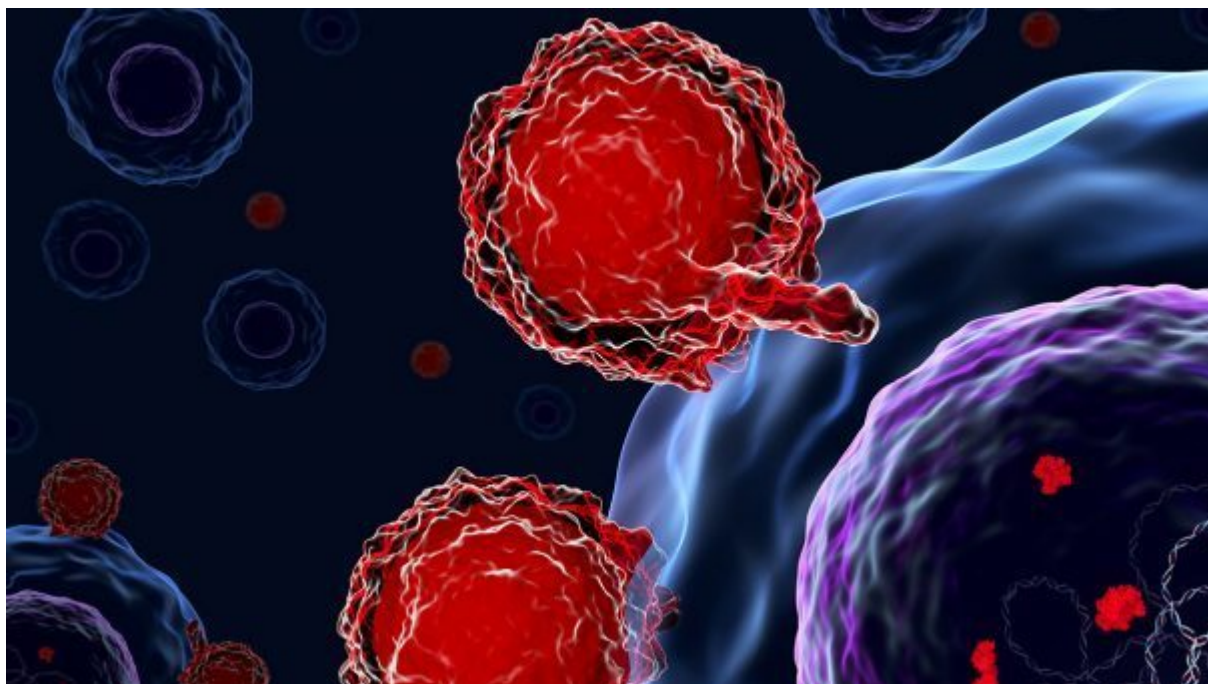


Zynteglo: Προς έγκριση η πρώτη γονιδιακή θεραπεία για β-Θαλασσαιμία

Posted by [Nucleus](#) | On 1 April, 2019 | In [Αιματολογικά νοσήματα](#), [Φάρμακα](#)

Θετική η γνωμοδότηση από CHMP



Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA) πρότεινε την έγκριση της πρώτης γονιδιακής θεραπείας για την εξαρτώμενη από τη μετάγγιση β-θαλασσαιμία (TDT), μια σπάνια κληρονομική πάθηση αίματος που προκαλεί χρόνια σοβαρή αναιμία.

Η β-θαλασσαιμία είναι μια σοβαρή γενετική ασθένεια που προκαλείται από μεταλλάξεις στο γονίδιο της β-σφαιρίνης που έχει ως αποτέλεσμα μειωμένη ή απύουσα αιμοσφαιρίνη και απαιτεί συνεχείς μεταγγίσεις αίματος σε όλη τη διάρκεια της ζωής του ασθενούς, καθώς και θεραπεία χηλώσης σιδήρου.

«Ο στόχος της θεραπείας με το [Zynteglo](#) είναι να δοθεί η δυνατότητα σε ασθενείς με εξαρτώμενη από τη μετάγγιση β-θαλασσαιμία να παράγουν αιμοσφαιρίνη σε επαρκή επίπεδα ώστε να επιτρέπουν τη δια βίου ανεξαρτησία από τις μεταγγίσεις αίματος», δήλωσε ο David Davidson, MD, επικεφαλής ιατρός της Bluebird Bio. «Η θετική γνώμη της CHMP για το Zynteglo είναι ένα κρίσιμο βήμα για την παροχή της πρώτης γονιδιακής θεραπείας για άτομα που ζουν με TDT».

Χρησιμοποιώντας έναν ιικό φορέα, το Zynteglo (που προηγουμένως ονομάστηκε LentiGlobin), προσθέτει λειτουργικά αντίγραφα ενός τροποποιημένου γονιδίου β-σφαιρίνης στα βλαστοκύτταρα ενός ασθενούς, αντιμετωπίζοντας έτσι τη γενετική αιτία της νόσου.

Σε πολλαπλές κλινικές δοκιμές ασθενών με TDT χωρίς γονότυπο β⁰ / β⁰, η πλειοψηφία που έλαβε θεραπεία με Zynteglo πέτυχε ανεξαρτησία από τη μετάγγιση και διατηρούσε μια αιμοσφαιρίνη 9 g / dL ή υψηλότερη.