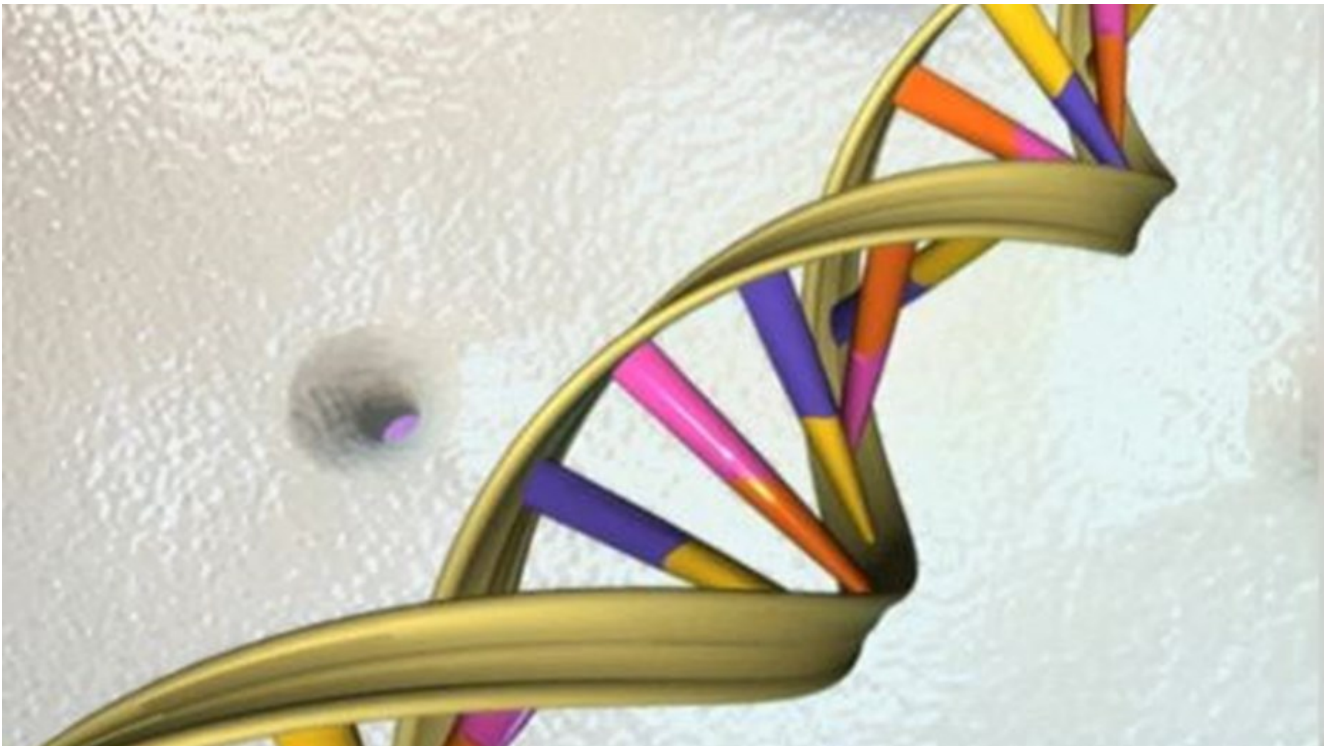


Estados Unidos aprueba la primera terapia de genes para niños con una rara enfermedad hereditaria

20/03/2024



El regulador de salud estadounidense aprobó este lunes la terapia genética de Orchard Therapeutics, con sede en el Reino Unido, para tratar a niños con leucodistrofia metacromática (MLD), lo que la convierte en el primer tratamiento aprobado en el país para la rara enfermedad hereditaria.

Orchard, que fue adquirida por la empresa farmacéutica japonesa Kyowa Kirin por 477,6 millones de dólares el año pasado, dijo que proporcionará detalles sobre el precio y la disponibilidad de la terapia más adelante en la semana.

La terapia única, denominada Lenmeldy en Estados Unidos, está aprobada para niños en ciertas etapas de progresión de la enfermedad, dijo la Administración de Alimentos y Medicamentos

(FDA).

La aprobación se basó en datos de 37 niños que recibieron Lenmeldy en dos ensayos clínicos abiertos, cuyos resultados mostraron que la terapia redujo significativamente el riesgo de deterioro motor grave o muerte en comparación con los niños no tratados.

El regulador también señaló el riesgo potencial de cáncer de sangre asociado con el tratamiento, junto con la formación de coágulos de sangre o un tipo de inflamación de los tejidos cerebrales.

La MLD, que afecta al cerebro y al sistema nervioso, se caracteriza por la acumulación de ciertas sustancias grasas en las células y provoca la pérdida de la función motora y cognitiva y la muerte prematura.

Se estima que la enfermedad afecta a una de cada 40.000 personas en Estados Unidos, según la FDA.

Antes de que se adquiriera Orchard, el analista de TD Cowen, Yaron Werber, había estimado unas ventas máximas de 300 millones de dólares a nivel mundial para la terapia, con ingresos anuales de menos de 70 millones de dólares hasta 2025. La correduría ya no cubre a Orchard. La terapia está aprobada en la Unión Europea y se vende bajo la marca Libmeldy.

NA