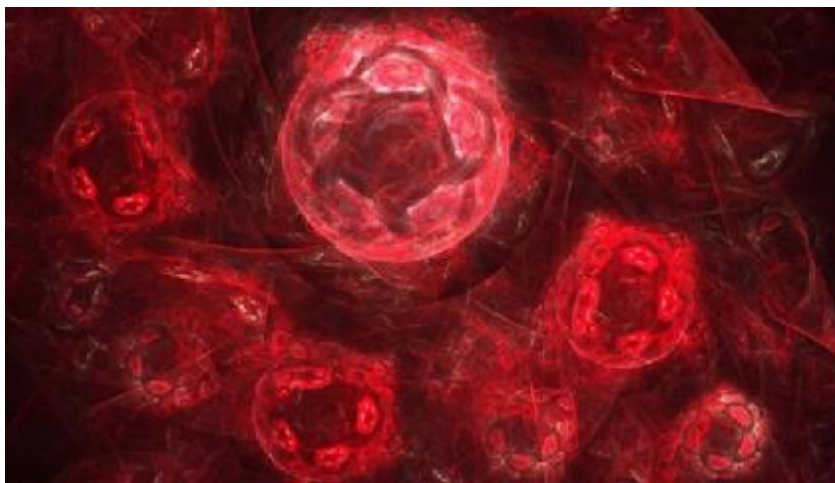


Un nuevo tipo de terapia génica para la anemia de Fanconi

R. I.

[SALUD](#) [Especialistas](#) [Pacientes](#) [Patologías](#)

Última revisión martes 29 de enero de 2013

 Compartir  2  5    2 


La anemia de Fanconi es una enfermedad rara. FOTOLIA

Un tratamiento eficaz para la [anemia](#) de Fanconi. Eso es lo que se ha propuesto lograr un nuevo proyecto financiado por el VII Programa Marco de la Unión Europea a través de la corrección del defecto genético en las células madre de la médula ósea de estos pacientes. Y así lo ha explicado a ABC su coordinador, Juan Bueren, del [Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas \(CIEMAT\)](#) y [CIBER de Enfermedades Raras \(CIBERER\)](#). Es, dice, una alternativa terapéutica para esta [rara enfermedad](#) hematológica -en España hay unas 150 personas afectadas-.

Hasta ahora, señala el investigador del CIEMAT, el único tratamiento es el [trasplante de células madre hematopoyéticas alogénico](#) (células de otras personas), aunque esta opción se relaciona con una mayor riesgo de complicaciones, como el rechazo, y a un aumento a largo plazo en la incidencia de carcinoma de células escamosas, un determinado tipo de cáncer epitelial. La nueva aproximación terapéutica, fruto de más de 10 años de investigación, se basa, en primer lugar, en el empleo de un medicamento con una potente actividad para movilizar células madre hematopoyéticas desde la médula ósea a la sangre periférica del propio paciente para facilitar su obtención, algo difícil en esta enfermedad ya que tienen un número muy reducido de estas células madre. Explica Bueren que este nuevo fármaco es un «vector lentivirus» desarrollado por el CIEMAT y el CIBERER que, «debido a que tiene propiedades terapéuticas por sí mismo» ha sido aprobado en España como «[medicamento huérfano](#)» - es decir, que afecta a una baja proporción de personas, para pacientes con anemia de Fanconi-.

Éxito previo

En una segunda fase, detalla Bueren, y una vez obtenidas las células, se exponen al citado vector lentiviral para corregir su defecto genético de por vida y «proceder a su reinfusión en el paciente». Esta estrategia terapéutica ha sido ya empleada con éxito por investigadores de este consorcio en pacientes con inmunodeficiencias congénitas o beta-talasemia. Además, gracias a que los nuevos vectores de [transferencia génica](#), de la familia de los lentivirus, están mostrando mayor seguridad y eficacia que los vectores utilizados anteriormente, «la mayor parte de los ensayos clínicos de terapia génica que se están poniendo en marcha en la actualidad utilizan esta nueva familia de vectores».

Todo el proceso, desde que se extraen las células hasta que vuelven al paciente ya corregidas, se puede realizar en apenas ocho días -una semana para la extracción de las células y 24 horas para corregir el defecto genético y acto seguido hacer la infusión de las células-. No obstante, en algunos casos puede ser más interesante esperar a ver la evolución clínica del paciente, por lo que «una vez recogidas las células se pueden criopreservar durante años hasta que se pongan de manifiesto las consecuencias del defecto genético». Tras realizar la reinfusión de las células ya corregidas, Bueren ha explicado que «habría que esperar a ver el tiempo que tardan las células en expandirse en la médula ósea y empiezan a regenerar células en sangre periférica».

