

Novartis y la Fundación Bill & Melinda Gates colaboran para descubrir y desarrollar una terapia génica *in vivo* accesible para la Enfermedad de Células Falciformes

Feb 19, 2021

- El proyecto integra la experiencia en el descubrimiento de fármacos y la terapia génica de Novartis y el apoyo financiero de la Fundación Bill & Melinda Gates
- El acuerdo tiene como objetivo abordar la disparidad en el acceso a los tratamientos y priorizar las poblaciones y regiones que soportan la mayor carga de la Enfermedad de Células Falciformes en la búsqueda de terapias curativas
- La iniciativa amplía el compromiso de Novartis con la Enfermedad de Células Falciformes, que incluye una cartera de productos terapéuticos y un enfoque holístico para el diagnóstico, el tratamiento y el manejo de la enfermedad en la región de África subsahariana

Basilea, 17 de febrero de 2021 — Novartis ha anunciado hoy que ha firmado un acuerdo de subvención con la Fundación Bill & Melinda Gates. Como parte del acuerdo, la Fundación proporcionará apoyo financiero para el descubrimiento y el desarrollo de una terapia génica *in vivo* de administración única para curar la Enfermedad de Células Falciformes (ECF). El proyecto integra la experiencia en el descubrimiento de fármacos y la terapia génica de Novartis con los objetivos filantrópicos de la Fundación Bill & Melinda Gates para ampliar el acceso a la atención médica en escenarios de bajos recursos en un esfuerzo por abordar esta enfermedad genética potencialmente mortal.

"Los enfoques de terapia génica existentes para la Enfermedad de Células Falciformes son difíciles de aplicar a escala y existen obstáculos para llegar a la gran mayoría de los afectados por esta enfermedad debilitante", ha anunciado Jay Bradner, hematólogo y presidente de los Institutos Novartis de Investigación Biomédica (NIBR). "Se trata de un desafío que requiere una acción colectiva, y estamos entusiasmados por contar con el apoyo de la Fundación Bill & Melinda Gates para abordar esta necesidad médica global no cubierta".

La ECF es una enfermedad hematológica hereditaria, uno de los trastornos genéticos más antiguos y conocidos. La enfermedad afecta a millones de personas en todo el mundo, y más de 300.000 nacen con esta enfermedad anualmente^{1,2}. Afecta de manera desproporcionada a las personas de ascendencia africana y la región de África subsahariana soporta cerca del 80 por ciento de la carga de morbilidad³. También es frecuente entre personas con ascendencia de América del Sur, América Central y la India, así como en varios países mediterráneos, como Italia y Turquía.

La ECF es un trastorno genético complejo que afecta la estructura y función de la hemoglobina, reduce la capacidad de los glóbulos rojos para transportar oxígeno de forma eficiente y, desde etapas tempranas, progresa a una enfermedad vascular crónica^{1,4,5,6}. La enfermedad puede provocar episodios de dolor agudo conocidos como crisis drepanocítica o crisis vasooclusivas, así como complicaciones potencialmente mortales^{7,8,9}. Las hospitalizaciones frecuentes asociadas con la Enfermedad de Células Falciformes, combinadas con una carencia generalizada de atención especializada, suponen una carga significativa para

los pacientes y sus familias, los sistemas sanitarios y la economía en general. Incluso con la mejor atención disponible en la actualidad, la ECF continúa provocando muertes prematuras y discapacidad.

Si bien la causa genética de la ECF se conoce desde hace décadas, el mundo de la medicina ha obtenido de forma muy reciente las herramientas para corregir potencialmente el gen drepanocítico que causa la enfermedad. Las terapias actuales basadas en genes en estadio clínico requieren extraer células de un paciente, alterar dichas células en un laboratorio y posteriormente introducir las nuevamente en el paciente a través de un procedimiento complejo similar a un trasplante de médula ósea. El laboratorio, las instalaciones de fabricación y la infraestructura hospitalaria para tales procedimientos a menudo no existen en las zonas donde la ECF es más frecuente, excluyendo a la gran mayoría de las personas con la enfermedad de estas terapias génicas que cambian la vida.

“Las terapias génicas podrían ayudar a acabar con la amenaza de enfermedades como la Enfermedad de Células Falciformes, pero solo si podemos hacerlas mucho más accesibles y prácticas para escenarios de bajos recursos”, ha comentado Trevor Mundel, presidente de Salud Global de la Fundación Bill & Melinda Gates. “Lo emocionante de este proyecto es que aporta avances científicos ambiciosos para afrontar ese desafío. Se trata de abordar las necesidades de las personas en países de renta baja como motor del progreso científico y médico, no como una reflexión tardía. También promete aplicar las lecciones aprendidas para ayudar a desarrollar opciones potencialmente curativas para otras enfermedades debilitantes que afectan a las poblaciones de países con renta baja, como el VIH”.

