

Carta abierta a Novartis de la comunidad mundial de personas afectadas por la distrofia miotónica

15 de septiembre de 2026

A la dirección de Novartis,

Hoy, en el [Día Internacional de Concienciación sobre la Distrofia Miotónica](#), escribimos como organizaciones de defensa de los pacientes, incluidas familias, profesionales clínicos, investigadores y personas que viven con distrofia miotónica en todo el mundo.

Escribimos con profunda decepción tras el [anuncio de que el estudio HARBOR de fase 3](#) de del-desiran no alcanzó su criterio principal de valoración, el tiempo de apertura de la mano medido por vídeo (vHOT).

Reconocemos que el desarrollo clínico es difícil, que se producen contratiempos científicos y que el fracaso de un ensayo de fase 3 a la hora de alcanzar su criterio principal de valoración resulta devastador para todas las personas implicadas. También reconocemos el enorme esfuerzo, experiencia, recursos y compromiso que Avidity/Novartis y los investigadores de HARBOR han invertido en este programa.

Pero les pedimos, respetuosa y urgentemente:

Por favor, no abandonen el programa de distrofia miotónica.

Para las personas que viven con distrofia miotónica, esto no es simplemente el resultado de un ensayo clínico. Es nuestra vida.

Es el niño que crece preguntándose por qué su cuerpo no funciona como debería. Es el adulto joven que se pregunta cuánto tiempo podrá trabajar, caminar, conducir o cuidar de su familia. Es el padre o la madre que observa cómo su hijo o hija pierde capacidades que la mayoría de las personas da por sentadas. Es la persona que lucha contra la debilidad de la prensión y la función de las manos, los problemas de movilidad, la fatiga, las dificultades para tragar, los problemas respiratorios, las complicaciones cardíacas, el dolor y las muchas otras manifestaciones de esta devastadora enfermedad multisistémica.

Y son las familias que han pasado años esperando algo que pudiera cambiar fundamentalmente el curso de esta enfermedad y sus vidas.

La comunidad de personas afectadas por la distrofia miotónica ha vivido sin un tratamiento modificador de la enfermedad aprobado desde que esta se identificó por primera vez, en 1909. La propia Novartis ha reconocido que la DM1 sigue siendo una enfermedad con una necesidad médica no cubierta elevada y sin opciones de tratamiento aprobadas.

Por eso el anuncio de HARBOR resulta tan doloroso.

Pero hay otra parte de su anuncio que da motivos para la esperanza a esta comunidad. Afirmaron que del-desiran mostró indicios de actividad clínica en criterios secundarios de valoración y en análisis exploratorios.

También afirmaron que se está analizando el conjunto completo de datos de HARBOR y que Novartis colaborará con las autoridades sanitarias para determinar la vía de desarrollo más adecuada.

Les pedimos que sigan esas evidencias.

El criterio principal de valoración no cuenta toda la historia. Entendemos su importancia y que las decisiones regulatorias deben basarse en pruebas científicas rigurosas. Pero la distrofia miotónica es una enfermedad multisistémica extraordinariamente compleja. Una única medida del tiempo de apertura de la mano no puede captar todo lo que importa a las personas que viven con DM1.

Por tanto, como comunidad mundial unida, pedimos a Novartis que evalúe exhaustivamente, comunique y siga investigando la relevancia clínica de los resultados secundarios y exploratorios de HARBOR.

Por favor:

- Completen un análisis exhaustivo de todos los criterios secundarios y exploratorios de valoración, incluidas las medidas de función muscular, movilidad, miotonía, resultados notificados por los pacientes, calidad de vida, biología de la enfermedad y otros resultados clínicamente significativos.
- Examinen si determinados subgrupos de participantes de HARBOR, estadios de la enfermedad, duraciones del tratamiento u otras características respondieron de forma diferente.
- Pongan los resultados a disposición de la comunidad médica y científica con la mayor rapidez y transparencia posibles.
- Colaboren con las autoridades regulatorias mundiales y con expertos independientes para evaluar las posibles vías de avance.
- Investiguen si determinados subgrupos de participantes o efectos clínicamente significativos justifican nuevos estudios.
- Consideren si un seguimiento adicional, criterios de valoración alternativos, una mejor caracterización de los pacientes, cambios en el diseño del ensayo u otros enfoques podrían proporcionar una comprensión más clara del potencial de del-desiran.
- Mantengan un diálogo significativo con las personas que viven con distrofia miotónica y con las organizaciones que las representan antes de tomar una decisión final sobre el programa.

Si los datos identifican realmente una señal que merezca ser investigada, por favor, síganla.

El hecho de que no se alcance el criterio principal de valoración debería impulsar una investigación científica cuidadosa, y no necesariamente poner fin a un programa cuando otras evidencias pueden apuntar a una actividad biológica o clínica.

Completen el análisis antes de tomar una decisión final.

Novartis ha declarado que todavía se está analizando el conjunto completo de datos de HARBOR. Por ello, les pedimos que no tomen una decisión irreversible sobre el futuro de del-desiran antes de completar dicho análisis.

No les pedimos que ignoren el resultado de HARBOR. Les pedimos que lo comprendan por completo.