En estudios realizados en animales de laboratorio se observó como, en cuestión de un mes, la sangre periférica estaba prácticamente restituida a partir de células corregidas genéticamente. «Pero por cuestiones de seguridad, en el paciente habrá que ser más cauto y esperar a que no sea necesario ningún tratamiento adicional -con quimioterapia o radioterapia- para que las células puedan seguir progresando». En el estudio participarán 10 pacientes españoles en la primera fase de la investigación -20 en el europeo-, en la que se usarán los fármacos movilizadores de células, y cinco en la segunda -10 en el europeo-.

Consortio Europeo

Para la realización del proyecto se ha formado un [Consortio Europeo \(Eurofancon\)](#) entre científicos expertos en la investigación y tratamiento de la anemia de Fanconi y en la terapia génica de otras enfermedades. En los ensayos clínicos a desarrollar se utilizarán nuevos fármacos para facilitar la colecta de un elevado número de células madre hematopoyéticas (las encargadas de la formación de las células de la sangre) de los pacientes. Porque, como afirma Bueren, las dificultades en la obtención de un número suficiente de células madre de los pacientes con anemia de Fanconi y el uso de protocolos poco efectivos para transferir el ADN (protocolos de transducción subóptimos) han limitado hasta ahora el éxito de los ensayos clínicos de terapia génica en pacientes con la enfermedad.

El objetivo principal de este proyecto es, por lo tanto, el desarrollo de un protocolo de terapia génica seguro y eficaz para pacientes con anemia de Fanconi del subtipo A, el más frecuente en estos pacientes, mediante la corrección genética de sus células madre hematopoyéticas previamente movilizadas a la sangre periférica, concluye. Se espera que la primera fase del ensayo tenga una duración de 1 año y que en un plazo de dos años, o ,más, ya haya resultados preliminare.

La información médica ofrecida en esta web se ofrece solamente con carácter formativo y educativo, y no pretende sustituir las opiniones, consejos y recomendaciones de un profesional sanitario.
Las decisiones relativas a la salud deben ser tomadas por un profesional sanitario, considerando las características únicas del paciente.

Conoce nuestros nuevos comentarios

Me gusta



Añadir comentario



Escribe tu comentario aquí.

Enviar comentario ...

La actualización en tiempo real está pausada. [\(Continuar\)](#)

Mostrando 0 comentarios

Ordenar por los más recientes primero

[RSS](#)

Un nuevo tipo de terapia génica para la anemia de Fanconi

R. I.

[SALUD](#) [Especialistas](#) [Pacientes](#) [Patologías](#)

Última revisión martes 29 de enero de 2013

Compartir



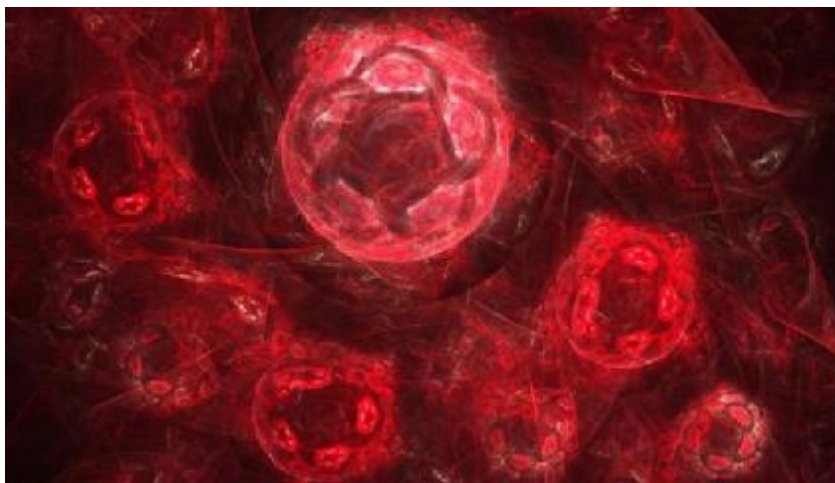
2



5



2



La anemia de Fanconi es una enfermedad rara. FOTOLIA

Un tratamiento eficaz para la [anemia](#) de Fanconi. Eso es lo que se ha propuesto lograr un nuevo proyecto financiado por el VII Programa Marco de la Unión Europea a través de la corrección del defecto genético en las células madre de la médula ósea de estos pacientes. Y así lo ha explicado a ABC su coordinador, Juan Bueren, del [Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas \(CIEMAT\)](#) y [CIBER de Enfermedades Raras \(CIBERER\)](#). Es, dice, una alternativa terapéutica para esta [rara enfermedad](#) hematológica -en España hay unas 150 personas afectadas-.

