

Distrofinopatías: conceptos actuales sobre las estrategias terapéuticas antisentido.

Ensayos clínicos

Virginia Arechavala-Gomeza

La distrofia muscular de Duchenne es la enfermedad neuromuscular más habitual en niños. Está causada por mutaciones en el gen *DMD* que impiden la producción de la proteína distrofina. El déficit de esta proteína hace que se pierda masa muscular y esta pérdida provoca debilidad y muerte prematura.

Hasta hace muy poco, los fármacos presentes en el arsenal terapéutico solo podían intentar paliar las consecuencias de ese déficit de distrofina, pero ensayos recientes con terapia antisentido han demostrado que es posible reponer distrofina en el músculo de pacientes de DMD, lo cual abre las puertas a un posible tratamiento curativo en el futuro. En menos de una década se ha pasado de los primeros experimentos a los ensayos clínicos y la distrofia muscular de Duchenne es el espejo en el que se miran muchas otras enfermedades neuromusculares, pero todavía queda camino por recorrer. En esta charla describiremos el camino ya recorrido y los obstáculos que aún quedan por solventar.

*Todos los derechos de propiedad intelectual son del autor. Queda prohibida la reproducción total o parcial de la obra sin autorización expresa del autor.

© FUNDACIÓN RAMÓN ARECES. Todos los derechos reservados.

**All intellectual property rights belong to the author. Total or partial reproduction of the work without express permission of the author is forbidden.*

© FUNDACIÓN RAMÓN ARECES. All rights reserved.