

Guía sobre la terapia genética

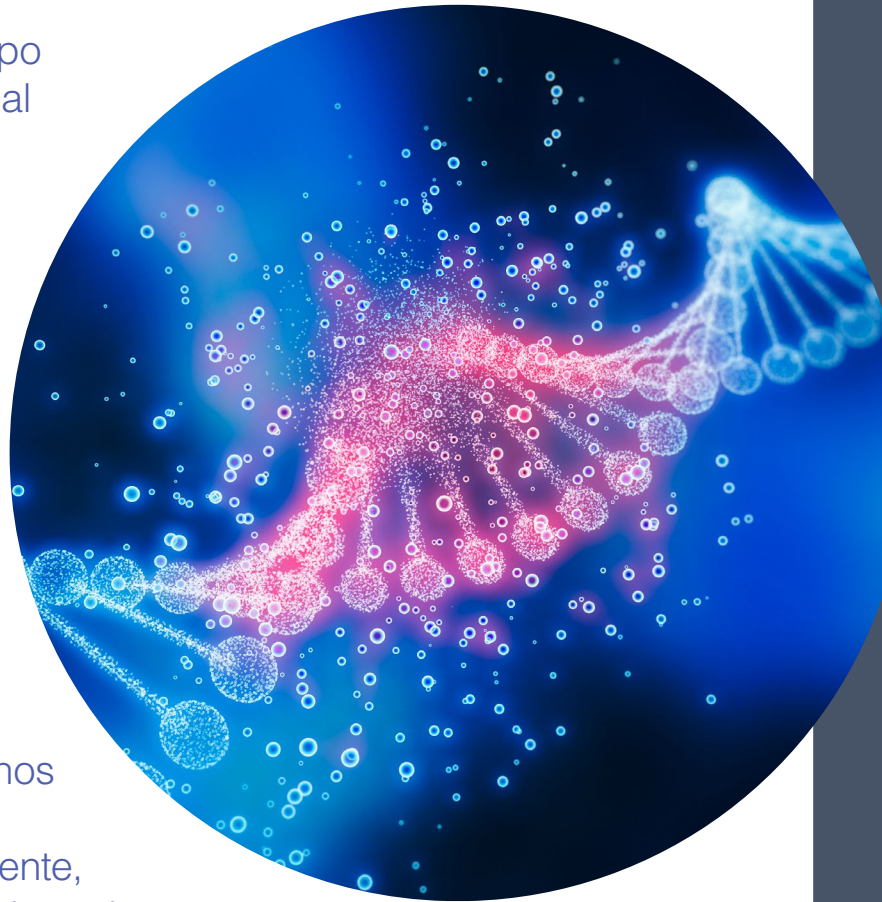
Para individuos y familias

Qué esperar antes, durante y después

La terapia genética es un nuevo tipo de tratamiento que introduce material genético específico en células afectadas para tratar o desacelerar la progresión de una enfermedad genética. El proceso de recibir un tratamiento de este tipo involucra una atención compleja que suele prolongarse varios meses, por lo que los pacientes y sus familias deben comprender bien cada paso. Tenga en cuenta que, aunque este documento describe el proceso general de la terapia genética en pasos antes, durante y después de la administración, algunos podrían ocurrir al mismo tiempo, y muchos son únicos para cada paciente, de modo que diferirán de un paciente a otro.

Antes de recibir el tratamiento de terapia genética, es importante que plantee todas las preguntas que pueda tener sobre la terapia y cómo encaja en su plan de tratamiento general. El tratamiento de terapia genética conlleva riesgos potenciales, algunos de ellos muy graves. Su equipo de atención médica le explicará la terapia y analizará en detalle los posibles riesgos y beneficios de esta. En general, recibir terapia genética es un proceso de varios pasos con muchos detalles intrincados, pero su médico y su equipo de atención médica lo guiarán en cada paso para garantizarle una experiencia segura.

