

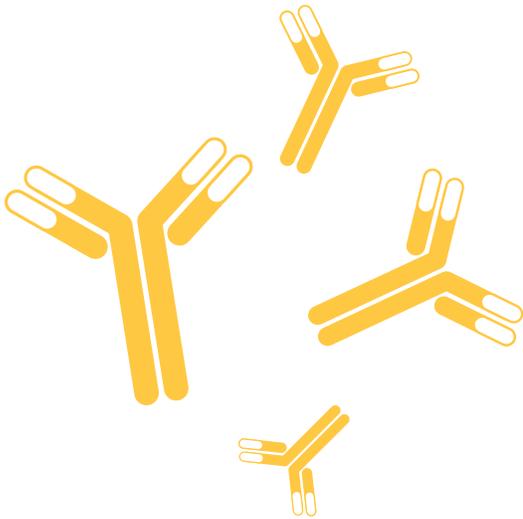
Pruebas de anticuerpos y terapia genética: ¿Cuál es la conexión?

Es posible que haya oído que uno de los criterios de selección comunes para la terapia genética en la distrofia muscular de Duchenne requiere la medición de un tipo específico de anticuerpo en la sangre. ¿Qué es y por qué?

Veamos más detenidamente.



¿Qué son los anticuerpos?



Los anticuerpos son una parte importante del sistema inmunitario. Su trabajo es ayudar a proteger contra enfermedades, incluidos los virus, al bloquear su efecto en el cuerpo. Cuando alguien ha estado expuesto a un virus, el sistema inmunitario del cuerpo crea anticuerpos específicos que ayudan a combatir el virus.

Los anticuerpos pueden permanecer en el organismo durante mucho tiempo, incluso después de que alguien se recupere de un virus. Esto ayuda al organismo a combatir el mismo virus o uno similar si vuelve a aparecer.

¿Por qué los anticuerpos son importantes para la terapia genética?

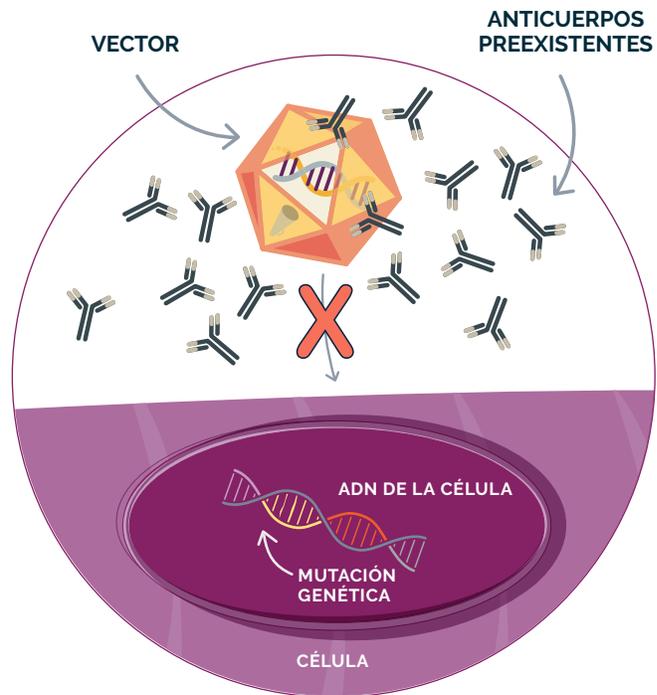
Cada terapia genética tiene 3 componentes clave, uno de los cuales se denomina *vector*. El trabajo del vector es entregar los otros dos componentes (el *promotor* y el *transgén*) a las células en el organismo.

Los vectores son similares a los virus que se producen de forma natural. Al igual que los virus, son capaces de ingresar de forma selectiva en las células y entregar material genético. A diferencia de los virus, se han modificado para evitar que se multipliquen o causen una enfermedad.

