



El Súper Ayudante de la Ciencia: una guía sobre ELJ-101 para hermanos y niños

¡Hola!

Si estás leyendo esto, probablemente sea porque tienes un hermano o hermana con una enfermedad llamada Síndrome por Deficiencia de CDKL5. Sabemos que, a veces, tener un/a hermano/a con CDKL5 hace que tu casa sea un poco diferente a la de tus amigos/as. Puede que haya más visitas al médico, más equipos o aparatos, y quizá a veces todo parezca un poco “extra”.

Nosotros somos Karen, Carol-Anne, Cristina y Rodney. Pasamos nuestros días pensando en cómo hacer la vida mejor para niños/as con CDKL5... ¡y también para hermanos/as como tú!

Hoy queremos contarte una noticia muy emocionante sobre algo llamado **ELJ-101**. Suena como el nombre de un agente secreto o de un dispositivo súper moderno, ¿verdad? Bueno, en realidad es un “**Súper Ayudante de la Ciencia**” en el que los médicos están trabajando ahora mismo.

Como sabemos que tú eres una parte muy importante del equipo de tu familia, queríamos explicarte exactamente qué es y cómo funciona, usando cosas que ya conoces.

El manual gigante de instrucciones

Para entender ELJ-101, primero tenemos que hablar sobre cómo se construyen los cuerpos.

Imagina que tu cuerpo es como el set de **LEGO®** más complicado y genial jamás creado. Para construir ese set necesitas un enorme **manual de instrucciones**. Todas las personas tienen uno de esos manuales dentro de su cuerpo. Los científicos llaman a ese manual **ADN**.

Ese manual le dice a tu cuerpo todo: de qué color serán tus ojos, cuánto crecerás y cómo tu cerebro debe enviar mensajes a tus brazos y a tus piernas para que puedas correr, saltar o hablar.

En la mayoría de las personas, el manual está perfecto. Pero para tu hermano o hermana con CDKL5 hay un pequeño **“fallo”** en ese manual. Es como si una página muy importante se hubiera perdido por accidente, o como si la tinta se hubiera corrido y el cuerpo no pudiera leer bien las instrucciones.

Como falta esa página, al cerebro le cuesta enviar los mensajes correctos. Por eso puede tener convulsiones o le resulta más difícil moverse o hablar.



Entra en acción el Súper Ayudante: ELJ-101

Durante mucho tiempo, los médicos solo podían ayudar con los **síntomas** (por ejemplo, dando medicinas para las crisis epilépticas). Pero ahora los científicos están intentando algo increíble: **¡arreglar el propio manual!**

Aquí es donde entra **ELJ-101**, que es como se llama la **terapia génica**.

Piensa en ELJ-101 como si fuera un **camión especial de reparto**. Dentro de ese camión hay una **nueva copia, perfectamente impresa, de la página que faltaba en el manual**. El objetivo es enviar ese camión al interior del cuerpo para que viaje directamente hasta las células del cerebro. Cuando llega, entrega la nueva página para que el cerebro por fin tenga las instrucciones que necesita para funcionar mejor.

Es como cuando estás construyendo una nave espacial de LEGO® y te das cuenta de que falta una pieza. **ELJ-101 sería la persona que llega volando con esa pieza exacta para que puedas terminar la construcción.**

Conoce a los superhéroes de la ciencia

Esto no ocurre por arte de magia. Hay todo un equipo de “**superhéroes de la ciencia**” trabajando en ello.

Uno de los líderes es un hombre llamado **Russ Addis**, que es doctor, trabaja en un lugar llamado **LouLou Foundation** y dirige el equipo de **Elaj Bio**. Él y su equipo de científicos pasan el día investigando con mucho cuidado, observando detalles diminutos y descubriendo exactamente cómo hacer que ese “camión de reparto” (ELJ-101) sea **lo más seguro y útil posible**.

Trabajan muy duro porque quieren ayudar a tu hermano o hermana a sentirse mejor, tanto como tú lo deseas. Y no son los únicos: hay **muchos científicos, médicos y familias en todo el mundo** trabajando también en la investigación sobre CDKL5.

