



Rocío Cárdenas, mamá de Julián Carvajal, está desesperada y también está esperanzada buscando ayuda para salvar la vida de su hijo aquejado de una enfermedad neurodegenerativa llamada Distrofia Muscular de Duchenne, que implica un deterioro progresivo de la salud muscular de los niños. Este malestar comienza con un debilitamiento, que se hace evidente desde la temprana infancia. El joven es de Puerto Varas.

Julián, el mayor de cuatro hermanos, fue diagnosticado con esta enfermedad a los 8 meses y su misma condición implicó algunos atrasos en destrezas como aprender a caminar, lo que hizo desde cuando tenía un año y seis meses y hasta los 11 años, cuando ya sus músculos no lo soportaron y, en mayo del 2020, en plena pandemia, Julián dejó de caminar y comenzó a ser usuario de silla de ruedas.

Rocío Cárdenas cuenta: “Para el Duchenne no había ningún tipo de tratamiento, o sea, había tratamientos que desafortunadamente no eran aptos para la mutación que él tiene porque el Duchenne también se manifiesta en mutaciones, y todos los niños tienen diferentes mutaciones, y Julián tiene una mutación muy particular que es única en el mundo y estamos en una campaña para lograr recaudar \$3.500 millones que es lo que vale la terapia génica que se llama Elevidys, misma terapia génica que va a recibir Tomás Rosas, el niño de la caminata”.

“De hecho, hasta hace unos meses atrás, la enfermedad no tenía cura y el 20 de junio de este año se aprobó la terapia génica para la edad de Julián, porque antes era para edades más pequeñas y niños que caminaban. Desgraciadamente, los medicamentos que había disponibles no eran compatibles con la mutación que él tiene y nosotros seguíamos esperando hasta que el 2023 apareció la terapia génica y él cumplía con todos los requisitos, excepto, con la edad y con el tema de caminar. Pasado un año, el 20 de junio de 2024, la FDA le

aprobó al laboratorio Sareptha Therapeutics que el medicamento sea apto para niños más grandes y ese fue el día más feliz de nuestras vidas, pero también el día en que tuvimos más miedo, por el precio, por lo difícil que es adquirirlo”.

#### CONTRA EL RELOJ

“La terapia génica es una vacuna que se coloca una vez en la vida de los niños y podrían recuperar parte de lo que han perdido y la enfermedad se frena, ya no avanza. El Ministerio de Salud no se va a hacer cargo de las terapias génicas, Julián está en esta situación y hay otros niños de otras regiones que están en lo mismo y, afortunadamente sus alcaldes tomaron los casos y ellos están gestionando y haciendo cosas. Aquí aún no y esperamos que, en algún momento, Don Tomás (Gárate) pueda colaborar, aunque sea con difusión. Créame que aunque sea difundir para nosotros es algo grande”, dice la madre de Julián.

“La urgencia es que desgraciadamente la vida de Julián corre peligro porque él ya tiene una edad bastante avanzada, ya va a cumplir 16 años y la enfermedad puede llevarse a los niños antes de los 20 años, entonces Julián está contra el tiempo y necesita el medicamento para poder salvar su vida”, explica Rocío.

La terapia se realiza en Estados Unidos. “Tiene que estar alrededor de 26 días hospitalizado. Los primeros 15 días donde los médicos le pueden tomar muestras, le toman exámenes y preparan al paciente, al día 15 le inyectan la terapia génica y tiene que estar 10 días en cuarentena porque le inyectan un adenovirus y tiene que estar totalmente aislado”, señala su madre.

“Estamos contra el tiempo, Julián necesita este medicamento para seguir viviendo y aun no llegamos a reunir ni siquiera \$2 millones. Confío en la generosidad de la comunidad puertovarina y de la comunidad de la zona para lograr que Julián pueda seguir viviendo”, comenta.