

**LA FDA APRUEBA LA PRIMERA TERAPIA GÉNICA**  
**PARA NIÑOS PEQUEÑOS CON ENFERMEDAD DE CÉLULAS FALCIFORMES**

La Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés), de Estados Unidos, emitió una aprobación complementaria para Casgevy (exagamglogene autotemcel) para pacientes de 2 años o más con enfermedad de células falciformes (SCD), con crisis vaso-oclusivas recurrentes (COV) o  $\beta$  talasemia dependiente de transfusión (TDT). Esta es la primera terapia génica aprobada para pacientes de 2 años o más con SCD.

Casgevy ha sido previamente aprobado para el tratamiento de pacientes de 12 años o más con SCD con COV recurrentes o TDT.

La SCD afecta a los glóbulos rojos (RBC), que contienen hemoglobina, proteína que transporta el oxígeno por todo el cuerpo. La SCD puede causar varios síntomas y problemas de salud, incluidos episodios de dolor intenso llamados crisis de células falciformes o COV.

La talasemia es un trastorno genético de la sangre que hace que el cuerpo tenga un nivel anormalmente bajo de hemoglobina, lo que resulta en una reducción de la entrega de oxígeno a los tejidos del cuerpo. En algunos casos, los individuos requieren transfusiones sanguíneas regulares para mantener niveles adecuados de hemoglobina funcional.

Casgevy es una terapia génica que consiste en células madre hematopoyéticas (de sangre) (autólogas) del paciente, administradas como una dosis única para infusión intravenosa. Las células se editan usando CRISPR/Cas9, un tipo de tecnología de edición del genoma, y luego se injertan en la médula ósea del cuerpo. CRISPR/Cas9 se puede dirigir a un punto específico en el ADN, donde corta el material genético de modo que el ADN se pueda eliminar, añadir o reemplazar con precisión. En pacientes con SCD grave, este tratamiento aumenta un tipo de hemoglobina que se llama hemoglobina fetal (HbF). Esto ayuda a evitar que los glóbulos rojos se formen en formas anormales de la hoz y aborda la causa subyacente de la enfermedad, eliminando así los COV.

En pacientes con TDT, el tratamiento aumenta los niveles de HbF y los niveles totales de hemoglobina, eliminando así la dependencia de las transfusiones regulares de glóbulos rojos.

El acondicionamiento mieloablativo completo, un tratamiento preparatorio de alta intensidad administrado a los pacientes antes de recibir un trasplante de células madre o terapia génica, se administra antes del tratamiento con Casgevy.

La seguridad y eficacia de Casgevy en pacientes de 5 años a menos de 12 años con SCD se evaluó en un ensayo clínico que incluyó a 11 pacientes. Los ocho pacientes que fueron evaluables para la eficacia lograron el resultado de eficacia primaria de VF12 (no hay COV graves definidos por protocolo durante al menos 12 meses consecutivos dentro de los primeros 24 meses después de la perfusión con Casgevy).

La eficacia y la seguridad de Casgevy en pacientes de 5 años a menos de 12 años de edad con TDT se evaluaron en un ensayo de 15 pacientes. Ocho de los nueve pacientes evaluables por eficacia con TDT lograron la independencia de la transfusión durante 12 meses consecutivos, con una mediana de duración de la independencia de la transfusión de 20,1 meses.

Según las características del producto y los datos del estudio clínico, se concedió la extrapolación a la población de edad pediátrica más joven para ampliar la indicación a 2 años de edad y más para ambas afecciones.

Las reacciones adversas más comunes fueron la mucositis (inflamación de las membranas mucosas) y la neutropenia febril (fiebre asociada con niveles bajos de un tipo de glóbulo blanco llamado neutrófilos) en pacientes con SCD y en pacientes con TDT, y la disminución del apetito en pacientes con SCD. Además, la información de prescripción contiene advertencias de fallo de injerto de neutrófilos, injerto de plaquetas retardado, reacciones de hipersensibilidad y riesgo de edición del genoma fuera del objetivo (se refiere a la

***Unidad de Información y Vigilancia de Medicamentos.  
Centro para el Control Estatal de Medicamentos, Equipos y Dispositivos Médicos. (CECMED)***

posibilidad de que el proceso de edición de CRISPR/Cas9 pueda realizar ediciones no deseadas en partes del genoma distintas del sitio objetivo previsto).

La FDA otorgó la aprobación a Vertex Pharmaceuticals, Incorporated.

Disponible en: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-young-children-sickle-cell-disease>

La Habana, 15 de julio de 2026

