



GOBIERNO
DE ESPAÑA

MINISTERIO
DE DERECHOS SOCIALES
Y AGENDA 2030

SECRETARÍA DE ESTADO
DE DERECHOS SOCIALES



creer

Investigaciones y publicaciones sobre Enfermedades Raras

Julio / Agosto 2023

- **Miastenia gravis**

Una terapia CAR-T para tratar la miastenia gravis

Lancet Neurol. 2023 Jul;22(7):578-590. [https://doi.org/10.1016/S1474-4422\(23\)00194-1](https://doi.org/10.1016/S1474-4422(23)00194-1)

- **Mieloma multiple**

El CAR-T del Clínic-IDIBAPS para el mieloma múltiple es eficaz en pacientes con enfermedad resistente

Lancet Oncol 2023. [https://doi.org/10.1016/S1470-2045\(23\)00222-X](https://doi.org/10.1016/S1470-2045(23)00222-X)

- **DOCK11**

Una mutación en el gen DOCK11 explica un trastorno raro en la regulación del sistema inmunitario

N Engl J Med. 2023 Jun 21. doi: 10.1056/NEJMoa2210054

- **Hipertensión pulmonar**

Demuestran que la inhibición de la proteína antiapoptótica survivina mejora la hipertensión pulmonar en un modelo experimental

Front. Pharmacol., 24 April 2023. <https://doi.org/10.3389/fphar.2023.1145994>

- **Narcolepsia**

Un nuevo fármaco se muestra eficaz frente a la narcolepsia

N Engl J Med 2023; 389:309-321. DOI: 10.1056/NEJMoa2301940



GOBIERNO
DE ESPAÑA

MINISTERIO
DE DERECHOS SOCIALES
Y AGENDA 2030

SECRETARÍA DE ESTADO
DE DERECHOS SOCIALES



- **Glioblastoma**

Científicos malagueños avanzan en la lucha contra el glioblastoma, el cáncer cerebral más agresivo

Cancers 2023, 15(2), 531; <https://doi.org/10.3390/cancers15020531>

- **Neurofibromatosis**

Hallada una potencial terapia para retrasar la progresión de algunos sarcomas y de los tumores de la enfermedad rara neurofibromatosis

Clin Cancer Res 2023. <https://doi.org/10.1158/1078-0432.CCR-22-2462>

- **Síndrome de Crigler-Najjar**

La terapia génica es eficaz en pacientes que padecen el Síndrome de Crigler-Najjar

N Engl J Med 2023; 389:620-631. DOI: 10.1056/NEJMoa2214084

- **Leucemia mieloide crónica**

Un fármaco para la diabetes, posible terapia contra la leucemia mieloide crónica

Nat Commun 14, 4634 (2023). <https://doi.org/10.1038/s41467-023-40222-z>

- **Esofagitis eosinofílica**

Desarrollado un nuevo método no invasivo para el diagnóstico de la esofagitis eosinofílica

Clinical Gastroenterology and Hepatology. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.cgh.2023.07.023>

- **Carcinoma hepatocelular**

Nuevos avances en el análisis de los mecanismos que explican el papel dual de TGF-beta en carcinoma hepatocelular

Instituto de Investigación Biomédica de Bellvitge (Idibell)