

## Cartas al Editor

1. Universidad Libre, Cali - Colombia
  2. Centro Médico Imbanaco, Cali – Colombia
- a. Médico, Magíster en epidemiología
  - b. Doctorando en Salud Pública
  - c. Médico General

Recibido: 05/01/2024

Aprobado: 15/02/2024

## Correspondencia:

Juan Santiago Serna-Trejos  
[juansantiagosernatrejos@gmail.com](mailto:juansantiagosernatrejos@gmail.com)

## Citar como:

Prado-Molina DG, Serna-Trejos JS, Quijano-Navarrete M. Primera terapia por edición génica en anemia de células falciformes: dilemas bioéticos. Rev Hisp Cienc Salud. 2024; 10(1): 53-54. DOI: [10.56239/rhcs.2024.101.717](https://doi.org/10.56239/rhcs.2024.101.717)

# Primera terapia por edición génica en anemia de células falciformes: dilemas bioéticos

## *First gene-editing therapy in sickle cell disease: bioethical dilemmas*

Diego Gerardo Prado-Molina<sup>1a</sup>; Juan Santiago Serna-Trejos<sup>2ab</sup>; Melisa Quijano-Navarrete<sup>1c</sup>

Señor Editor. La terapia génica es una modalidad de tratamiento médico en ascenso, según el Instituto Nacional de Investigación del Genoma Humano, se define como el uso de uno o más genes para tratar, prevenir o curar enfermedades, mediante la inserción de copias nuevas de un gen defectuoso o ausente en las células del paciente, utilizando vectores virales para transportar el material genético. Esta técnica ha demostrado utilidad tanto en enfermedades genéticas hereditarias como en trastornos adquiridos, como la leucemia<sup>1</sup>.

La anemia de células falciformes, una enfermedad causada por un defecto en la subunidad  $\beta$ -globina de la hemoglobina adulta, resulta en glóbulos rojos deformes, hemólisis y obstrucción de los vasos sanguíneos, con daño orgánico progresivo. El objetivo de la terapia génica en este caso es reemplazar la hemoglobina adulta por hemoglobina fetal, que ofrece mayor protección contra las complicaciones de la enfermedad<sup>2</sup>.

Recientemente, se ha llevado a cabo el ensayo clínico CADPT03A12101 para evaluar la seguridad, tolerabilidad y eficacia de células madre hematopoyéticas progenitoras editadas

genéticamente en pacientes con anemia de células falciformes. Los resultados preliminares muestran una inducción sostenida de hemoglobina fetal y mejoría clínica en la gravedad de la enfermedad<sup>3</sup>.

Sin embargo, a pesar de las prometedoras perspectivas de la terapia génica en el tratamiento de la anemia de células falciformes, persisten desafíos importantes, incluidos aspectos genéticos, investigativos y bioéticos. Es fundamental abordar dilemas éticos potenciales, como la discriminación por características genéticas, la accesibilidad a los tratamientos y la implementación equitativa de estas terapias<sup>4</sup>.

Es necesario considerar la oportunidad y el acceso a estas terapias, dado que la enfermedad afecta a una gran cantidad de personas en todo el mundo, especialmente en comunidades desfavorecidas. Aunque aún no se ha determinado el costo exacto de estas terapias, se espera que sea considerable. Sin embargo, si la terapia génica conduce a una mejoría significativa en la calidad de vida y reduce el sufrimiento de los pacientes, su valor ético y beneficio potencial son innegables<sup>5</sup>.

En última instancia, al considerar la

1. Universidad Libre, Cali - Colombia
  2. Centro Médico Imbanaco, Cali – Colombia
- a. Médico, Magíster en epidemiología
  - b. Doctorando en Salud Pública
  - c. Médico General

**Recibido:** 05/01/2024

**Aprobado:** 15/02/2024

**Correspondencia:**

Juan Santiago Serna-Trejos  
[juansantiagosernatrejos@gmail.com](mailto:juansantiagosernatrejos@gmail.com)

**Citar como:**

Prado-Molina DG, Serna-Trejos JS, Quijano-Navarrete M. Primera terapia por edición génica en anemia de células falciformes: dilemas bioéticos. Rev Hisp Cienc Salud. 2024; 10(1): 53-54. DOI: [10.56239/rhcs.2024.101.717](https://doi.org/10.56239/rhcs.2024.101.717)

aprobación y aplicación futura de la terapia génica, es fundamental adherirse a los principios bioéticos de beneficencia y justicia. Esto implica garantizar que los pacientes reciban el mayor beneficio posible y que el acceso a estas terapias sea equitativo para todos, independientemente de su origen socioeconómico o geográfico. La igualdad en la dignidad y los derechos humanos debe guiar nuestras decisiones en el ámbito de la salud.

**Conflictos de interés**

Los autores declaran no tener conflictos de interés

**Financiamiento**

Autofinanciado.

**Referencias Bibliográficas**

1. Genome.gov [Internet]. [citado 20/11/2023]. Terapia génica. Disponible en: <https://www.genome.gov/es/genetics-glossary/Terapia-genica>
2. Sharma A, Boelens JJ, Cancio M, Hankins JS, Bhad P, Azizy M, et al. CRISPR-Cas9 Editing of the HBG1 and HBG2 Promoters to Treat Sickle Cell Disease. New England Journal of Medicine. 2023 Aug 31;389(9):820–32.

3. Novartis Pharmaceuticals. A First-in-patient Phase I/II Clinical Study to Investigate the Safety, Tolerability and Efficacy of Genome-edited Hematopoietic Stem and Progenitor Cells in Subjects With Severe Complications of Sickle Cell Disease [Internet]. clinicaltrials.gov; 2023 Sep [citado 31/12/2023]. Report No.: NCT04443907. Disponible en: <https://clinicaltrials.gov/study/NCT04443907>
4. La terapia génica en México y España, una aproximación bioética desde la investigación científica [Internet]. [citado 20/12/2023]. Disponible en: [https://scielo.isciii.es/scielo.php?script=sci\\_artext&pid=S1886-58872021000300007](https://scielo.isciii.es/scielo.php?script=sci_artext&pid=S1886-58872021000300007)
5. Enfermedad de células falciformes - Rasgo de células falciformes | NHLBI, NIH [Internet]. [citado 21/12/2023]. Disponible en: <https://www.nhlbi.nih.gov/es/salud/enfermedad-de-celulas-falciforme/rasgo-de-celulas-falciformes>