El proceso de recibir un tratamiento de terapia genética involucra una atención compleja que suele prolongarse durante varios meses.



DESCARGO DE RESPONSABILIDAD: Este documento busca informar y educar a la comunidad. La información presentada no pretende sustituir las conversaciones con su proveedor de atención médica y no es ni debe considerarse un consejo médico. Converse con su equipo de atención médica y/o compañía de seguros para obtener información específica para usted.





Antes de la administración

- Confirme el diagnóstico genético.
 - > Si no está diagnosticado, complete las pruebas genéticas.
 - > Confirme la compatibilidad del paciente (edad, tipo de mutación) con la etiqueta del medicamento.
 - > Comprenda los riesgos.
 - > Si es aplicable en su centro, lea el consentimiento informado en su totalidad.
- Complete los análisis de referencia necesarios para la presentación al seguro, la selección y la optimización de la atención tras la infusión.
- Complete las pruebas iniciales adicionales, si corresponde.
- Formule al médico y al equipo de atención médica cualquier pregunta que le quede pendiente.
- Determine los planes posteriores a la administración y para el cuidador, incluidos los planes para pasar la noche en el hospital y los planes para que la familia permanezca cerca del centro de tratamiento, etc.
- Complete la medicación previa a la infusión, si procede.

Día de la administración

- Siga todas las instrucciones que le proporcione su equipo de atención médica, incluida la necesidad de medicamentos adicionales previos al tratamiento.
- Reciba una única infusión, que puede durar desde unos minutos hasta unas horas, realizada por personal médico en el centro de tratamiento.

Después de la administración

- Siga monitorizando los problemas relacionados con la recepción de la infusión.
- Complete la medicación posterior a la infusión, según corresponda, para controlar cualquier posible efecto secundario.
- Cumpla con la monitorización de la función hepática y cardíaca según lo especifique el equipo de tratamiento.

- Continúe con todos los análisis necesarios para evaluar el estado general de su salud.
- A veces, los pacientes pueden necesitar la colocación de un catéter central de inserción periférica (PICC, por sus siglas en inglés) para ayudar a controlar el tratamiento después de la infusión.
- Controle la excreción del vector viral. La excreción es el proceso por el cual el organismo elimina los vectores virales utilizados en la terapia genética. Asegúrese de que todos los cuidadores tomen las precauciones adecuadas para evitar el contacto con el vector viral de las secreciones del paciente.
- Complete cualquier análisis de laboratorio adicional hasta 36 o más semanas después de la administración, según lo recetado por el médico, incluido el control adicional según surja la necesidad durante el período posterior a la monitorización.
- Vigile cualquier cambio e informe al equipo de tratamiento.
- Comprenda la importancia de vigilar su estado; manténgase en estrecho contacto con el equipo de atención médica que le administra el tratamiento, garantizando un seguimiento y una comunicación frecuentes.
- Continúe con toda la terapia y los cuidados necesarios para el trastorno genético subyacente: la terapia genética puede ser muy eficaz, pero no elimina la necesidad de una atención continua.



El MDA Resource Center está disponible de lunes a viernes, de 9 a.m. a 5 p.m. CT. Las respuestas a las consultas se pueden esperar dentro de uno o dos días hábiles. Los servicios de MDA solo están disponibles en Estados Unidos. Si vive fuera de EE. UU., podemos ponerle en contacto con grupos dedicados a la distrofia muscular en su región.



Consideraciones importantes

- Es importante entender que completar un “formulario de inicio” de paciente no significa que su compañía de seguros lo haya preautorizado y/o aprobado para recibir el tratamiento de terapia genética; el formulario de inicio solo es el comienzo de dicho proceso.
- Recibir la autorización previa de su compañía de seguros puede tomar semanas, y a veces meses, para reunir toda la información necesaria y completar el papeleo.
- Las denegaciones del seguro a lo largo del proceso son normales y de esperar. Para obtener ayuda sobre las denegaciones del seguro, consulte el taller **MDA's Access to Coverage: Insurance**, comuníquese con el MDA *Resource Center* o trabaje con su equipo de atención médica.

