Publicado en Ciudad de México el 15/06/2023

# [Novedosa terapia da resultados positivos en pacientes con anemia falciforme: Cleveland Clinic Children's](http://www.notasdeprensa.es)

## Investigadores presentan datos preliminares de un ensayo clínico destinado a descubrir una cura para la anemia de células falciformes, revelan resultados positivos entre sus primeros pacientes

 La anemia de células falciformes, un trastorno genético de la sangre, es una enfermedad dolorosa y debilitante para la que existen pocas terapias aprobadas.  Los investigadores que participan en el ensayo multicéntrico Ruby presentaron una actualización sobre la seguridad y eficacia de una dosis única de EDIT-301, una terapia celular experimental de edición génica única que modifica las células madre formadoras de sangre del propio paciente para corregir la mutación responsable de la enfermedad de células falciformes. Los resultados se presentaron en el Congreso Híbrido de la Asociación Europea de Hematología, que se realizó en Frankfurt, Alemania.  Los primeros cuatro pacientes, dos de los cuales participan en el ensayo Ruby de Cleveland Clinic Children and #39;s, se les extrajeron células madre para editarlas genéticamente. Los pacientes luego recibieron tratamiento de quimioterapia para destruir su médula ósea restante, dejando espacio para las células reparadas que posteriormente se reintrodujeron en su cuerpo.  Esta es la primera vez que se utiliza un nuevo tipo de tecnología de edición genética CRISPR -conocida como CRISPR/CA12- para editar células humanas en un ensayo clínico. Esta tecnología es una herramienta altamente precisa para modificar el genoma de las células madre de la sangre y permitir una producción robusta de células sanguíneas saludables.  Los datos mostraron nuevos glóbulos blancos en los cuatro pacientes aproximadamente a las cuatro semanas, sin efectos adversos graves. Los pacientes también alcanzaron un nivel normal de hemoglobina, que es el componente más importante de los glóbulos rojos que transportan oxígeno por todo el cuerpo. Los pacientes también han estado libres de los ataques de dolor asociados a la anemia falciforme durante un periodo de 11 meses y siete meses después de la terapia.  "Los nuevos tratamientos como éste son fundamentales para las personas que padecen anemia falciforme", afirmó el Dr. Rabi Hanna, investigador principal y director del programa pediátrico de trasplante de sangre y médula ósea de Cleveland Clinic Children and #39;s.  La anemia de células falciformes es un trastorno hereditario de la sangre que conduce a la producción de hemoglobina anormal, una proteína roja responsable del transporte de oxígeno en la sangre. Los glóbulos rojos normales son redondos y pueden desplazarse por los pequeños vasos sanguíneos para transportar oxígeno. Sin embargo, en las personas con anemia de células falciformes, el cambio genético en el ADN provoca una alteración química en la hemoglobina y cambia la forma de los glóbulos rojos a una forma de hoz, bloqueándolos y evitando que pasen por los vasos sanguíneos estrechos. Estos glóbulos pueden obstruirse o romperse, lo que también provoca una disminución de la vida de los glóbulos rojos y un aumento del almacenamiento de hierro en el hígado y el corazón. Para la mayoría de las personas con esta condición, los medicamentos pueden modificar la gravedad de la enfermedad y tratar los síntomas.  El ensayo Ruby tiene por objeto inscribir a 40 pacientes adultos de entre 18 y 50 años con anemia falciforme grave. Los pacientes serán monitoreados de cerca después del tratamiento durante un período de hasta dos años.

**Datos de contacto:**

Norma Aparicio

laraiza@atrevia.com

5568034319

Nota de prensa publicada en: [https://www.mexicopress.com.mx/novedosa-terapia-da-resultados-positivos-en](http://www.notasdeprensa.es/educalivecom-disfruta-de-cursos-presenciales-y-clases-particulares-a-traves-de-internet)

Categorías: Internacional Medicina Investigación Científica Ciudad de México Servicios médicos



[**http://www.mexicopress.com.mx**](http://www.notasdeprensa.es)