Por favor, recuerden a las personas que están detrás de los datos.

Cientos de personas con DM1 se ofrecieron voluntariamente para participar en HARBOR, conociendo las incertidumbres y los riesgos de la investigación clínica. Viajaron a los centros del ensayo, a menudo cientos o miles de kilómetros, cada pocas semanas. Se sometieron a evaluaciones, recibieron del-desiran o placebo y entregaron a esta investigación su tiempo, sus datos, sus cuerpos y su esperanza.

Su participación creó conocimientos que antes no existían.

Lo mínimo que podemos pedir es que se investigue hasta el máximo de su potencial científico cada elemento significativo de información generado por ese sacrificio.

Esos participantes no fracasaron. La comunidad no fracasó. La ciencia se encontró con un resultado inesperado.

Ahora pedimos a Novartis que responda con el mismo valor que demostraron los pacientes cuando entraron en el ensayo.

Esto es más grande que un solo fármaco.

Entendemos que Novartis debe tomar decisiones difíciles sobre su cartera de proyectos y sus prioridades de inversión. Pero la importancia del programa de del-desiran va más allá de una única molécula.

El ensayo HARBOR representa uno de los esfuerzos más grandes y significativos emprendidos hasta la fecha para desarrollar un tratamiento modificador de la enfermedad para la distrofia miotónica. Abandonarlo ahora podría tener consecuencias que irían mucho más allá de un solo programa: podría desalentar la inversión en distrofia miotónica, socavar la confianza en este campo y dejar una enfermedad devastadora sin una vía clara hacia el tratamiento.

Por el contrario, investigar cuidadosamente el conjunto completo de datos de HARBOR podría hacer avanzar la comprensión científica, incluso si del-desiran finalmente no se convierte en un tratamiento aprobado.

Todavía hay conocimientos que adquirir. Todavía hay preguntas que responder. Y puede que todavía exista una vía de avance.

A las personas de Avidity y Novartis que han trabajado en este programa:

Queremos que sepan que también les vemos.

Sabemos que científicos, médicos, investigadores clínicos, coordinadores de estudios, defensores de los pacientes y muchas otras personas han dedicado años de su vida a este esfuerzo. Sabemos que querían que este ensayo tuviera éxito y sabemos que este resultado también es decepcionante para ustedes.

Pero precisamente porque se ha invertido tanto trabajo en HARBOR, les pedimos que no permitan que la historia termine con el criterio principal de valoración.

Su propio anuncio nos dice que existen resultados secundarios y exploratorios que merecen un examen más profundo. Por favor, sigan esos resultados con cuidado, como si de ello dependieran vidas, porque así es.

Esta es una petición de la comunidad mundial de personas afectadas por la distrofia miotónica.

Pedimos a Novartis que elija la perseverancia frente al abandono.

Pedimos que elija la curiosidad científica frente al cierre prematuro.

Pedimos que elija la colaboración con los pacientes.

Y, sobre todo, les pedimos que recuerden por qué es importante este trabajo.

Cada día, las personas que viven con distrofia miotónica se despiertan en cuerpos que van perdiendo función gradualmente. Cada día, las familias adaptan sus vidas a una enfermedad que no pueden detener. Cada día, las personas esperan que los investigadores encuentren una respuesta.

No podemos prometerles que del-desiran sea la respuesta.

Pero sí podemos decirles que la pregunta es demasiado importante como para dejar de plantearla cuando sus propios datos indican que aún podría haber algo que investigar.

Completen el análisis.

Explore los criterios secundarios de valoración.

Explore los criterios exploratorios de valoración.

Colaboren con los reguladores y los expertos independientes.

Hablen con la comunidad mundial de pacientes.

Y, por favor: no abandonen la distrofia miotónica.

Por las personas que participaron en HARBOR, por las familias que las apoyaron, por los investigadores que han dedicado su carrera a esta enfermedad, por las generaciones que heredarán la distrofia miotónica y por los cientos de miles -posiblemente millones- de personas y familias de todo el mundo cuyas vidas se ven afectadas, o se verán afectadas, por la distrofia miotónica y que siguen esperando que la esperanza se convierta en un tratamiento:

Pedimos a Novartis que permanezca.

Les pedimos que terminen el trabajo.

Les pedimos que sigan la evidencia científica hasta donde conduzca.

Con respeto, esperanza y un compromiso inquebrantable con la comunidad de personas afectadas por la distrofia miotónica,

La comunidad mundial de defensa de los pacientes con distrofia miotónica



**Muscular Dystrophy
Australia (Australia)**



MD-Europe (Europa)



**Muscular Dystrophy
Canada (Canadá)**



**Grupo de Pacientes con
Distrofia Miotónica de
Japón
(DM-Family) (Japón)**



Euro-DyMA (Europa)
Representa a 14 países.



**MDT1F (Familia con
Distrofia Miotónica Tipo 1)**
=
**Grupo Coreano de
Pacientes con Distrofia
Miotónica
(Corea)**



**Spierziekten Nederland
(Países Bajos)**



ADM1ES (España)



**Myotonic Dystrophy
Support Group
(Reino Unido)**



**Myotonic Dystrophy
Foundation (MDF) (EE. UU.)**