Si alguien ha estado expuesto a un virus similar al vector de una terapia genética, es posible que ya haya anticuerpos que reconozcan el vector en la sangre de la persona. Estos se denominan anticuerpos preexistentes.

Si hay demasiados de estos anticuerpos específicos, pueden atacar al vector e impedir que la terapia genética se suministre a las células. También podrían causar efectos secundarios perjudiciales.

Es importante hacer un análisis de sangre para buscar los anticuerpos específicos que reconocen ese vector. Si los niveles de anticuerpos son demasiado altos, probablemente el tratamiento no sea posible.



Tres términos que se pueden reconocer en relación con los niveles de anticuerpos:

TÍTULO

Una medición de la cantidad de anticuerpos en una muestra de sangre que puede reconocer un vector específico

SEROPOSITIVO

Los anticuerpos preexistentes se detectan a niveles superiores al límite determinado (elevado), lo que significa que la terapia genética no es una opción

SERONEGATIVO

No se detectan anticuerpos preexistentes, o están en niveles por debajo del límite determinado (no elevados)

¿Cómo se detectan esos anticuerpos específicos?



Dado que cada terapia genética es diferente, cada una tiene su propia prueba única, denominada *ensayo*, que es específica de esa terapia. No existe una prueba universal que mida los anticuerpos entre las terapias. Incluso si 2 terapias genéticas utilizan el mismo vector, puede haber otros criterios que determinen si alguien es seropositivo o seronegativo. Por eso es tan importante que los médicos soliciten la prueba de anticuerpos específica de la terapia al evaluar la elegibilidad para una terapia genética concreta.

¿Cambian los niveles de anticuerpos preexistentes con el transcurso del tiempo?

Sí. Los niveles de anticuerpos pueden aumentar o mantenerse igual, pero rara vez disminuyen; si lo hacen, a menudo no es en una cantidad significativa. Por lo tanto, incluso si los resultados de una persona son seronegativos, podrían ser positivos en el futuro.

Por eso es importante hacer pruebas justo antes de recibir la terapia. Cada terapia genética tiene reglas diferentes sobre la cantidad de anticuerpos específicos que son aceptables. Un médico le explicará esas directrices y si una terapia genética puede ser adecuada o no.

¿Qué sucede si el resultado de la prueba es seropositivo?



Si la prueba de anticuerpos de alguien resulta seropositiva, no son aptos para esa terapia genética en particular. Sin embargo, esto no significa necesariamente que no serán aptos para las demás terapias genéticas. Recuerde que cada terapia genética es diferente y tiene su propia prueba, por lo que hablar con un médico sobre las opciones disponibles es un buen próximo paso.

Los grupos de defensa del paciente también pueden ser un gran recurso para aprender sobre otras opciones de tratamiento y encontrar apoyo general. Puede encontrar una lista de organizaciones en [Duchenne.com](https://www.duchenne.com) en la sección Recursos de la comunidad.

Además, los investigadores están explorando activamente si existe una manera de hacer que un vector supere estos anticuerpos preexistentes sin activar una alarma del sistema inmunitario. Mientras que muchos se encuentran en las primeras etapas de investigación, algunas de las ideas incluyen posibles tratamientos para descomponer o filtrar anticuerpos específicos en la sangre, diseñar vectores que puedan escabullirse de los anticuerpos sin ser detectados y nuevos vehículos de administración que puedan esconderse del sistema inmunitario.

Encuentre más información sobre anticuerpos y terapia genética en [Duchenne.com/genetherapy](https://www.duchenne.com/genetherapy)



© 2023 Sarepta Therapeutics, Inc.
215 First Street, Cambridge, MA 02142.
Todos los derechos reservados. 03/23
C-NP-US-1813 SAREPTA, SAREPTA THERAPEUTICS,
y el logotipo helicoidal de SAREPTA son marcas
comerciales de Sarepta Therapeutics, Inc.
registradas en la Oficina de Patentes y Marcas
Comerciales de EE. UU., y pueden estar registradas
en varias otras jurisdicciones.