Por teléfono:

1-833-ASK-MDA1 (1-833-275-6321)

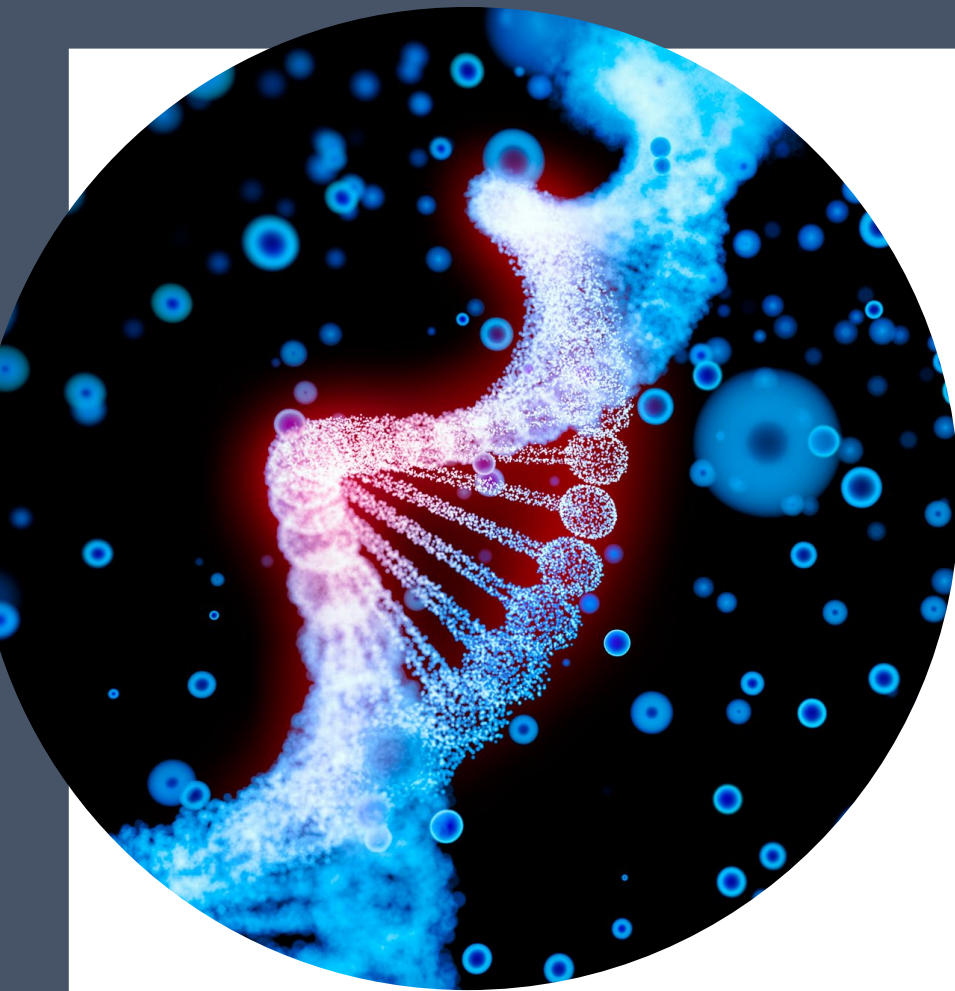
Por correo electrónico:

ResourceCenter@mdausa.org

- No todas las personas cumplen con los requisitos para recibir terapia genética. Las limitaciones por edad, nivel funcional, anticuerpos preexistentes, etc., se toman en cuenta para la elegibilidad y pueden diferir entre los planes de seguro.
- La elegibilidad para recibir terapia genética puede cambiar. Es importante que confirme con el médico que le administra el tratamiento y con su proveedor de seguro médico que usted cumple con los requisitos para el tratamiento.

