



Universidad del Sureste

Escuela de Medicina

Cuadro sinóptico de terapia génica
Biología molecular de la clínica

Carlos Javier Escandón López

“8” único Medicina Humana

Terapia génica

Definición

Es una técnica experimental para tratar enfermedades mediante la alteración del material genético del paciente. Con mucha frecuencia, la terapia génica consiste en la introducción de una copia sana de un gen defectuoso en las células del paciente.

Tipos de terapia génica

Somática

Busca introducir los genes a las células somáticas (esto es, todas las células del organismo que no son gametos o sus precursores), y así eliminar las consecuencias clínicas de una enfermedad genética heredada o adquirida. Las generaciones futuras no son afectadas porque el gen insertado no pasa a ellas.

Germinal

Trataría las células del embrión temprano, los óvulos, los espermatozoides o sus precursores. Cualquier gen introducido en estas células estaría presente no sólo en el individuo, sino que sería transmitido a su descendencia.

Ex vivo

Consiste en extraer las células que debemos reparar de un paciente, repararlas en el laboratorio y volverlas a reimplantar en el organismo del individuo en cuestión.

In situ

Consiste en introducir el gen reparador directamente en el propio órgano defectuoso del individuo.

In vivo

Consiste en administrar directamente al paciente el gen corrector para que este alcance el punto a tratar.

Tipos de vectores

Virales

Retrovirus, adenovirus, virus adenoasociados y herpesvirus.

No virales

El bombardeo con partículas, la inyección directa de ADN, los liposomas catiónicos y la transferencia de genes mediante receptores.

Enfermedades en las que se usa terapia génica

Inmunodeficiencia combinada grave, Fibrosis quística, Hemofilia, Anemia falciforme, Enfermedad de Gaucher, Enfermedad de Niemann-Pick, Fucosidosis, Hipercolesterolemia familiar, Hiperamonniemia, Distrofia muscular de Duchenne