



Universidad del Sureste

Escuela de Medicina

Materia:

Biología Molecular en la Clínica

TEMA: “TERAPIA GÉNICA”

Presenta:

 **Yazmín Méndez Osuna**

QFB. Hugo Nájera Mijangos

Lugar y fecha

Comitán de Dguez. 05 de Junio 2020

TERAPIA GÉNICA

Conjunto de técnicas que permiten vehicular secuencias de ADN o de ARN al interior de células diana, con objeto de modular la expresión de determinadas proteínas que se encuentran alteradas, revirtiendo así el trastorno biológico que ello produce.

Para que sirve

La finalidad es transferir material genético y restablecer una función celular que estaba abolida o defectuosa, así como también introducir una nueva función o bien interferir con una existente.

Se basa en la combinación de tres elementos: 1.- material genético a transferir 2.- método de transferencia 3.- tipo celular que se incorporará dicho material genético.

Tipos de terapia

En función del tipo celular Diana

Terapia génica de células germinales: aquella dirigida a modificar la dotación genética de las células implicadas en la formación de óvulos y espermatozoides y, por tanto, transmisible a la descendencia

Está indicada para corregir de forma definitiva enfermedades congénitas.

Terapia génica somática: aquella dirigida a modificar la dotación genética de células no germinales, es decir, de las células somáticas o constituyentes del organismo, no es transmisible a la descendencia

En función de la estrategia aplicada

Terapia génica in vivo: agrupa técnicas en las que el material genético se introduce directamente en las células del organismo, sin que se produzca su extracción ni manipulación in vitro

Terapia génica ex vivo: comprende aquellos protocolos en los que las células a tratar son extraídas del paciente, aisladas, crecidas en cultivo y sometidas al proceso de transferencia in vitro

Permite la elección del tipo de célula a tratar, mayor control en la transducción genética.

Transferencia genética

Se requiere que se transfieran eficientemente los genes clonados a células enfermas, de manera que los genes introducidos sean expresados en cantidad adecuada

Métodos: Microinyección, precipitación con fosfato cálcico, electroporación, bombardeo con microproyectiles, inyección directa de ADN "desnudo", conjugados ADN-proteínas, conjugados ADN-adenovirus, liposomas

Otras terapias

Terapia antisentido

se aplica a secuencias cortas de ADN o ARN, con el fin de interferir el flujo de información genética

3 clases: 1- secuencias antisentido, 2- secuencias antigén, 3- ribozimas

Terapia de enfermedades monogénicas

La terapia génica fue inicialmente concebida como una forma de tratamiento de enfermedades genéticas causadas por mutación de un sólo gen

Criterios de selección para terapia

La enfermedad ha de amenazar gravemente la vida del paciente. – Los órganos, tejidos y tipos celulares afectados por la enfermedad han de estar bien caracterizados. – La versión normal del gen defectuoso debe haber sido aislada y clonada.

Terapia contra el cáncer

los oncogenes son genes que pueden producir transformación maligna cuando se expresan de forma inadecuada debido a mutación, a ampliación, o a nueva disposición