- Si no está apto para recibir terapia genética, hable con su médico sobre otras opciones de tratamiento que puedan estar disponibles para usted.
- Las pruebas de anticuerpos pueden realizarse varias veces durante este proceso, dependiendo del médico que le administre el tratamiento, del proveedor de seguro médico y de la etiqueta del producto (por ejemplo, la etiqueta podría exigir una prueba negativa en los 30 días siguientes al tratamiento).
- Ser elegible para recibir terapia genética NO significa que usted sea el siguiente en la lista de su centro de tratamiento. El proceso es complejo y puede tomar tiempo. Los centros de tratamiento tendrán una capacidad limitada para tratar a los pacientes de forma segura. Tomará tiempo tratar a todos los pacientes que cumplen con los requisitos.
- No envíe por fax ninguna información médica al consultorio de su médico gestor. Lo mejor es enviarla por correo electrónico seguro y rastreable, preferiblemente a través del sistema de historias clínicas electrónicas de ese sistema de salud.
- Los laboratorios farmacéuticos no tienen acceso a la información de los historiales médicos de los pacientes en posesión de los médicos tratantes. Las compañías de seguros sí tienen acceso a la información médica.
- La terapia genética puede tener reacciones adversas y provocar la muerte. Asegúrese de comprender los riesgos y cómo pueden minimizarse o controlarse de forma óptima.
- Es importante determinar un plan para el fin de vida antes de la administración de la terapia genética a fin de contribuir al avance de la investigación y los tratamientos para futuros pacientes. Esto puede hacerse determinando la participación en una autopsia y/o mediante la donación del cuerpo. Complete un formulario de consentimiento de autopsia antes de la administración.





La participación de MDA en la terapia genética

MDA ha invertido más de 125 millones de dólares en el desarrollo de terapia genética (GTx, por sus siglas en inglés) para enfermedades neuromusculares en los últimos 20 años. Con nuevas aprobaciones de medicamentos de terapia genética en trámite, MDA busca ayudar a facilitar el acceso y proporcionar apoyo y educación a la comunidad de familias con enfermedades neuromusculares.

**Por teléfono: 1-833-ASK-MDA1
(1-833-275-6321)**

**Por correo electrónico:
ResourceCenter@mdausa.org**

Apoyo a la terapia genética de MDA

MDA *Gene Therapy Support Staff* está disponible de lunes a viernes, de 9 a.m. a 5 p.m. CT. Las respuestas a las consultas se pueden esperar dentro de uno o dos días hábiles. Los servicios de MDA solo están disponibles en Estados Unidos. Si vive fuera de EE. UU., podemos ponerle en contacto con grupos dedicados a la distrofia muscular en su región.

REFERENCIAS

American Society of Gene and Cell Therapy

patienteducation.asgct.org/gene-therapy-101/gene-therapy-approaches

Administración de Drogas y Alimentos de los Estados Unidos (FDA)

[fda.gov/consumers/consumer-updates/how-gene-therapy-can-cure-or-treat-diseases](https://www.fda.gov/consumers/consumer-updates/how-gene-therapy-can-cure-or-treat-diseases)

Este documento ha sido elaborado con la colaboración de Barry J. Byrne, MD, PhD, Universidad de Florida; John W. Day, MD, PhD, Universidad de Stanford; Natalie Goedeker, MSN, CPNP, Universidad de Washington en St. Louis; y Julie Parsons, MD, Children's Hospital of Colorado.

DESCARGO DE RESPONSABILIDAD: Este documento busca informar y educar a la comunidad. La información presentada no pretende sustituir las conversaciones con su proveedor de atención médica y no es ni debe considerarse un consejo médico. Converse con su equipo de atención médica y/o compañía de seguros para obtener información específica para usted.

