

# Mitos y verdades de la terapia genética

**Las terapias genéticas** usan material genético para tratar o prevenir enfermedades. Los genes contienen las instrucciones para fabricar las proteínas que necesita nuestro organismo.

La alteración de cualquier gen que provoque la falta de instrucciones o instrucciones anormales puede afectar al funcionamiento de nuestro organismo. La terapia genética involucra el uso de un vector que es como una especie de sobre que permite entregar los materiales genéticos necesarios (el “paquete”) para restaurar o mejorar las instrucciones para la fabricación de proteínas.

La terapia genética ofrece esperanza a muchas personas que padecen enfermedades neuromusculares, Aún se desconoce

mucho sobre este tipo de terapia, incluidos los riesgos a largo plazo. Los pacientes y sus cuidadores deben conocer perfectamente estos riesgos y desafíos únicos antes de decidirse por la terapia genética.

Las listas siguientes contienen verdades y mitos no demostrados. Comprender los hechos científicos puede ayudarle a aprovechar las terapias genéticas de la mejor manera posible.



## Verdades

Estas afirmaciones son verdaderas:

- Los investigadores no han determinado cuánto tiempo durarán los efectos de los tratamientos de terapia genética ni el alcance de los beneficios a lo largo del tiempo.
- Entre los factores que pueden influir en la eficacia y durabilidad de las terapias genéticas se incluyen la edad, la dosis de tratamiento y la progresión de la enfermedad.
- La terapia genética se dirige a células específicas.
- La composición genética básica de una persona permanece inalterada; solo cambiarán las células a las que se dirige la terapia.
- No todas las personas pueden recibir terapia genética. La edad, el nivel funcional, los anticuerpos preexistentes, etc., pueden ser factores determinantes.
- Los primeros estudios muestran que la terapia genética puede desacelerar la progresión de algunas enfermedades.
- Recibir terapia genética puede afectar al acceso posterior a otros tipos de tratamiento.
- Los efectos a largo plazo de la terapia genética siguen siendo desconocidos debido a la escasez de datos disponibles.
- La terapia genética afecta a cada persona de forma diferente y puede provocar efectos secundarios graves o incluso la muerte en algunos casos.
- Las terapias genéticas requieren meses de seguimiento y tratamiento de los efectos secundarios tras la infusión del tratamiento.
- La terapia genética es irreversible y puede provocar cambios permanentes en el organismo.
- En las dos últimas décadas, MDA ha invertido más de 125 millones de dólares en terapias genéticas para numerosas enfermedades neuromusculares, desde investigación científica básica hasta ensayos clínicos.
- Las inversiones de MDA han llevado al desarrollo de terapias genéticas listas para la administración clínica para enfermedades como la atrofia muscular espinal (AME) y la distrofia muscular de Duchenne (DMD), con muchas más en fase de desarrollo de medicamentos.
- En 1999, investigadores financiados por MDA llevaron a cabo el primer ensayo clínico de terapia genética en humanos para la distrofia muscular.

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.



## Mitos

Estas afirmaciones son falsas:

- La terapia genética es una cura.
- La terapia genética es sencilla.
- La terapia genética es reversible.
- La terapia genética tiene resultados beneficiosos garantizados.
- Los tratamientos de terapia genética aún no han demostrado su valor clínico.
- La terapia genética está disponible para tratar a todas las personas con un diagnóstico de enfermedad neuromuscular.
- Cualquier médico puede recetar un tratamiento de terapia genética de forma segura.



## 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](mailto: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.

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.

