



Universidad del Sureste

Escuela de Medicina

Materia: Biología molecular

Químico: Hugo Nájera Mijangos

Terapia génica

Alumna: Guadalupe Elizabeth González González

Semestre y grupo: 4 B

Comitán de Domínguez, Chiapas a; 22 de mayo 2021.

TERAPIA GÉNICA



Vector de terapia génica

Vector de terapia génica: el material genético debe ser administrado en un vehículo que le permita alcanzar la célula diana.



Gen terapéutico
El material genético contiene la información que dará lugar a la molécula terapéutica.

En el interior del organismo el vector llegará al tejido u órgano diana donde producirá la molécula terapéutica.

Algunas veces un gen es defectuoso o parcialmente incompleto desde el nacimiento, o puede cambiar o mutar durante la vida adulta. Cualquiera de estas variaciones puede interrumpir la manera en que se elaboran las proteínas, lo cual puede conllevar a problemas de salud o enfermedades.

Mediante la terapia génica, los científicos pueden hacer una de varias cosas dependiendo del problema existente.

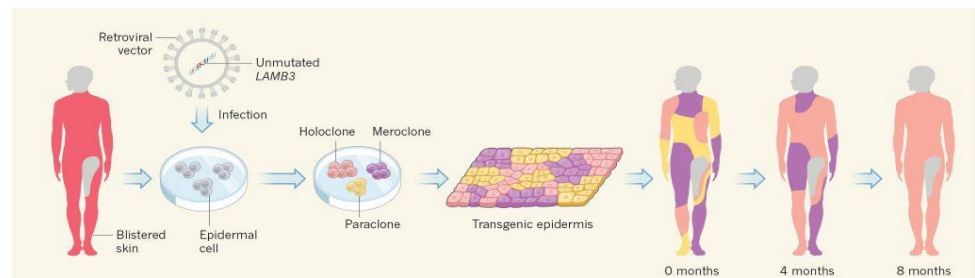
Para insertar genes nuevos directamente dentro de las células, los científicos utilizan un medio conocido como un "vector" que ha sido diseñado genéticamente para administrar el gen.

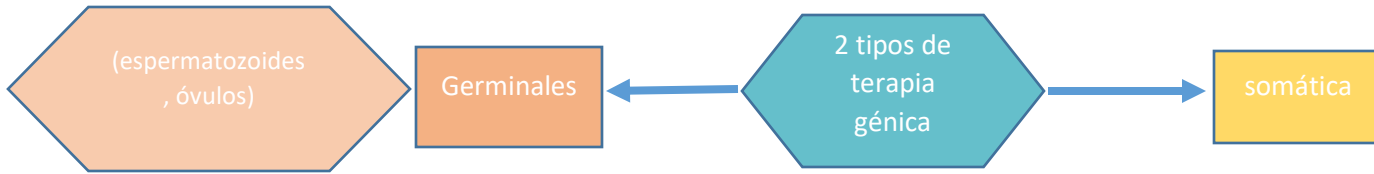
Terapia génica

Pueden substituir un gen que esté ocasionando un trastorno de salud por uno sano; agregar genes que le ayuden al cuerpo a combatir o a tratar la enfermedad, o desactivar los genes que están ocasionando problemas.

Las células se dejan para que se multipliquen en el laboratorio y luego le son inyectadas nuevamente al paciente para que continúen multiplicándose y, con el tiempo, generar el efecto deseado.

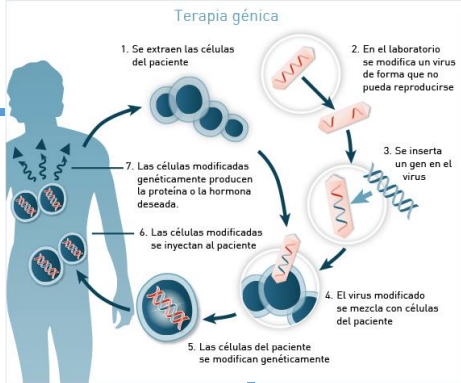
En la terapia génica que se utiliza para modificar las células fuera del cuerpo, se puede tomar sangre, médula ósea u otro tejido de un paciente, y se pueden separar tipos específicos de células en el laboratorio. El vector que contiene el gen deseado se introduce a estas células.





Modificar un defecto genético adquirido

Los 3 fines teóricos



Corregir un defecto genético hereditario



Añadir una función nueva a un grupo de células.

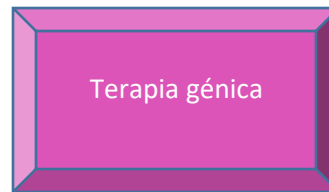




El problema de la transferencia in vivo es que no se pueden distinguir las células que adquieren el gen terapéutico de las que no lo adquieren

In vivo

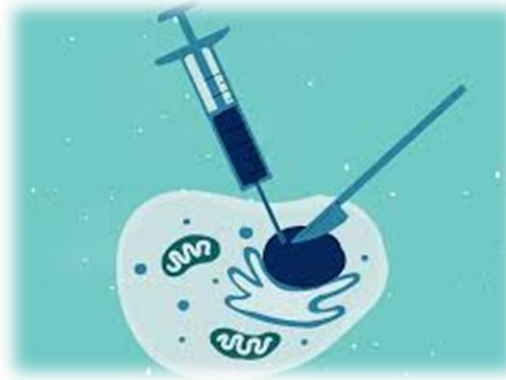
La transferencia de los genes in vivo consiste en introducir el vector con el gen terapéutico directamente al paciente, vía sistémica por infusión, o por inyección directa en el tejido afectado.



Este método tiene la ventaja de que solamente se exponen a la transferencia del gen terapéutico las células afectadas; además, la eficiencia de transformación es mucho más alta, puesto que las células pueden ser expuestas a una elevada concentración del vector, optimizando el proceso.

Ex vivo

Se trata de aislar las células afectadas, cultivarlas in vitro en el laboratorio y someterlas al proceso de transfección génica; una vez transformadas las células, se vuelven a reimplantar al individuo donante.



Referencias

- FDA. (2017). *Biologics Gene Therapy*. FDA, 2. 1.
- Eduardo Rodríguez Yunta. (2003). *Terapia génica y principios éticos*. ELSEVIER.