

Es la terapia que necesita el hijo de Camila Gómez, que viaja caminando desde Ancud a Santiago para conseguirlo

Médico explica qué es Elevidys y por qué vale 3,5 millones de dólares

CAMILA FIGUEROA

Camila Gómez comenzó una caminata desde Ancud hasta Santiago con el fin de reunir los 3,5 millones de dólares que cuesta la única terapia que ha demostrado su potencial beneficio clínico en pacientes con Distrofia Muscular de Duchenne, la enfermedad genética que afecta a su hijo de cinco años.

La terapia Elevidys, desarrollada por la farmacéutica Serepta Therapeutics, fue aprobada en junio del año pasado por la Food and Drug Administration (FDA) de Estados Unidos, que es la agencia que regula los medicamentos en ese país.

Enrique Brandan, investigador de la Fundación Ciencia y Vida, participó en el Congreso Internacional de Biología que se realizó en París, Francia, donde los científicos abordaron los desafíos de la única terapia en el mundo con carácter curativo para la Distrofia Muscular de Duchenne. En estricto rigor, cuenta Brandan, quien también es académico de la Univer-

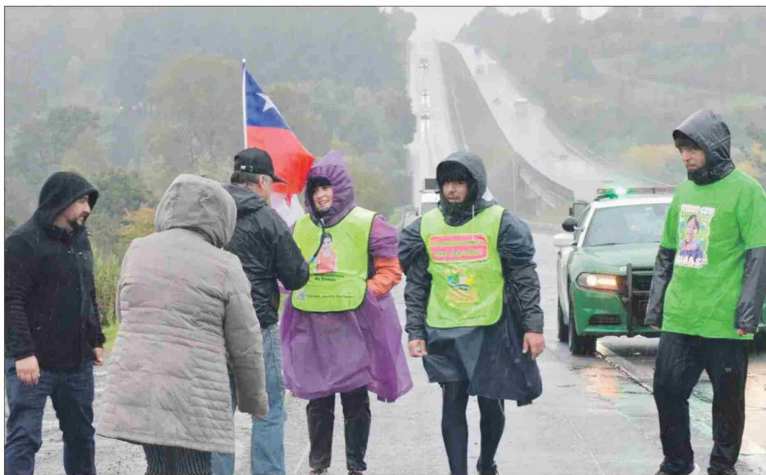
Enrique Brandan, investigador de la Fundación Ciencia y Vida, conoce los efectos de esta terapia, aprobada por la FDA de Estados Unidos.

sidad San Sebastián, aquella distrofia es una enfermedad genética que se caracteriza por la ausencia de un gen que produce una proteína llamada distrofina. Cuando el cuerpo humano no es capaz de producir esa proteína, menciona Brandan, los músculos comienzan a debilitarse.

“La distrofina se encuentra debajo de la membrana de las fibras musculares. Es parecido a un amortiguador. Entonces, cuando uno hace fuerza esas fibras musculares se contraen y la distrofina actúa como un amortiguador para que no se rompan los músculos. Si no hay distrofina las fibras se van rompiendo y se genera necrosis. Además, como esas fibras se regeneran se va generando fibrosis, es decir, un músculo lleno de cicatrices”, explica Brandan, quien agrega que los pacientes suelen tener una calidad de vida deteriorada y que fallecen, en promedio, a los 30 años debido a problemas cardíacos.

¿Qué hace la terapia, doctor Brandan?

“Es una terapia génica. Eso significa que a través de una inyección intravenosa se le administra al pa-



Camila ha reunido más de 3 mil millones de pesos.

ciente un gen elaborado en un laboratorio, que permite que el organismo produzca microdistrofina, que es una proteína similar a la distrofina, pero con un peso molecular mucho menor”.

¿Por qué es más chica que la natural?

“Porque no es llegar e inyectarle un gen artificial a una persona. Para explicarlo en palabras simples, pensemos que ese gen se inyecta con un vehículo y en este tipo de tratamientos el vehículo que se suele utilizar es un virus llamado adenovirus, pero

que está inactivo y solo se usa como un transportador. El adenovirus tiene un límite, entonces, no se le puede poner un gen muy grande porque no aguanta. Lo que hicieron los desarrolladores fue crear un gen más pequeño que produce una proteína más pequeña. Por eso se llama microdistrofina y no distrofina”.

¿Y por qué es tan cara la terapia, doctor?

“Por el proceso de fabricación, que es el resultado de una investigación de unos 30 años. Acá hay biología celular, ingeniería genética,

El doctor Brandan dice que el medicamento tiene un buen pronóstico.

virología, medicina, estudios clínicos y preclínicos. Imagínese que cuando uno habla de un medicamento sofisticado significa que hubo una fase diez a quince años de investigación. Esta es una terapia que debe ingresar a los 640 músculos que tenemos y tiene que mantenerse en el tiempo porque es una sola inyección en la vida. Además, las farmacéuticas tienen patentes que pueden durar entre 10 y 20 años, luego de eso pasan a ser públicas, por lo que deben generar ganancias en ese tiempo acotado. Otra cosa importante es que la Distrofia Muscular de Duchenne es una enfermedad genética poco frecuente, por lo que los pacientes también son acotados. Todo eso influye”.

¿Cómo lo hacen en Estados Unidos para pagar tanto?

“Sin duda tienen más dinero que los chilenos, pero no es que no les cueste. En Estados Unidos el sistema de salud funciona con seguros. Los seguros pagan la terapia”.

¿Qué dijeron los científicos sobre esta terapia?

“Es una terapia promisoriosa. Creo que estamos a cinco años o diez de observar los resultados claros en niños que podrían vivir muchos años y con una vida bastante normal”.