



**Universidad del Sureste**

**Escuela de Medicina**

**Cuadro sinóptico: Terapia génica**

---

**William de Jesús López Hernández**

**QFB. HUGO**

**8B Medicina Humana**

**05/06/2020**

# TERAPIA GENICA

Método que puede ser usado para el manejo de trastornos hereditarios, así como de enfermedades adquiridas. Ejemplo: SIDA

En las de origen puramente genética están todas las alteraciones unigenicas

En las enfermedades infecciosas tienen un abordaje curativo y otros preventivos. Al cambiar la susceptibilidad genética de una patología.

## Concepto

Técnica de inserción de un gen funcional en las células para corregir un defecto genético o para dotar las células de una nueva función

Es la ingeniera genética para modificar o contrarrestar la anomalía de un gen, puede repararlo y puede añadir nuevas funciones.

## Transgen

Es el que tiene la función terapéutica y es el que le da la terapia génica.

Sirve

Puede emplear para curar aquellas enfermedades que tienen un origen genético, por la mutación

## Modalidades de la terapia génica

Terapia génica de células germinales

Dirigida a modificar la dotación genética de las células implicadas en la formación óvulos y espermatozoides y transmitir a la descendencia.

Indicada para corregir de forma definitiva las enfermedades congénitas

Terapia génica somática

Dirigida a modificar dotación genética de células no germinales es decir células somáticas o de organismos, por lo tanto no puede transmitirse a la descendencia.

## Tipos de terapia

EXVIVO

1. células del paciente
2. se modifica un virus de forma de que no pueda modificarse
3. Se inserta en el gen en el virus

4. virus modificado se mezcla con células del paciente.
5. las células del paciente se modifican genéticamente.
- 6.-las células modificadas se inyectan.
7. las células modificadas producen proteínas o la hormona deseada.

INVIVO

- .-Cuando se hacen llegar en vectores adecuados los genes terapéuticos a corregir a través del torrente circulatorio.
- .-Células de la piel, síntesis y secreción de proteínas, pudiendo corregir como la hemofilia o las enfermedades de Alzheimer o de párkinson.

INSITU

Modificación de células del paciente introduciendo el ADN (genes terapéuticos) directo en el órgano defectuoso, x ejm: fibrosis quística, duchenne.

## Estrategias terapéuticas

In vivo-dentro del cuerpo

Inyectado directamente el vector al paciente

Ex vivo-fuera del cuerpo

Inyectado el gen en células sanas del paciente que se han extraído antes mediante una biopsia.

## Tipos de células a emplearse

Células del propio paciente

Células madre: hematopoyéticas (medula ósea)

**Bibliografías de apoyo:**

C. L. RONCHERA-OMS, J. M<sup>a</sup>. GONZÁLEZ. Artículo. Terapia Génica. herapy for the millennium .Pharmacogenomics 2002; 3:15-18 <https://www.sefh.es/bibliotecavirtual/fhtomo2/CAP06.pdf>

Artículo, terapia génica, universidad nacional del antiplano.

<https://www.genome.gov/es/genetics-glossary/Terapia-genica>