

Empresa

Luz verde de la FDA a la primera terapia génica para una enfermedad hereditaria

El medicamento se comercializará bajo el nombre de *Luxturna* y servirá para tratar un tipo raro de ceguera, según ha anunciado la Agencia Americana del Medicamento (FDA).

PlantaDoce
20 dic 2017 - 14:07

La Agencia Americana del Medicamento (FDA, en sus siglas en inglés) ha autorizado la venta de un tratamiento de Spark Therapeutics para un tipo raro de ceguera que se convierte así en la primera terapia génica aprobada por este organismo para una enfermedad hereditaria.

El medicamento, comercializado como *Luxturna*, servirá para tratar una enfermedad de la retina causada por un defecto en el gen RPE65, que está implicado en la producción de una enzima clave para tener una versión normal. Sólo en Estados Unidos afecta a entre 1.500 y 2.000 personas.

El compuesto actúa entregando 150.000 millones de partículas de vectores virales que contienen una copia correcta del gen RPE65 a las células de la retina, restaurando así su capacidad para producir la enzima necesaria. Aunque está diseñado para administrarse en una única dosis, no está claro cuánto puede durar su beneficio.

“Estamos en un punto de inflexión en lo que respecta a esta nueva forma de terapia, y en la FDA estamos enfocados en establecer el marco de políticas correcto para capitalizar esta apertura científica”, según ha destacado Scott Gottlieb, comisionado de la FDA.