



EVALUACIÓN DE RIESGO DE LA LIBERACIÓN AL MEDIO AMBIENTE DE CÉLULAS MODIFICADAS GENÉTICAMENTE (Notificación B/ES/25/38)

Título del ensayo

Ensayo de fase 1/2 de evaluación de dosis para determinar la seguridad y la eficacia preliminar de linfocitos T alogénicos anti-CD19 genomanipulados mediante CRISPR-Cas9 (CTX112) en participantes adultos con enfermedades hematológicas autoinmunitarias recidivantes o resistentes al tratamiento.

Características del ensayo

Este ensayo clínico se llevará a cabo en el Hospital Universitario Reina Sofia (Córdoba).

CTX112 es un medicamento de terapia avanzada en investigación dirigido a participantes adultos con enfermedades hematológicas autoinmunitarias recidivantes o resistentes al tratamiento y consiste en linfocitos T alogénicos humanos, derivados de donantes sanos, modificados genéticamente *ex vivo* utilizando los componentes de edición genómica de CRISPR/Cas9 y un vector vírico adenoasociado recombinante (AAVr).

El OMG se administrará una vez por vía intravenosa a los sujetos seleccionados en una concentración de al menos 1×10^8 linfocitos CAR-T+.

Organismo modificado genéticamente

CTX112, consiste en linfocitos T alogénicos humanos derivados de donantes sanos, modificados genéticamente *ex vivo* utilizando los componentes de edición genómica de CRISPR/Cas9 y un vector vírico adenoasociado recombinante (AAVr) sin capacidad de replicación. Las modificaciones génicas inactivando los genes B2M, TGFBR2 y Regnase-1 y añadiendo el casete CAR anti CD-19, tienen por objeto reducir la probabilidad de enfermedad de injerto contra huésped (EICH), mejorar la persistencia reduciendo la probabilidad de rechazo por parte del huésped y dirigir los linfocitos T modificados hacia las células que expresan CD19.

Identificación de riesgos potenciales

El OMG es el mismo que el presente en el ensayo clínico [B/ES/25/34](#) donde presentaron la evaluación del riesgo de presencia de partículas víricas libres en el producto final.

Manipulación, control y tratamiento de residuos.

El promotor se compromete a aplicar las medidas de bioseguridad que se aplican en el ensayo clínico B/ES/25/34 y que se recogen en el expediente de este ensayo.



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 3 de febrero de 2026