

# The Future is Now

by *Jana von Hehn, PhD* | August 7, 2018

## El futuro es ahora

por *Jana von Hehn, PhD* | 7 de agosto de 2018

La doble hélice del ADN se postuló por primera vez como elemento esencial de la vida por Watson y Crick en su influyente artículo de 1953. Su descubrimiento impulsó una revolución en biología molecular en los siguientes 65 años, y llevó a la comprensión de la biología humana, las enfermedades humanas y nuestra manipulación de las mismas. Sin embargo, tan solo hace unos pocos años, incluso con avances significativos en este campo, la idea de una terapia genética para tratar o curar un desorden se pensaba como un suelo de ciencia ficción distante. **Pues, bienvenidos al futuro.**

La FDA ha aprobado tres productos distintos de terapia genética en el último año. Con terapias genéticas que persiguen enfermedades autoinmunes, cardiopatías, cáncer, VIH/SIDA y desórdenes genéticos, y con avances en nuevas tecnologías de manipulación genética como CRISPR, la FDA está expandiendo cómo usar la terapia genética como un enfoque medicinal novedoso. El 11 de julio de 2018, el médico Scott Gottlieb, Comisionado de la FDA, anunció las nuevas directrices para la estandarización de las prácticas de las empresas en el desarrollo y avance de los programas de terapia genética. La FDA reconoce que existen retos en la terapia génica que no ha se encontraban en medicinas previas y se comprometen a modernizar su enfoque a las terapias génicas para adaptarse a estos retos.

El principal objetivo de la FDA es asegurar que los productos que llegan al Mercado sean seguros y efectivos a la vez. Incluso con los 3 primeros éxitos en el tratamiento de enfermedades con terapia génica, hay mucho que aprender, especialmente sobre los efectos a largo plazo como son la durabilidad, los efectos secundarios y los potenciales efectos no buscados, y eso solo se verá con el tiempo. Para el desarrollo de programas de terapia génica, la incertidumbre de largo plazo es un nuevo dilema, pero **la FDA está usando una nueva mirada para acomodarse al hecho de que no todo se puede saber en un marco de tiempo razonable para una petición de aprobación de comercialización sin reprimir su desarrollo.** Un seguimiento de largo plazo robusto se puede conseguir mediante el requerimiento de un desarrollo continuo en términos de optimización de seguridad y eficacia a través de ensayos clínicos adicionales tras la aprobación de la comercialización. Independientemente de cómo elija la FDA tratar este seguimiento de largo plazo, siguen comprometiéndose a promover un desarrollo de producto seguro

y efectivo mediante un camino regulatorio que mantenga los mismos criterios de referencia en terapia génica que usa con otros tipos de medicinas.

**Una de las nuevas posibles directrices está dirigida a la terapia génica para enfermedades raras, lo que aplicaría al Síndrome de Rett.** Más de 25 millones de americanos están afectados por una enfermedad rara, con un 80% de los mismos causada por un desorden genético único, con un 50% que afectan a niños, y casi ninguna tiene tratamientos efectivos. Las directrices subrayan el punto de vista actual de la FDA en el desarrollo de estudios no-clínicos (estudios no-humanos) y sobre diseños de ensayos clínicos, y ha distribuido una versión preliminar para que el público pueda opinar y asegurar así que se están considerando todos los ángulos del desarrollo de terapia génica, y que las directrices serán lo suficientemente minuciosas para abarcar cuanto más desarrollo de terapia génica posible. En las directrices preliminares la FDA reconoce algunas de las características únicas que enfrentan las enfermedades raras, como el limitado número de afectados, la viabilidad, la seguridad y cómo medir la eficacia; las directrices están pensadas para ayudar a las empresas a afrontar estos aspectos clave. Frente a la incertidumbre y los retos tanto conocidos como desconocidos de la terapia génica, la FDA no solo está presente, sino que se ha adaptado a este campo de investigación novedoso y se ha comprometido con su éxito, tal y como ha declarado el doctor Gottlieb: *“La terapia génica representa una de las oportunidades más prometedoras para desarrollar tratamientos altamente efectivos e incluso curativos para muchas enfermedades apremiantes. Seguro que algunos de estos productos van a cambiar los límites de la práctica médica, así como el destino de pacientes con algunas enfermedades debilitantes”.*

Estamos en una nueva era de la medicina. **¿Estáis preparados?**