

La EMA recomienda la autorización de comercialización del primer tratamiento de edición genética

Fecha de publicación: 15 de diciembre de 2023

Categoría: medicamentos de uso humano

Referencia: MUH, 24/2023

- **Casgevy es un medicamento de terapia génica celular que utiliza la tecnología CRISPR/Cas9 para el tratamiento de la betatalasemia y la drepanocitosis**
- **La tecnología CRISPR permite encontrar una secuencia específica dentro del ADN y editar el genoma de las células madre sanguíneas del propio paciente**
- **El CHMP ha recomendado una autorización condicional de comercialización, uno de los mecanismos reguladores de la UE para facilitar el acceso temprano a medicamentos que satisfacen una necesidad médica no cubierta**
- **Desde 2018, la AEMPS ha autorizado cuatro ensayos clínicos en España con células sometidas a estas técnicas de edición genómica**

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) ha recomendado la aprobación del primer medicamento que utiliza CRISPR/Cas9, una novedosa tecnología de edición genética. Casgevy (exagamglogén autotemcel) está indicado para el tratamiento de la betatalasemia dependiente de transfusión y la drepanocitosis grave en pacientes de 12 años o más para los que es apropiado el trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) y no se dispone de un donante adecuado.

La betatalasemia y la drepanocitosis son dos enfermedades raras hereditarias causadas por mutaciones genéticas que afectan a la producción o función de la hemoglobina, la proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno por todo el cuerpo. Ambas enfermedades son debilitantes y potencialmente mortales.

Casgevy es un medicamento de terapia génica celular que utiliza la tecnología CRISPR/Cas9 para editar el genoma de las células madre sanguíneas del propio paciente. La edición genética CRISPR permite encontrar una secuencia específica de ADN dentro de una célula. Utilizando unas "tijeras moleculares" para hacer cortes precisos, permite añadir, eliminar o alterar material genético en ese lugar concreto del genoma de las células.

Casgevy recibió el apoyo del programa *PRiority MEDicines* (PRIME) de la EMA, que proporciona apoyo científico y normativo temprano y reforzado a medicamentos con especial potencial para satisfacer necesidades médicas no cubiertas de los pacientes.

En su evaluación global de los datos disponibles, el Comité de Terapias Avanzadas (CAT), comité de expertos de la EMA para medicamentos basados en células y genes en el que participan técnicos de la AEMPS, consideró que los beneficios de Casgevy superaban los posibles riesgos en pacientes con betatalasemia y drepanocitosis. El CHMP se mostró de acuerdo con la evaluación y el dictamen positivo del CAT, y recomendó la aprobación de este medicamento.

El CHMP ha recomendado una autorización condicional de comercialización para Caselgy, uno de los mecanismos reguladores de la UE para facilitar el acceso temprano a medicamentos que satisfacen una necesidad médica no cubierta. Este tipo de aprobación permite recomendar la autorización de comercialización para todos los Estados miembro de un medicamento con datos menos completos de lo que normalmente se espera, si el beneficio de la disponibilidad inmediata de un medicamento para los pacientes compensa el riesgo inherente al hecho de que aún no se disponga de todos los datos.

Para confirmar la eficacia y seguridad de Casgevy, además de los ensayos clínicos llevados a cabo, la empresa deberá presentar información adicional de seguridad y eficacia y presentar los resultados de un estudio basado en los datos de un registro de pacientes.

El dictamen aprobado por el CHMP es un paso intermedio en el camino de Casgevy hacia el acceso de los pacientes. Ahora se enviará a la Comisión Europea para que adopte una decisión sobre la autorización de comercialización en toda la UE.

Desde 2018, la AEMPS ya ha autorizado cuatro ensayos clínicos en España con células sometidas a estas técnicas tan prometedoras de edición genómica, tres de ellos con CRISPR/Cas (la tecnología usada en Casgevy) y uno con el sistema TALEN (*transcription activator-like effector nuclease/nucleasa efectora de tipo activador de la transcripción*).