



## **EVALUACIÓN DE RIESGO DE LA LIBERACIÓN AL MEDIO AMBIENTE DE CÉLULAS MODIFICADAS GENÉTICAMENTE (Notificación B/ES/25/12)**

### **Título del ensayo**

Estudio abierto en fase I/II para evaluar la seguridad y eficacia de linfocitos T autólogos con receptor quimérico de antígeno específico para CD19 (CABA-201) en sujetos con miopatía inflamatoria idiopática activa, del promotor Cabaletta Bio, Inc.

### **Características del ensayo**

El producto CABA-201 se dosificará como una única infusión por paciente. El ensayo se realizará en la clínica Universidad de Navarra y en el Hospital Universitario Vall d'Hebron.

### **Características del organismo modificado genéticamente**

En el ensayo clínico se utilizará el mismo organismo modificado genéticamente (OMG) que en el ensayo B/ES/24/08, autorizado por el CIOMG el 18 de junio de 2024.

El OMG, CABA-201, son células T autólogas modificadas genéticamente *ex vivo* mediante transducción con un vector lentiviral para expresar un CAR anti-CD19.

El vector lentiviral está diseñado como un lentivirus pseudotipado con la glicoproteína del virus de la estomatitis vesicular (VSV-G), de tercera generación, autoinactivante, con replicación defectuosa, que se utiliza para la integración estable del receptor quimérico CAR anti-CD19 y secuencias reguladoras asociadas.

El transgén CABA19-IC78 consta de las secuencias que codifican una cadena pesada variable y una cadena ligera variable unida a la bisagra de CD8 $\alpha$  humana, seguida por el dominio transmembrana de CD8 humano y los dominios de señalización de cadenas coestimuladores 4-1BB (CD137) y CD3 $\zeta$ .

La obtención del vector viral se realiza mediante la transfección de células con el plásmido de transferencia, que contienen la secuencia del receptor quimérico, y tres plásmidos que codifican para las proteínas gag/pol, rev y VSV-G

### **Identificación de riesgos potenciales y Evaluación del riesgo**

En la página web se puede consultar el informe de evaluación del riesgo del ensayo clínico [B/ES/24/08](#).

**En el caso de que se produzca cualquier incidencia o accidente se deberá informar de manera inmediata a la Comisión Nacional de Bioseguridad (CNB) y al Consejo Interministerial de OMG (CIOMG).**



**CONCLUSIÓN:** Se considera que en el estado actual de conocimientos y con las medidas de uso propuestas, este ensayo clínico no supone un riesgo significativo para la salud humana, la salud animal y/o el medio ambiente.

Una vez concluido el ensayo, se remitirá un informe de resultados del mismo al Consejo Interministerial de OMG (CIOMG) y a la Comisión Nacional de Bioseguridad (CNB), siguiendo el modelo de informe de resultados elaborado por la CNB, que se encuentra disponible en la [web del MITECO](#). En este informe se deberá incluir información sobre las posibles incidencias, si las hubiera. La remisión de esta información será condición indispensable para la concesión de futuras autorizaciones de ensayos con organismos modificados genéticamente.

Madrid a 29 de septiembre de 2025