



¿Mito o realidad?

Explore la terapia genética para la distrofia muscular de Duchenne

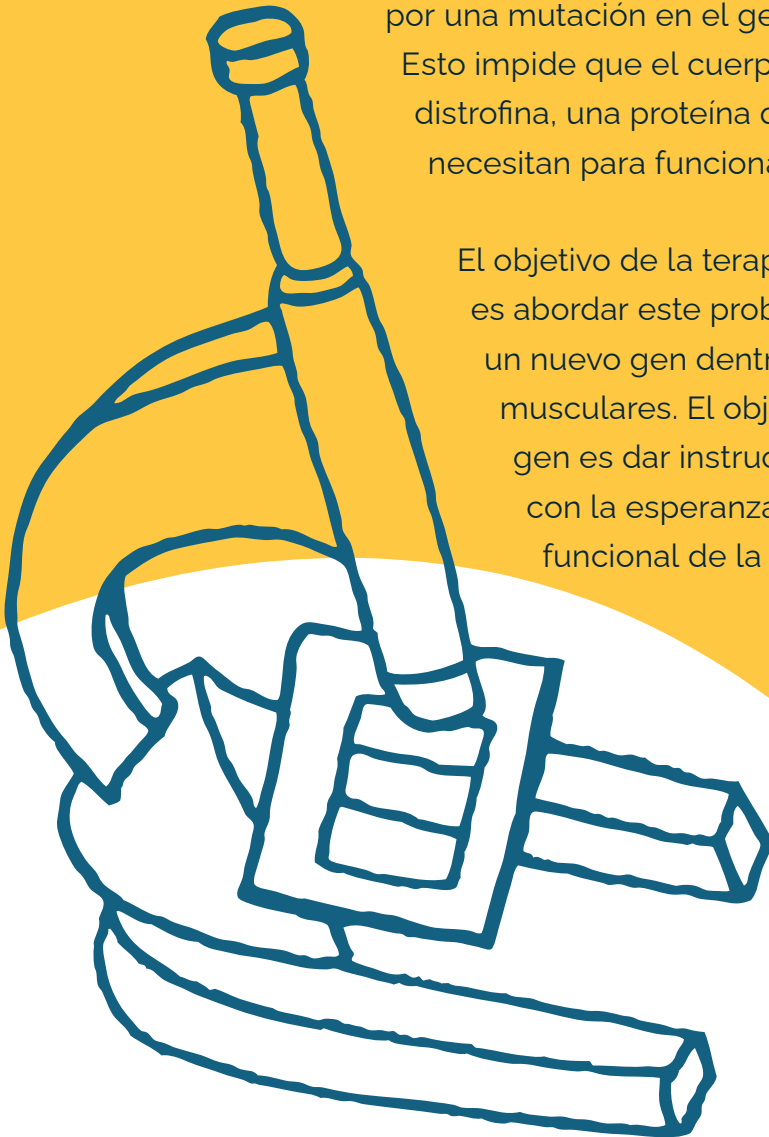
La terapia genética se ha investigado durante décadas y se está estudiando ampliamente en la distrofia muscular de Duchenne. Echemos un vistazo a la ciencia que hay detrás de la terapia genética y exploremos algunos mitos y realidades comunes.

¿Qué es la terapia genética?

La terapia genética es una forma de tratar las afecciones genéticas, que son causadas por cambios (llamados “mutaciones”) en los genes del organismo.

La distrofia muscular de Duchenne es causada por una mutación en el gen de la distrofina. Esto impide que el cuerpo produzca suficiente distrofina, una proteína que los músculos necesitan para funcionar de forma correcta.

El objetivo de la terapia genética es abordar este problema introduciendo un nuevo gen dentro de las células musculares. El objetivo de este nuevo gen es dar instrucciones a las células con la esperanza de crear una versión funcional de la proteína distrofina.

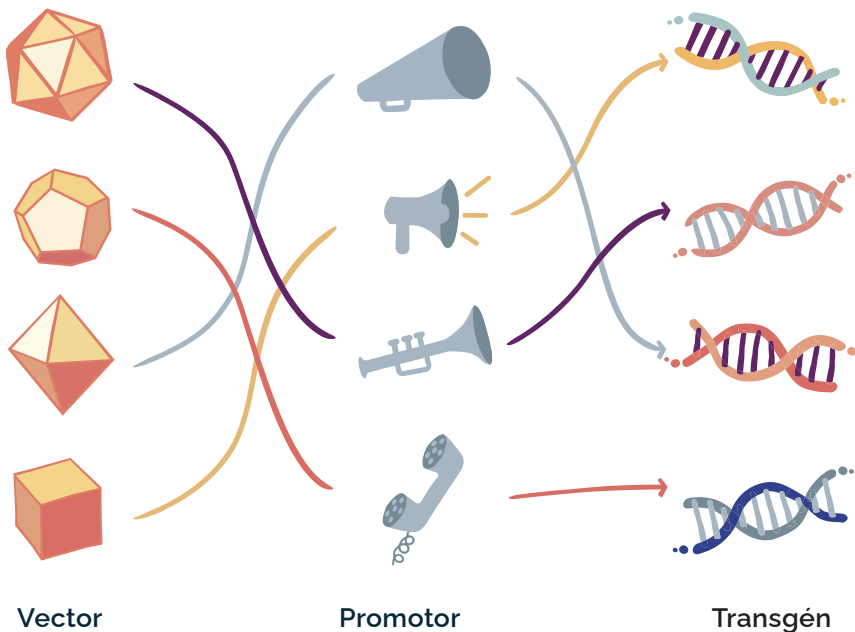


¿MITO O REALIDAD?

