



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

\*Sociedad Europea de Terapia Genética y Celular (ESGCT), Sociedad Británica de Terapia Genética y Celular (BSGCT), Sociedad Alemana de Terapia Génica (DG-GT), Sociedad Finlandesa de Terapia Génica (FSGT), Sociedad Helénica de Terapia Génica y Medicina Regenerativa (HSGTRM), Sociedad Holandesa de Terapia Génica y Celular (NVGCT), Sociedad Española de Terapia Génica y Celular (SETGyC), Sociedad Francesa de Terapia Celular y Génica (SFTCG).

La terapia génica somática se ha desarrollado para el tratamiento de enfermedades hereditarias y adquiridas, para las cuales no existe tratamiento, o sólo existen limitadas opciones terapéuticas. Las modificaciones genéticas están restringidas a las células del cuerpo (células somáticas), pero excluyen las células de la línea germinal para evitar la transmisión de cambios genéticos a la descendencia del paciente tratado. Las sociedades científicas mencionadas han apoyado el desarrollo de enfoques innovadores de terapias génicas y celulares de células somáticas durante más de 25 años. Si bien reconocemos la necesidad de una investigación básica en estos campos, nuestras sociedades están de acuerdo en que, en base al conocimiento y la experiencia actuales, la edición del genoma de la línea germinal es irresponsable y éticamente no justificable.

Los documentos depositados en el Registro de Ensayos Clínicos Chinos y las comunicaciones de varios medios de comunicación sugieren que el Dr. Jiankui He (Universidad del Sur de Ciencia y Tecnología, Shenzhen) ha utilizado la tecnología de nucleasas de diseño “CRISPR/Cas9” para alterar el genoma de embriones humanos antes de su implantación en el útero materno. La tecnología de CRISPR/Cas9 es una tecnología de vanguardia en medicina molecular para fines de investigación, y también se ha desarrollado como una herramienta para la terapia génica. La tecnología puede describirse como una tijera molecular que permite modificar el genoma celular en sitios predefinidos del genoma “secuencias diana”; y por lo tanto abre la posibilidad de reparar un defecto genético. No obstante, la generación de cortes “fuera de la diana”; es decir, el corte en sitios no previstos en el genoma humano, no se puede descartar por completo. Por tanto, cuando se trata de cortes fuera de diana del genoma de células de la línea germinal, esto puede acarrear mutaciones con efectos desconocidos, no sólo sobre la salud de los individuos tratados, sino también en la de su descendencia.

En una entrevista exclusiva y publicado en un video de YouTube, el Dr. He ha descrito su investigación; lo que constituye una forma muy inusual de presentar trabajos científicos. Este investigador ha declarado el nacimiento de dos niñas gemelas sanas después de la edición del genoma de sus embriones, que fueron generados por fertilización *in vitro* (FIV). El Dr He afirma que en al menos una de las gemelas inactivó 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 asociadas a este tratamiento, incluso la base científica de su enfoque es muy cuestionable por varias razones: (i) El informe sobre la eliminación del gen *CCR5* reportado no daría como resultado una protección completa contra el VIH, (ii) La eliminación del gen *CCR5* podría tener consecuencias funcionales potencialmente graves, tales como una mayor susceptibilidad a otros virus. (iii) Considerando los trabajos actuales para disminuir la tasa de nuevas infecciones por



VIH y el desarrollo de vacunas eficaces, además de la propia autoprotección, se considera que el riesgo previsible de infección por VIH es bajo.

Según nuestro conocimiento, las afirmaciones del Dr. He no han sido confirmadas hasta ahora por una fuente independiente y científicamente sólida. Asimismo, la investigación no ha sido revisada, si bien se ha presentado en la Segunda Cumbre Internacional sobre la Edición del Genoma Humano, que está teniendo lugar del 27 al 29 de Noviembre en Hong Kong. Según el gobierno chino y los funcionarios de la Universidad de Shenzhen citados en los medios de comunicación, el Dr. He no habría obtenido el permiso de las autoridades competentes, incluyendo la del propio Comité de Ética responsable.

Las terapias génicas y celulares tienen un enorme potencial terapéutico, y la edición del genoma está emergiendo como una herramienta prometedora y potente para reparar defectos genéticos. Sin embargo, como con cualquier tratamiento, existen riesgos potenciales asociados a 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, su aplicación a la modificación de células de la línea germinal requiere, en nuestra opinión, una amplia discusión social sobre sus implicaciones éticas. La Segunda Cumbre Internacional sobre Edición del Genoma Humano que está teniendo lugar en esta semana es uno de los muchos esfuerzos internacionales para encontrar un consenso internacional acerca de su uso. Es importante destacar que en la primera Cumbre hubo un acuerdo general acerca de lo siguiente: "Sería irresponsable proceder con cualquier uso clínico de la edición de la línea germinal, a menos que (i) se hayan resuelto las cuestiones de seguridad y eficacia relevantes, y se haya entendido y tenido en cuenta el balance apropiado de "riesgos, posibles beneficios y alternativas, y (ii) exista un amplio consenso social sobre la idoneidad de la aplicación propuesta". La Sociedad Europea de Terapia Génica y las Sociedades Europeas mencionadas respaldan completamente esta opinión y condenan los experimentos de Dr. He como arriesgados, y no diseñados para fines terapéuticos, y por tanto los consideran éticamente inaceptables. Reconocemos el poder de esta tecnología para el tratamiento de enfermedades humanas, pero instamos a la precaución hasta que se establezca un consenso sobre investigación y experiencia en la edición del genoma, la opinión pública y la legislación. Es importante que los estudios clínicos sigan cumpliendo con los estándares internacionales para garantizar que sean seguros y que la investigación se realice de manera transparente y responsable. Las prisas irresponsables y no éticas para llevar estas técnicas a la práctica clínica antes de que tengan lugar los debates legislativos preceptivos supondrá un obstáculo, más que una ayuda al progreso de estas técnicas tan prometedoras.

**Firmado en nombre de las siguientes 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)