I/II, denominado B-AMAZE, y el estudio de seguimiento a largo plazo relacionado, ha visto que el tratamiento único con FLT180a conducía a la producción sostenida de la proteína FIX desde el hígado en nueve de diez pacientes, a través de cuatro niveles de dosis diferentes, eliminando la necesidad de una terapia de reemplazo regular.

Eliminar la necesidad de que los pacientes con hemofilia se inyecten regularmente la proteína que les falta es un paso importante para mejorar su calidad de vida

De los 17 pacientes varones de 18 años o más que se sometieron a la prueba de detección, diez con hemofilia B grave o moderadamente grave participaron en el ensayo de 26 semanas de FLT180a. Todos ellos también están inscritos en el estudio de seguimiento a largo plazo para evaluar la seguridad y la durabilidad de la expresión de FIX durante 15 años.

«Eliminar la necesidad de que los pacientes con hemofilia se inyecten regularmente la proteína que les falta es un paso importante para mejorar su calidad de vida», asegura autora principal, Pratima Chowdary.

La terapia génica AAV funciona utilizando un envoltorio de las proteínas que se encuentran en la capa exterior del virus, para entregar una copia funcional de un gen directamente a los tejidos del paciente para compensar uno que no funciona correctamente. Las proteínas recién sintetizadas se liberan en la sangre y una única infusión puede conseguir efectos duraderos.

Los pacientes tuvieron que tomar fármacos inmunosupresores durante varias semanas o meses para evitar que su sistema inmunitario rechazara la terapia, y todos informaron de efectos

secundarios conocidos.

Fuente: <https://netsaluti.com>