



**Universidad del Sureste**  
**Escuela de Medicina Humana**



**SEMESTRE:**

4º A

**MATERIA:**

BIOLOGÍA MOLECULAR.

**TRABAJO:**

ENSAYO.

**DOCENTE:**

Q. NAJERA MIGAJOS HUGO

**ALUMNO (A):**

IRIANA YAYLÍN CAMPOSECO PINTO.

COMITAN DE DOMINGUEZ, CHIAPAS, 03 DE DICIEMBRE DEL 2020.

## **Patología molecular y terapia génica.**

Existen dos tipos de terapia génica: Terapia Génica de Células Somáticas y la terapia génica de células germinales aunque sólo la primera está siendo desarrollada actualmente. La TG 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. Los métodos de aislamiento de células o tejidos utilizando procedimientos de microdissección han sido de gran importancia en el desarrollo de la patología molecular, incentivando significativamente la participación de los anatómo patólogos en las investigaciones de alteraciones moleculares y genéticas de los tejidos normales y anormales. La patología molecular es una disciplina emergente en la Patología la cual se enfoca al estudio y diagnóstico de la enfermedad a través de la examinación de moléculas en órganos, tejidos y fluidos, la patología molecular comparte algunos aspectos de anatomía patológica, patología clínica, biología molecular, bioquímica, proteómica y genética, es una materia de naturaleza multidisciplinaria enfocándose principalmente a aspectos submicroscopicos de la enfermedad.

La terapia génica es el conjunto de técnicas que utilizan la transferencia de material genético o cualquier otro método que permita editar o modificar la información genética del paciente para prevenir o curar enfermedades genéticas. Sin duda es la mejor alternativa de todas las posibles, pero probablemente también la más compleja, ya que va directamente a la raíz del problema mediante la transferencia de la versión correcta de un gen defectuoso, que es el que está causando la enfermedad, entre los principales obstáculos de esta aproximación se encuentra la dificultad de dirigir el material genético específicamente a aquellas células o tejidos donde hace falta que el gen ejerza su función, o que la regulación del gen introducido se aproxime a la forma en que se regula el gen en las personas sanas, ya que a través de la terapia génica se puede conseguir restablecer la función del gen mutado,

y la estrategia más común es la introducción de una copia normal de éste en las células.

También se puede inhibir o bloquear el funcionamiento de aquellos genes que contribuyen al desarrollo de la enfermedad. Las bases genéticas y moleculares de las neuropatías periféricas hereditarias, haciendo especial hincapié en las neuropatías sensitivomotoras y sus distintos fenotipos clínicos, las neuropatías periféricas exhiben una gran variabilidad clínica y heterogeneidad genética. Las diferentes proteínas codificadas por los genes descritos se expresan en la célula de Schwann o en el axón neuronal, y tienen distintas funciones; hay proteínas estructurales de mielina, factores de transcripción, componentes del citoesqueleto, motores moleculares de los microtúbulos, y proteínas involucradas en el crecimiento y diferenciación celular, o con supuesta actividad enzimática.

Los métodos de transferencia no virales fueron desarrollados como alternativa debido a ciertos inconvenientes que presentan los vectores virales (ver adelante). Entre los principales encontramos los liposomas y el DNA desnudo, entre otros. Los liposomas son microesferas compuestas por una membrana lipídica que rodea un medio acuoso interno. Hay dos tipos: los liposomas catiónicos, que están cargados positivamente y que interactúan con el ADN (de carga negativa) para formar un complejo estable. Este complejo puede entrar a las células luego de su administración endovenosa. Entre los más usados está la lipofectina. Por otro lado, los liposomas con carga negativa no forman complejos con el ADN, sino que lo atrapan, formando una cápsula alrededor.

Entre sus ventajas está que pueden llevar grandes fragmentos de ADN, potencialmente tan largos como el tamaño de un cromosoma, a diferencia de los vectores virales, que sólo pueden llevar un ADN de longitud más bien pequeña. El ADN desnudo consiste en inyectar directamente plásmidos de ADN, es decir, constructos de ADN confeccionados por ingeniería genética, los cuales se ha visto presentan cierto grado de expresión en los diversos tejidos luego de su administración.