



## España impulsa el desarrollo clínico de la terapia génica de Pfizer para hemofilia

El Hospital Universitario Río Hortega de Valladolid y el Hospital Universitari Vall d'Hebron de Barcelona participan en un ensayo multicéntrico de Pfizer, en terapia génica para hemofilia.



13/04/2023

La terapia génica es una parte fundamental del pipeline de Pfizer y, en particular, para el área de Enfermedades Raras. Estudios recientes de Pfizer en terapia génica están mostrando resultados positivos para el tratamiento de la hemofilia por lo que en un futuro podrían ofrecer a los pacientes la posibilidad de corregir este trastorno genético tras una única administración, una vez que se concluyan estos ensayos clínicos, y sea aprobada por las autoridades regulatorias.

En un estudio Pfizer, multicéntrico e internacional, con este tipo de terapias para hemofilia A, participan centros españoles, en concreto el Hospital Universitario Río Hortega de Valladolid y el Hospital Universitari Vall d'Hebron de Barcelona.

***"La terapia génica objeto de estudio permite que un paciente que previamente estaba en tratamiento profiláctico regular pueda alcanzar niveles normales de factor VIII"***, explica el Dr. Luis Javier García Frade, jefe de Servicio de Hematología y Hemoterapia del Hospital Universitario Río Hortega y uno de los investigadores participantes en este ensayo clínico. ***"No***

*hablamos de una total normalidad, pero sí de poder hacer una vida normal, sin necesidad de tener que someterse a inyecciones regulares para estar prevenidos frente a hemorragias o problemas articulares", puntualiza.*

El experto aclara que se requiere de más tiempo para analizar los resultados a largo plazo de este estudio en pacientes con hemofilia A. *"Todavía no hay tanta experiencia, por lo que es necesario contar con un periodo de observación para poder hablar de los resultados a largo plazo"*, indica.

Para el Dr. García Frade, el objetivo, aparte de alcanzar los resultados deseados a largo plazo, es poder incluir a más pacientes en estos ensayos clínicos. *"En este momento, los pacientes que pueden participar tienen que cumplir unos criterios clínicos muy específicos, pero ello no implica que estos criterios no puedan ir evolucionando en futuros estudios"*. Además, el experto considera clave promover la colaboración y coordinación entre centros de investigación, como la que se ha llevado a cabo entre ambos centros de Valladolid y Barcelona.

### **Reducir la carga de la enfermedad para los pacientes con hemofilia**

Desde Pfizer se está realizando también un ensayo clínico en fase III de terapia génica para el tratamiento de adultos con hemofilia B moderadamente grave a grave. El centro de esta investigación se refiere a un nuevo vector que contiene una cubierta de proteína del virus adenoasociado creado mediante bioingeniería y un gen de factor IX de coagulación humano de alta actividad. El objetivo de esta terapia génica es que las personas que viven con hemofilia B, una vez tratadas, produzcan el factor de coagulación IX a través de este tratamiento único, en lugar de tener que recibirlo de forma exógena, con regularidad.

Para el Dr. García Frade, ambos estudios cumplen una misma meta, que es reducir de forma significativa la carga de la enfermedad. ***"Es muy importante la posibilidad de no tener que realizarse una punción venosa de forma regular, algo que puede interferir de forma intensa en la vida cotidiana de los pacientes con hemofilia"***, subraya.

### **Pfizer, un compromiso de más 30 años en el desarrollo de terapias innovadoras para los pacientes con hemofilia**

El objetivo de la terapia génica es restaurar la función normal de las células y los tejidos afectados por alguna alteración en el material genético. A diferencia de los fármacos tradicionales, que requieren administraciones más o menos frecuentes y que se centran en el manejo de los síntomas y la progresión de la enfermedad, la terapia génica está diseñada como un tratamiento de única administración, para actuar de raíz sobre la causa de la enfermedad a nivel celular.

*"Pfizer cuenta con más de 30 años de experiencia en el desarrollo y puesta a disposición de los profesionales sanitarios y los pacientes de terapias para trastornos hematológicos. Además, tenemos un profundo conocimiento de los*

*importantes desafíos a los que se enfrentan continuamente las personas que viven con hemofilia", explica la directora Médica de la Unidad de Enfermedades Raras de Pfizer, Nuria Mir.*

***"Estamos orgullosos de promover la última innovación para las personas que viven con hemofilia y nos alienta el potencial de esta terapia génica en investigación", añade.***

Pfizer tiene actualmente tres programas de Fase 3 que investigan la terapia génica en hemofilia B, hemofilia A y distrofia muscular de Duchenne.

### **La apuesta de Pfizer por la planta biotecnológica de San Sebastián de los Reyes, un compromiso con la innovación y la terapia génica**

España juega un papel destacado en este compromiso de Pfizer por la terapia génica y es que la planta biotecnológica situada en San Sebastián de los Reyes (Madrid) ha sido la elegida para ser el lugar desde donde se acondicionará y distribuirá toda la terapia génica desarrollada por la compañía a todo el mundo, excepto Estados Unidos y Japón, para el tratamiento de la hemofilia.

*"Nuestra planta española ya distribuye tratamientos a más de 17.000 pacientes en 70 países, una cifra que aumentará próximamente y para lo que estamos preparados gracias a la inversión que anunciamos el año pasado", enfatiza la directora de la planta, Ana Maqueda.*

Esta inversión se refiere a los 100 millones de euros que Pfizer ha destinado para dicho centro, enfocada en la construcción de una nueva área de fabricación, lo que permitirá una producción aún más eficiente de los tratamientos actuales e incrementar la capacidad a futuro.

***"El Día Mundial de la Hemofilia es un motivo especial de conmemoración en la planta y, como todos los años, hemos organizado distintas actividades internas para sensibilizar y también para recoger donaciones que serán íntegramente donadas a la Federación Española de Hemofilia (Fedhemo)", comenta Maqueda.***

La responsable de la planta añade que *"desde Pfizer continuaremos investigando y trabajando por hacer llegar a los pacientes terapias innovadoras que realmente tengan un impacto positivo en sus vidas. La terapia génica es el futuro o más bien ya el presente, un nuevo escenario para pacientes y también para los profesionales sanitarios, en el camino por mejorar el abordaje de las enfermedades raras, como es el caso de la hemofilia".*