

Expertos internacionales explican sus avances en terapia génica para tratar enfermedades hematológicas

> Mañana martes se celebra una jornada sobre los últimos avances en terapia génica para tratar enfermedades monogénicas que afectan al sistema hematopoyético organizada por la AEMPS y el CIBERER.

> Se explicarán ensayos clínicos de terapia génica en marcha en diferentes países europeos.

> "La terapia génica para afectados por una variedad de enfermedades monogénicas ha experimentado un importante progreso", explica Juan Bueren.

Madrid, 8 de febrero de 2016.- Una jornada internacional reunirá mañana martes a expertos de reputación internacional que explicarán ensayos clínicos de terapia génica con células madre hematopoyéticas actualmente en marcha en diversos países. Estos estudios tienen como objeto el tratamiento de pacientes con enfermedades monogénicas que afectan al sistema hematopoyético, que es el que se encarga de la producción de las células sanguíneas.

Esta jornada, organizada por el Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), dependiente del Instituto de Salud Carlos III, y la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), dependiente del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, se celebrará en la sede de este ministerio.

La jornada tiene como objetivo compartir la experiencia de la marcha de los protocolos actuales de terapia génica hematopoyética con especialistas que tratan pacientes afectados por enfermedades monogénicas, tales como



inmunodeficiencias primarias, hemoglobinopatías y síndromes congénitos con fallo de médula ósea.

La base de los estudios de terapia génica que serán presentados es insertar en las células madre de la médula ósea de los pacientes la versión funcional de los genes que están mutados en los pacientes, y que son, por tanto, responsables de estas enfermedades. "La terapia génica de enfermedades monogénicas ha experimentado un progreso enorme en estos años, tanto en términos de seguridad como de eficacia. Este avance es especialmente evidente en aproximaciones basadas en la corrección de células madre hematopoyéticas con nuevos vectores retrovirales y lentivirales", explica el doctor Juan Bueren, coordinador de esta jornada e investigador del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT), del CIBERER y del IIS de la Fundación Jiménez Díaz (UAM).

La jornada será inaugurada por la directora de la AEMPS, Belén Crespo, y el director científico del CIBERER, Francesc Palau, tras lo cual investigadores del University College de Londres (UCL), del Hospital Necker de París, del Hospital San Raffaele de Milán y de Genethon (Evry, Francia) iniciarán la primera parte de la jornada explicando los ensayos de terapia génica en marcha. El mismo Bueren expondrá el ensayo de terapia génica en anemia de Fanconi que se está desarrollando con subvención del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad y de la Comisión Europea en el Hospital Niño Jesús de Madrid y el Hospital Vall d'Hebron de Barcelona, así como en otros hospitales europeos.

Otro de los objetivos de esta jornada es facilitar la inclusión de pacientes españoles en ensayos internacionales de terapia génica hematopoyética y promover el desarrollo de este tipo de ensayos en nuestro país.

En este encuentro, se presentarán además los Registros Españoles de pacientes con inmunodeficiencias primarias, hemoglobinopatías y fallos congénitos de médula ósea, así como los resultados actuales asociados al trasplante hematopoyético de pacientes con estas enfermedades monogénicas.

Finalmente, las Dras. María Antonia Serrano, Jefa del Área de Ensayos Clínicos de la AEMPS, y Sol Ruiz, Jefa de la División de Productos Biológicos, Terapias Avanzadas y Biotecnología de la AEMPS y presidenta del Grupo de Trabajo de



Biólogos de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA en sus siglas en inglés) tratarán los aspectos regulatorios de la terapia génica.

La jornada será clausurada por José Javier Castrodeza Sanz, Secretario General de Sanidad y Consumo del Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad.

Sobre CIBERER

El Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBER) es un consorcio dependiente del Instituto de Salud Carlos III (Ministerio de Economía y Competitividad). El CIBER en su Área Temática de Enfermedades Raras (CIBERER) es el centro de referencia en España en investigación sobre enfermedades raras. Su principal objetivo es coordinar y favorecer la investigación básica, clínica y epidemiológica, así como potenciar que la investigación que se desarrolla en los laboratorios llegue al paciente, y dé respuestas científicas a las preguntas nacidas de la interacción entre médicos y enfermos. El CIBERER se compone de un equipo humano de más de 700 profesionales e integra a 62 grupos de investigación. Además, cuenta con 20 grupos clínicos vinculados.

Sobre la AEMPS

La AEMPS, como agencia estatal adscrita al Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad, es responsable de garantizar a la sociedad, desde la perspectiva de servicio público, la calidad, seguridad, eficacia y correcta información de los medicamentos y productos sanitarios, desde su investigación hasta su utilización, en interés de la protección y promoción de la salud de las personas, de la sanidad animal y el medio ambiente.

Para que un medicamento sea autorizado tiene que pasar por varias etapas de investigación que tienen como objetivo demostrar la calidad, eficacia y seguridad del medicamento. Las fases de la investigación con medicamentos abarcan la investigación básica, los ensayos preclínicos, y los ensayos clínicos en humanos y animales. Cualquier ensayo clínico tiene que ser autorizado por la AEMPS antes de su realización.



Más información

Miquel Calvet, departamento de comunicación CIBER

miquel.calvet@ciberisciii.es / 625 67 68 81

Unidad de Comunicación y RR PP. CIEMAT

Avda. Complutense, 40. 28040 Madrid

Tfno.: 913460822

prensa@ciemat.es