¿Por qué está tardando tanto? (La regla de los videojuegos)

Quizá te estés preguntando: “**Si ya tienen el camión de reparto listo, ¿por qué mi hermano no puede usarlo hoy?**”. Es una pregunta muy buena. La mejor manera de explicarlo es pensar en tu **videojuego favorito**.

Antes de que un gran juego como **MINECRAFT®** o **ROBLOX®** publique una actualización enorme, pasa por algo llamado “**Beta Testing**” (fase de pruebas). Los desarrolladores no la lanzan a todo el mundo de inmediato porque podría haber **errores o fallos** que hagan que

el juego deje de funcionar. Primero lo prueban con un grupo pequeño de personas para asegurarse de que todo funciona perfectamente y de forma segura.

Ahora mismo **ELJ-101** está en esa fase de pruebas.

Los científicos tienen que ser **extremadamente cuidadosos**. Están empezando con un grupo muy pequeño de personas (¡solo unas 12!) para asegurarse de que el camión de reparto llega al lugar correcto y no causa otros problemas. Tienen que comprobarlo todo miles de veces, porque la salud de tu hermano o hermana es lo más importante del mundo.

Aunque parezca que tarda mucho, es solo porque los científicos quieren estar **100 % seguros de que es seguro** antes de dárselo a más niños.



¿Qué hará el Súper Ayudante?

Todavía no lo sabemos todo, pero la esperanza es que **ELJ-101** ayude al cerebro de tu hermano o hermana a “leer” mejor las instrucciones.

Eso podría significar:

- Tener **menos crisis epilépticas** o más pequeñas.
- Poder **aprender nuevas habilidades**, como sentarse o usar más las manos.

- Conseguir que sea **más fácil comunicarse contigo**.

No hará que CDKL5 desaparezca de repente: **no es una varita mágica**. Probablemente tu hermano o hermana seguirá necesitando sus medicinas habituales y su fisioterapia durante un tiempo. Pero ELJ-101 sería como **darle el mejor maletín de herramientas** para que su cuerpo pueda trabajar.

¡Tú también eres un/a héroe/heroína!

Mientras los científicos trabajan en sus laboratorios, queremos que sepas que **tú estás haciendo uno de los trabajos más importantes de todos**.

Al ser un gran hermano o hermana, estás ayudando a tu hermano/a cada día. Cuando le pones música, le tomas la mano o simplemente te sientas con él o ella, estás ayudando a que su cerebro crezca y se sienta feliz. La ciencia puede hacer muchas cosas, pero **no puede reemplazar el amor y la diversión** que tú aportas a tu familia.

Sabemos que a veces puede ser difícil cuando las cosas parecen ir despacio o cuando hay que esperar a que la “ciencia” avance. Si alguna vez te sientes frustrado o tienes más preguntas, siempre está bien hablar con tus padres o con un adulto en quien confíes.



¿Qué pasará ahora?

La fase de “**Beta Test**” de **ELJ-101** podría empezar dentro de uno o dos años (alrededor de **2027**). Puede parecer mucho tiempo, pero en el mundo de la ciencia **en realidad es bastante rápido**. Nosotros estaremos pendientes de cada paso y compartiremos novedades cuando haya algo nuevo que contar.

Mientras tanto, sigue siendo el increíble hermano o hermana que eres. Formas parte de **un enorme equipo mundial de familias** que están animando a ELJ-101 para que sea el mejor “**Súper Ayudante**” posible.

Gracias por ser una parte tan importante de la comunidad CDKL5. ¡Creemos que tú también eres bastante “super”!

Con mucha esperanza,

Karen (EE. UU. – IFCR)
Carol-Anne (Reino Unido – CDKL5 UK)
Cristina (España – CDKL5 Alliance)
Rodney (EE. UU. – LouLou Foundation)

Un resumen rápido para Súper Ayudantes

1. El **ADN** es como el manual de instrucciones del cuerpo.
2. **CDKL5** es un pequeño fallo o una página que falta en ese manual.
3. **ELJ-101** es un “camión de reparto” que lleva una nueva página correcta al cerebro.
4. Científicos como **Russ Addis** lo están probando ahora para asegurarse de que sea **muy seguro**.
5. La **esperanza** es que en el futuro este “Súper Ayudante” haga la vida más fácil para tu hermano o hermana.