



DG-GT e.V.
Deutsche Gesellschaft
für Genterapie e.V.

SUOMEN GEENITERAPIASEURA
FINNISH SOCIETY OF GENE THERAPY



HELLENIC SOCIETY
OF GENE THERAPY AND
REGENERATIVE MEDICINE

NVGCT



Sociedad Española
Terapia Génica y Celular



Declaración de consenso de las Sociedades Europeas de Terapia Génica y Celular* sobre la información del nacimiento de bebés editados genéticamente en China

*European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT), British Society for Gene and Cell Therapy (BSGCT), Deutsche Gesellschaft für Genterapie (DG-GT), Finnish Society of Gene Therapy (FSGT), Hellenic Society of Gene Therapy and Regenerative Medicine (HSGTRM), Netherlands Society for Gene & Cell Therapy (NVGCT), Sociedad Española de Terapia Génica y Celular (SETGyC), Société Française de Thérapie Cellulaire et Génique (SFTCG).

La terapia génica somática se ha desarrollado para tratar enfermedades hereditarias y adquiridas, para las cuales actualmente no existen otras opciones de tratamiento o éstas son muy limitadas. En este caso se restringen las modificaciones genéticas a las células del cuerpo (células somáticas), excluyendo las células de la línea germinal para evitar la transmisión de cambios genéticos a la descendencia. Nuestras sociedades han apoyado el desarrollo de estrategias innovadoras de terapia génica y celular somática a lo largo de más de 25 años. Aunque reconocemos la necesidad de investigación fundamental, nuestras sociedades están de acuerdo en que, basándose en el conocimiento y la experiencia actuales, la edición del genoma de la línea germinal es irresponsable y éticamente no es justificable.

Los documentos publicados en el [registro de ensayos clínicos chinos](#) y los artículos publicados por varios medios de comunicación sugieren que el Dr. Jiankui He (Southern University of Science and Technology, Shenzhen) ha utilizado la tecnología de CRISPR/Cas9 para alterar el genoma de embriones humanos antes de su implantación en el útero. CRISPR/Cas9 es una tecnología de vanguardia en medicina molecular para fines de investigación y también se está desarrollando como una herramienta para la terapia génica. La tecnología puede describirse como tijeras moleculares que permiten modificar el genoma celular en un sitio concreto, a nuestra elección, y por lo tanto abre la posibilidad de reparar un defecto genético. No obstante, no se puede excluir completamente que CRISPR/Cas9 modifique el genoma también en sitios distintos al elegido. En este caso, se podrían generar mutaciones con efectos desconocidos no sólo en la salud de los sujetos, sino también en la de su descendencia.

El Dr. He dio una entrevista exclusiva y publicó un [vídeo en YouTube](#) que describe su investigación, una forma muy poco usual de presentar trabajos científicos. Este investigador ha declarado que dos gemelas sanas nacieron después de la edición genómica de embriones generados por fecundación in vitro (FIV). Afirma que en al menos una de las niñas gemelas se desactivó con éxito el gen CCR5, protegiendo así a la niña de la infección con el virus de la inmunodeficiencia humana (VIH). Además de los posibles efectos secundarios y las enormes implicaciones éticas, incluso el razonamiento científico de su enfoque es muy cuestionable por varias razones: (i) En contra de las declaraciones del investigador, la eliminación de CCR5 descrita no tendría como resultado una protección completa contra el VIH, (ii) La propia eliminación de CCR5 podría tener consecuencias potencialmente graves como, por ejemplo, la mayor susceptibilidad a virus distintos del VIH. (iii) Dados los



esfuerzos actuales para disminuir la tasa de nuevas infecciones por VIH y desarrollar vacunas eficaces, además de la autoprotección, el riesgo previsible de infección por VIH es bajo.

Según nuestro conocimiento, las afirmaciones del Dr. He hasta ahora no han sido confirmadas por una fuente independiente y científicamente sólida. La investigación no ha sido sometida al proceso de revisión habitual, pero se ha presentado en la [Segunda Cumbre Internacional sobre la Edición del Genoma Humano](#), que está celebrándose en Hong Kong del 27 al 29 de noviembre de 2018. Según el gobierno chino y los funcionarios de la Universidad de Shenzhen citados en los medios de comunicación, el Dr. He no había obtenido el permiso de las autoridades competentes, incluido el apropiado comité de ética.

Las terapias génicas y celulares tienen un enorme potencial terapéutico, y la edición del genoma está emergiendo como una herramienta prometedora y poderosa para reparar defectos genéticos. Sin embargo, como con cualquier tratamiento, existen riesgos potenciales asociados con la edición del genoma que requieren una investigación cuidadosa antes de que estos nuevos tratamientos puedan usarse en pacientes. Además de los estudios de seguridad necesarios, nuestra opinión es que su aplicación a la modificación de la línea germinal requiere una amplia discusión social sobre las implicaciones éticas. La Segunda Cumbre Internacional sobre la Edición del Genoma Humano que se lleva a cabo esta semana es uno de los muchos esfuerzos internacionales para encontrar un consenso internacional. Es importante destacar el acuerdo general alcanzado en la Primera Cumbre: "Sería irresponsable proceder con cualquier uso clínico de la edición de la línea germinal, a menos que (i) los problemas de seguridad y eficacia relevantes se hayan resuelto, una vez entendidos y tenidos en cuenta los riesgos, posibles beneficios y alternativas, y (ii) exista un amplio consenso social sobre la idoneidad de la aplicación propuesta". La ESGCT y las Sociedades Europeas que suscriben este comunicado respaldan completamente esta opinión y condenan los experimentos de Dr. He como excesivamente arriesgados y diseñados para mejorar más que para curar, y por ello éticamente inaceptables. Reconocemos el potencial de esta tecnología para el tratamiento de enfermedades humanas, pero pedimos precaución hasta que se alcance un consenso basado en suficiente investigación y experiencia con la edición genómica, consulta pública y legislación. Los legisladores y la sociedad en general deberían poder decidir sobre las circunstancias en las que se permite el uso de este tipo de tecnologías. Si bien una serie de terapias génicas y celulares probadas rigurosamente están comenzando a dar sus frutos en la práctica clínica, es imperativo que los ensayos clínicos sigan cumpliendo con los estándares internacionales, para garantizar que son seguros y que la investigación se realiza de manera transparente y responsable. Es muy posible que las prisas irresponsables y poco éticas para llevar estas técnicas a la clínica, antes de los oportunos debates legislativos obstaculice, en lugar de acelerar, el desarrollo de estas técnicas prometedoras.

Firmado en nombre de las Sociedades,

Hildegard Büning (ESGCT), Uta Griesenbach (BSGCT), Boris Fehse (DG-GT), Seppo Ylä-Herttuala (FSGT), Nicholas P. Anagnou (HSGTRM), Victor van Beusechem (NVGCT), Angel Raya (SETGyC), Els Verhoeyen (SFTCG)