Novartis prevé desarrollar una terapia génica *in vivo* accesible para la ECF que potencialmente podría ser de administración única, directamente al paciente, sin la necesidad de modificar las células en un laboratorio. De este modo, se conseguiría mitigar la necesidad de hospitalizaciones prolongadas o repetidas, o de una infraestructura de laboratorio especializada. Para facilitar la investigación, la Fundación Bill & Melinda Gates acordó proporcionar apoyo financiero para un equipo de investigación dentro de los NIBR totalmente dedicado a desarrollar un enfoque para brindar este potencial tratamiento. Novartis proporcionará apoyo en especie y acceso a su conjunto de tecnologías y recursos.

Además de la financiación de la investigación, la Fundación Bill & Melinda Gates aporta su dilatada historia y experiencia en salud global a esta colaboración. Como parte de la estrategia de diseño temprano del fármaco, Novartis dará prioridad a abordar los obstáculos de acceso y distribución que plantea la infraestructura sanitaria limitada en países de renta media-baja y el acuerdo de financiación incluye disposiciones específicas para apoyar el acceso global a cualquier innovación resultante.

“Novartis se enorgullece de liderar esta iniciativa para encontrar una terapia genética accesible para la Enfermedad de Células Falciformes, con el apoyo de la Fundación Bill & Melinda Gates”, ha apuntado Lutz Hegemann, director de Operaciones de Salud Global en Novartis. “De acuerdo con nuestro propósito, creemos firmemente que podemos utilizar la ciencia y la innovación para reimaginar la forma en que se trata la ECF para los pacientes de todo el mundo”.

El acuerdo se basa en el compromiso de Novartis de mejorar la vida de los pacientes con Enfermedad de Células Falciformes mediante el desarrollo de nuevos tratamientos, incluyendo crizanlizumab, alianzas estratégicas con organizaciones gubernamentales y no gubernamentales, y el apoyo a intervenciones como los cribados neonatales y la distribución de fármacos existentes.

Este comunicado contiene ciertas informaciones anticipadas sobre el futuro, concernientes al negocio de la Compañía. Hay factores que podrían modificar los resultados actuales.

Acerca de Novartis

Novartis está reimaginando la medicina con el fin de mejorar y prolongar la vida de las personas. Como compañía líder mundial en desarrollo de medicamentos, utilizamos la innovación basada en la ciencia y las tecnologías digitales para el desarrollo de terapias disruptivas en áreas con necesidades médicas desatendidas. En nuestra misión de descubrir nuevos medicamentos, nos situamos entre las mejores compañías a nivel mundial en términos de inversión en investigación y desarrollo. Los productos de Novartis llegan a cerca de 800 millones de personas a nivel global y nos esforzamos en encontrar innovadoras vías para expandir el acceso a nuestros tratamientos. Más de 110.000 personas de más de 140 nacionalidades trabajan en Novartis a nivel mundial. Descubre más en <http://www.novartis.com>

Novartis está en Twitter. Síguenos a través de @NovartisSpain

Para contenido multimedia de Novartis, visite www.novartis.com/news/media-library

Para cuestiones sobre la web, por favor contacte con media.relations@novartis.com

Referencias

1. Saraf SL, et al. Paediatr Respir Rev. 2014;15(1):4-12.
2. Novartis AG. Sickle Cell Disease Around the World. Basel, Switzerland: 2019:1-6
3. Piel FB, et al. Lancet. 2013;381(9861):142-151
4. Stuart MJ, et al. Lancet. 2004;364(9442):1343-1360.
5. National Institutes of Health (NIH). Sickle cell disease. Bethesda, MD. U.S. National Library of Medicine. 2018:1-7.
6. Conran N, Franco-Penteado CF, Costa FF. Hemoglobin. 2009;33(1):1-16.
7. Ballas SK, et al. Blood. 2012;120(18):3647-3656.
8. Elmariah H, et al. Am J Hematol. 2014(5):530-535.
9. Steinberg M. New England Journal of Medicine. 1999;340(13):1021-1030.

Source URL: <https://www.novartis.com/es-es/news/media-releases/novartis-y-la-fundacion-bill-melinda-gates-colaboran-para-descubrir-y-desarrollar-una-terapia-genica-vivo-accesible-para-la-enfermedad-de-celulas-falciformes>

List of links present in page

- <https://www.novartis.com/es-es/es-es/news/media-releases/novartis-y-la-fundacion-bill-melinda-gates-colaboran-para-descubrir-y-desarrollar-una-terapia-genica-vivo-accesible-para-la-enfermedad-de-celulas-falciformes>
- <https://www.novartis.com/diseases/sickle-cell-disease>
- <https://www.novartis.com/>
- <https://www.novartis.com/news/media-library>
- <mailto:media.relations@novartis.com>