Hasta ahora, señala el investigador del CIEMAT, el único tratamiento es el [trasplante de células madre hematopoyéticas alogénico](#) (células de otras personas), aunque esta opción se relaciona con una mayor riesgo de complicaciones, como el rechazo, y a un aumento a largo plazo en la incidencia de carcinoma de células escamosas, un determinado tipo de cáncer epitelial. La nueva aproximación terapéutica, fruto de más de 10 años de investigación, se basa, en primer lugar, en el empleo de un medicamento con una potente actividad para movilizar células madre hematopoyéticas desde la médula ósea a la sangre periférica del propio paciente para facilitar su obtención, algo difícil en esta enfermedad ya que tienen un número muy reducido de estas células madre. Explica Bueren que este nuevo fármaco es un «vector lentivirus» desarrollado por el CIEMAT y el CIBERER que, «debido a que tiene propiedades terapéuticas por sí mismo» ha sido aprobado en España como «[medicamento huérfano](#)» - es decir, que afecta a una baja proporción de personas, para pacientes con anemia de Fanconi-.

Éxito previo

En una segunda fase, detalla Bueren, y una vez obtenidas las células, se exponen al citado vector lentiviral para corregir su defecto genético de por vida y «proceder a su reinfusión en el paciente». Esta estrategia terapéutica ha sido ya empleada con éxito por investigadores de este consorcio en pacientes con inmunodeficiencias congénitas o beta-talasemia. Además, gracias a que los nuevos vectores de [transferencia génica](#), de la familia de los lentivirus, están mostrando mayor seguridad y eficacia que los vectores utilizados anteriormente, «la mayor parte de los ensayos clínicos de terapia génica que se están poniendo en marcha en la actualidad utilizan esta nueva familia de vectores».

Todo el proceso, desde que se extraen las células hasta que vuelven al paciente ya corregidas, se puede realizar en apenas ocho días -una semana para la extracción de las células y 24 horas para corregir el defecto genético y acto seguido hacer la infusión de las células-. No obstante, en algunos casos puede ser más interesante esperar a ver la evolución clínica del paciente, por lo que «una vez recogidas las células se pueden criopreservar durante años hasta que se pongan de manifiesto las consecuencias del defecto genético». Tras realizar la reinfusión de las células ya corregidas, Bueren ha explicado que «habría que esperar a ver el tiempo que tardan las células en expandirse en la médula ósea y empiezan a regenerar células en sangre periférica».

En estudios realizados en animales de laboratorio se observó como, en cuestión de un mes, la sangre periférica estaba prácticamente restituida a partir de células corregidas genéticamente. «Pero por cuestiones de seguridad, en el paciente habrá que ser más cauto y esperar a que no sea necesario ningún tratamiento adicional -con quimioterapia o radioterapia- para que las células puedan seguir progresando». En el estudio participarán 10 pacientes españoles en la primera fase de la investigación -20 en el europeo-, en la que se usarán los fármacos movilizadores de células, y cinco en la segunda -10 en el europeo-.

Consortio Europeo

Para la realización del proyecto se ha formado un [Consortio Europeo \(Eurofancon\)](#) entre científicos expertos en la investigación y tratamiento de la anemia de Fanconi y en la terapia génica de otras enfermedades. En los ensayos clínicos a desarrollar se utilizarán nuevos fármacos para facilitar la colecta de un elevado número de células madre hematopoyéticas (las encargadas de la formación de las células de la sangre) de los pacientes. Porque, como afirma Bueren, las dificultades en la obtención de un número suficiente de células madre de los pacientes con anemia de Fanconi y el uso de protocolos poco efectivos para transferir el ADN (protocolos de transducción subóptimos) han limitado hasta ahora el éxito de los ensayos clínicos de terapia génica en pacientes con la enfermedad.

El objetivo principal de este proyecto es, por lo tanto, el desarrollo de un protocolo de terapia génica seguro y eficaz para pacientes con anemia de Fanconi del subtipo A, el más frecuente en estos pacientes, mediante la corrección genética de sus células madre hematopoyéticas previamente movilizadas a la sangre periférica, concluye. Se espera que la primera fase del ensayo tenga una duración de 1 año y que en un plazo de dos años, o ,más, ya haya resultados preliminare.

La información médica ofrecida en esta web se ofrece solamente con carácter formativo y educativo, y no pretende sustituir las opiniones, consejos y recomendaciones de un profesional sanitario.
Las decisiones relativas a la salud deben ser tomadas por un profesional sanitario, considerando las características únicas del paciente.

Conoce nuestros nuevos comentarios

Me gusta



Añadir comentario



Escribe tu comentario aquí.

Enviar comentario ...

La actualización en tiempo real está pausada. [\(Continuar\)](#)

Mostrando 0 comentarios

Ordenar por los más recientes primero

 [RSS](#)