

Las personas afectadas por esta enfermedad sufren sangrados espontáneos o tras pequeños traumatismos

El Hospital público La Paz trata por primera vez a un paciente con hemofilia B mediante terapia génica para detener hemorragias

- Esta innovadora estrategia de la sanidad pública permite que el propio organismo produzca la principal proteína de la coagulación que les falta a los afectados
- Se administra mediante una única infusión intravenosa y permite sustituir a la profilaxis periódica que reciben

19 de octubre de 2026.- El Hospital público La Paz de la Comunidad de Madrid ha tratado por primera vez en la región a un paciente con hemofilia B mediante terapia génica. Esta nueva estrategia terapéutica permite proporcionar al organismo la información genética para producir la proteína necesaria para que la sangre coagule y poder detener una hemorragia. Supone un avance relevante en el abordaje de una enfermedad que, hasta ahora, requería la administración periódica del factor deficitario durante toda la vida.

Las personas con hemofilia pueden presentar sangrados espontáneos o tras pequeños traumatismos. Son especialmente frecuentes las hemorragias dentro de las articulaciones, principalmente en tobillos, rodillas y codos, que, cuando se producen de forma repetida, pueden provocar daño articular, dolor y limitación de la movilidad.

En las últimas décadas uno de los principales avances en su abordaje ha sido la profilaxis, basada en la administración regular del factor de coagulación deficitario para prevenir las hemorragias antes de que aparezcan. En el caso de la hemofilia B, los tratamientos actuales con factor IX de vida media extendida han permitido espaciar considerablemente las infusiones y mejorar la calidad de vida de los pacientes.

La terapia génica supone un cambio en este modelo. En lugar de administrar repetidamente desde el exterior el factor IX que falta, proporciona al organismo las instrucciones genéticas necesarias para que los hepatocitos, las células del hígado, puedan producirlo.

Para ello se utiliza un vector viral modificado que actúa como vehículo para transportar el gen hasta las células hepáticas, que no provoca la enfermedad y que se administra mediante una única infusión intravenosa. El objetivo es conseguir que el propio organismo mantenga una producción suficiente de factor

IX que permita reducir de manera muy importante los sangrados y, en muchos casos, suspender la profilaxis periódica que recibían previamente.

SEGUIMIENTO A LARGO PLAZO

Después de la administración es necesario mantener un seguimiento estrecho, especialmente durante los primeros meses. Uno de los principales aspectos que se controla es la función hepática, ya que pueden producirse elevaciones de las transaminasas y algunas personas pueden necesitar tratamiento con corticoides. Además, la respuesta puede variar entre pacientes y no todos alcanzan los mismos niveles de factor IX. Por este motivo, quienes reciben terapia génica continúan en seguimiento durante años para evaluar tanto la eficacia como la seguridad a largo plazo.

La principal ventaja potencial de esta estrategia es el cambio que puede representar en la vida cotidiana. Una única administración puede sustituir años de profilaxis periódica, aumentar de forma mantenida los niveles de factor IX, disminuir significativamente los episodios hemorrágicos y reducir la carga asociada a un tratamiento intravenoso continuado.

Aunque puede hablarse de una *cura funcional* en quienes mantienen niveles suficientes de factor IX y dejan de necesitar profilaxis, la terapia no modifica la alteración genética original en todas las células del organismo. Por este motivo, la persona continúa siendo portadora de la alteración responsable de la hemofilia y puede transmitirla a su descendencia.

Este primer paciente en el Hospital público La Paz abre una nueva etapa en el abordaje de la hemofilia B en el hospital. El objetivo actual va más allá de prevenir las hemorragias: busca que las personas con esta enfermedad puedan desarrollar una vida lo más similar posible a la de quienes no padecen hemofilia, protegiendo sus articulaciones, minimizando el riesgo de sangrado y reduciendo al máximo la carga asociada al tratamiento.