Todas las terapias genéticas son diferentes

Realidad

Cada terapia genética es única, incluso si está tratando la misma enfermedad, porque cada una de sus partes principales, el vector, el promotor y el transgén, es diferente. Imagínese la como si fuera una receta, en la que diferentes combinaciones de ingredientes crean un producto diferente. Los ensayos clínicos ayudan a los científicos a estudiar diferentes combinaciones y a comprender lo bien que podrían funcionar.



¿MITO O REALIDAD?

La terapia genética es una cura

Mito

Aunque algunas terapias genéticas pueden curar enfermedades, en el caso de la distrofia muscular de Duchenne, el objetivo de las terapias genéticas que se están estudiando es ralentizar o estabilizar la enfermedad.

¿Cómo funciona la terapia genética?

Cada terapia genética tiene 3 componentes principales: Un vector, un promotor y un transgén



El **vector** tiene como objetivo administrar el transgén y el promotor a las células musculares.



El objetivo del **promotor** es “encender” el transgén solo cuando está en las células correctas



El **transgén** es el nuevo gen que debe proporcionar las instrucciones necesarias para crear una versión funcional de la distrofina.

Se tienen en cuenta muchos vectores, promotores y transgenes diferentes al desarrollar una terapia genética. Estos 3 componentes están diseñados para funcionar juntos y ayudar al cuerpo a producir una nueva forma de distrofina.

¿MITO O REALIDAD?

Los vectores son como los virus

Realidad

Los vectores son similares a los virus que se producen de forma natural. Pero se han modificado para evitar que se reproduzcan o que causen una infección una vez que ya están en el cuerpo.

¿MITO O REALIDAD?

Los anticuerpos no son importantes para la terapia genética

Mito

Los anticuerpos forman parte de nuestro sistema inmunitario que ayudan a protegernos contra enfermedades al bloquear el efecto de virus y bacterias. El cuerpo produce anticuerpos cuando se expone a un virus o a una bacteria para poder combatirlos en el futuro.

Dado que los vectores son similares a los virus, si los anticuerpos relacionados con el vector están presentes en la sangre, podrían impedir que una terapia genética haga su trabajo y podría causar efectos secundarios perjudiciales. Sin embargo, los científicos están investigando formas de administrar la terapia genética incluso si una persona ya tiene anticuerpos contra el vector.

¿MITO O REALIDAD?

Actualmente, solo puede recibir terapia genética una vez.

Realidad

Actualmente, la terapia genética es un tratamiento que se administra una sola vez. Una vez que haya tomado una terapia genética, su cuerpo responderá al vector y su sistema inmunitario creará anticuerpos contra él. Estos anticuerpos pueden impedir que el tratamiento funcione si se administran una segunda vez.

¿Quién es apto para la terapia genética?

Dado que cada programa de terapia genética es único, cada uno tiene indicaciones diferentes sobre quién puede recibir el tratamiento. Esto se denomina criterios de selección.

Dos criterios clave que se aplican a grandes rasgos son la confirmación de un diagnóstico (verificado con una prueba genética) y las pruebas de anticuerpos en la sangre relacionados con el vector. Si no tiene un diagnóstico confirmado o tiene demasiados anticuerpos de vectores, es posible que no sea elegible para el tratamiento.

Muchas cosas se aplican para determinar la elegibilidad y los criterios pueden cambiar a medida que aprendemos más, por lo que siempre es mejor hablar con un médico para obtener la información más actualizada.



¿MITO O REALIDAD?

La terapia genética está destinada a muchas mutaciones

Realidad

La terapia genética no está diseñada para limitarse a 1 mutación genética específica.

¿MITO O REALIDAD?

La elegibilidad para ensayos clínicos y medicamentos aprobados siempre es la misma

Mito

Los ensayos clínicos se establecen con requisitos muy específicos sobre quiénes pueden participar para garantizar la uniformidad cuando se recopilan los resultados. Estos requisitos están estrictamente controlados. Si la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) aprueba el medicamento, las guías sobre quién podría recibirlo se incluirán en la información de prescripción. Hablar con un médico es la mejor forma de averiguar si una terapia genética es la opción correcta.

¿Busca más?

- Puede encontrar información detallada sobre la terapia genética de la distrofia muscular de Duchenne en **Duchenne.com/genetherapy**
- Si está buscando más información sobre la terapia genética para todas las enfermedades, visite la *American Society of Gene and Cell Therapy* en **patienteducation.asgct.org**

