

Hematólogos del Hospital público Niño Jesús han tratado a una menor turca con deficiencia de adhesión leucocitaria 1, una grave patología genética

La sanidad pública madrileña participa en el ensayo internacional de una terapia génica que ha curado a nueve niños con una enfermedad rara

- Junto con los complejos Mattel de la Universidad de California Los Ángeles y Great Ormond Street Hospital de Londres
- La investigación ha permitido revertir una afección que impide a los glóbulos blancos salir del torrente sanguíneo y combatir infecciones, reduciendo la esperanza de vida del paciente a no más de dos años

7 de mayo de 2025.- El Hospital público Infantil Universitario Niño Jesús de la Comunidad de Madrid ha participado en un ensayo clínico internacional con terapia génica que ha curado a nueve niños con deficiencia de adhesión leucocitaria 1 (LAD-1), una grave enfermedad rara. En este caso, la beneficiaria ha sido una menor turca.

Junto a este complejo de la sanidad pública autonómica, han trabajado en este proyecto uno estadounidense, el Mattel de la Universidad de California Los Ángeles), y otro británico, el Great Ormond Street Hospital de Londres.

El tratamiento ha sido desarrollado por profesionales del Instituto de Investigación Sanitaria de la Fundación Jiménez Díaz, junto con otros del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas y el Centro de Investigación Biomédica en Red (CIBERER).

La LAD-1 se produce por la ausencia de una proteína necesaria, denominada CD18, cuya carencia impide que los glóbulos blancos puedan salir al torrente sanguíneo para combatir infecciones. La consecuencia es que reduce drásticamente la esperanza de vida de quienes la padecen, que no va más allá de los dos años de vida si no reciben esta terapia, al carecer de un sistema inmunológico funcional.

El procedimiento probado con éxito consiste en la toma, por parte de los médicos, de células madre hematopoyéticas del afectado para, a continuación, introducir en ellas una copia funcional del gen defectuoso que impide al organismo la producción de CD18. Con esta corrección, se inoculan de nuevo al enfermo.

Los resultados obtenidos en este nuevo hito sanitario internacional con cooperación de la sanidad pública madrileña han sido que, después de 18 a 45



Medios de Comunicación

meses de administración a los pacientes, todos ellos han quedado libres de episodios recurrentes de infección.

El doctor Julián Sevilla, jefe de la Sección de Hematología y Hemoterapia del Hospital público Niño Jesús e investigador de la Unidad de Terapias Avanzadas, ha señalado que “este ensayo demuestra una vez más como este tratamiento puede curar a pacientes con enfermedades monogénicas que, de otro modo, serían incurables en ausencia de donantes de tejido hematopoyético disponibles”.