



**Licenciatura en medicina humana**

**Carlos Fernando Ruiz Ballinas**

**Dr. Andrés Alonso Canción García**

**Ensayo**

**Biología molecular**

**4° "A"**

Comitán de Domínguez Chiapas a 08 de noviembre del 2024.

## **La Terapia Génica: Modificando la Vida, un Gen a la Vez**

La terapia génica, una rama de la ingeniería genética, representa una frontera apasionante en el campo de la medicina. Esta innovadora técnica busca tratar enfermedades genéticas mediante la modificación directa del material genético de un individuo. En esencia, se trata de introducir, eliminar o reemplazar genes defectuosos con el fin de restaurar funciones celulares alteradas y, en consecuencia, combatir enfermedades que hasta hace poco se consideraban incurables.

### **¿Cómo funciona?**

La terapia génica implica la utilización de vectores, que son vehículos moleculares diseñados para transportar el material genético terapéutico hacia las células diana del paciente. Estos vectores pueden ser virus modificados genéticamente, liposomas o nanopartículas. Una vez dentro de la célula, el nuevo gen se incorpora al genoma, produciendo la proteína necesaria para corregir el defecto genético.

### **Tipos de terapia génica**

#### **Existen dos enfoques principales:**

Terapia génica ex vivo: Las células se extraen del paciente, se modifican genéticamente en un laboratorio y luego se reintroducen en el organismo. Esta técnica es más precisa y controlable, pero también más compleja y costosa.

Terapia génica in vivo: El material genético se introduce directamente en el cuerpo del paciente, lo que simplifica el proceso, pero plantea desafíos en cuanto a la especificidad y la eficiencia de la entrega.

### **Aplicaciones de la terapia génica**

El potencial de la terapia génica es enorme y abarca un amplio espectro de enfermedades, incluyendo:

Enfermedades monogénicas: Ciertas formas de cáncer, fibrosis quística, hemofilia y enfermedades metabólicas son algunas de las condiciones que podrían beneficiarse de esta terapia.

Enfermedades infecciosas: Se están desarrollando terapias génicas para combatir el VIH/SIDA y ciertas infecciones virales.

Enfermedades cardiovasculares: La terapia génica podría utilizarse para promover la regeneración del tejido cardíaco y mejorar la función vascular.

Enfermedades neurológicas: Se investigan terapias génicas para tratar enfermedades como el Parkinson, el Alzheimer y la enfermedad de Huntington.

### **Desafíos y consideraciones éticas**

#### **A pesar de sus prometedoras perspectivas, la terapia génica aún enfrenta importantes desafíos:**

Entrega efectiva: Lograr que el gen terapéutico llegue a las células diana de manera segura y eficiente sigue siendo un obstáculo importante.

Inmunogenicidad: El sistema inmunitario del paciente puede reconocer el material genético introducido como extraño y desencadenar una respuesta inflamatoria.

Integración estable: Es fundamental garantizar que el gen terapéutico se integre de forma estable en el genoma y se exprese de manera adecuada a largo plazo.

Efectos fuera de diana: La modificación genética puede tener efectos no deseados en otras células o tejidos.

Consideraciones éticas: La terapia génica plantea importantes interrogantes éticos, como la posibilidad de crear "bebés a la carta" y la equidad en el acceso a estas terapias.

### **El futuro de la terapia génica**

La terapia génica representa una revolución en la medicina, con el potencial de transformar el tratamiento de numerosas enfermedades. A medida que la investigación avanza y se superan los desafíos técnicos y éticos, podemos esperar ver avances significativos en este campo en los próximos años. Sin embargo, es crucial abordar estas cuestiones de manera responsable y garantizar que los beneficios de la terapia génica sean accesibles para todos.

En conclusión, la terapia génica es una disciplina en constante evolución que ofrece una esperanza real para millones de personas que viven con enfermedades genéticas. A pesar de los desafíos que aún persisten, el potencial de esta tecnología para mejorar la calidad de vida de los pacientes es innegable.

## Referencias

Biología celular y molecular: conceptos y experimentos / Janet Iwasa y Wallace Marshall, Biología celular y molecular de Karp, 8a. ed, McGraw-Hill, 2019.