



# MEDICINA HUMANA

**Yarely Arlette Morales Santiz**

**Dr. Andrés Alonso Cancino Garcia**

**Ensayo terapia génica**

**Biología Molecular**

**4°A**

**PASIÓN POR EDUCAR**

Comitán de Domínguez Chiapas a 8 de noviembre de 2024.

En la era moderna de la biotecnología y la medicina, la terapia génica se ha convertido en una herramienta revolucionaria, que abre la puerta a la posibilidad de tratar enfermedades a nivel genético, esta técnica, que permite corregir o reemplazar genes defectuosos introduciendo una secuencia genética funcional en las células afectadas, ha generado grandes expectativas y un intenso debate ético y científico, mediante la inserción de ADN o ARN en células específicas, la terapia génica promete restaurar funciones biológicas afectadas y cambiar el curso de enfermedades de origen genético, existen enfoques diferenciados, dependiendo del tipo de célula diana (germinal o somática) y del método de administración (in vivo o ex vivo), cada uno con sus propias ventajas y retos técnicos, a pesar de los avances, la terapia génica sigue en desarrollo, avanzando hacia aplicaciones clínicas seguras y efectivas, que podrían transformar la medicina tal como la conocemos hoy, la terapia génica representa uno de los avances más prometedores en el ámbito de la medicina moderna, con el potencial de cambiar el curso de muchas enfermedades que hasta ahora han sido incurables, este enfoque terapéutico se basa en la modificación del material genético de las células de un organismo para corregir o reemplazar genes defectuosos, buscando así restablecer su función normal y tratar trastornos de origen genético, a diferencia de los tratamientos convencionales, que suelen enfocarse en los síntomas de la enfermedad, la terapia génica va a la raíz del problema, abordando directamente las anomalías en el ADN que causan diversas patologías.

Desde su conceptualización, la terapia génica ha evolucionado en múltiples direcciones, tanto en su aplicación en células germinales, cuyas modificaciones pueden heredarse por generaciones, como en células somáticas, que buscan efectos específicos en el paciente sin implicaciones para su descendencia, además, existen distintos enfoques según el método de administración del material genético: técnicas in vivo, donde el material se introduce directamente en el organismo, y técnicas ex vivo, en las que las células del paciente se manipulan fuera del cuerpo antes de ser reintroducidas, los avances recientes en la terapia génica abren un horizonte de posibilidades, que incluye desde la cura de enfermedades genéticas raras hasta el tratamiento de cánceres y trastornos degenerativos, este ensayo explorará las diferentes facetas de esta innovadora tecnología, abordando su potencial, las técnicas involucradas y los retos que aún enfrenta en su camino hacia aplicaciones clínicas seguras y efectivas así como la importancia del descubrimiento de la compatibilidad en cuanto a fármacos, e intervenciones quirúrgicas .

La terapia génica se ha convertido en una de las innovaciones más esperanzadoras en medicina, con la capacidad de transformar el tratamiento de enfermedades genéticas complejas que no han encontrado cura hasta ahora, esta estrategia terapéutica permite modificar el material genético en las células de un organismo, logrando corregir o reemplazar genes defectuosos para que puedan recuperar su función original y aliviar o erradicar enfermedades genéticas, a diferencia de los tratamientos convencionales, que se centran principalmente en aliviar síntomas, la terapia génica aborda la causa subyacente de la enfermedad, es decir, las mutaciones o errores en el ADN que afectan la salud de las personas, con el tiempo, la terapia génica ha desarrollado distintos enfoques, que incluyen intervenciones en células germinales (modificaciones hereditarias que pueden transmitirse a futuras generaciones) y en células somáticas, cuyo objetivo es tratar al paciente sin generar cambios en su descendencia, asimismo, las técnicas varían en función de la forma en que se introduce el material genético: las técnicas in vivo, que consisten en la introducción directa del gen en el organismo, y las técnicas ex vivo, que implican extraer las células del paciente para ser modificadas en el laboratorio antes de volver a implantarse.

Aunque el camino hacia aplicaciones clínicas seguras y generalizadas enfrenta retos tanto científicos como éticos, los avances actuales en terapia génica muestran un gran potencial para tratar una amplia gama de enfermedades, desde aquellas genéticas poco comunes hasta el cáncer y los trastornos degenerativos, en este contexto, entender los principios, las modalidades y los desafíos que rodean a la terapia génica resulta crucial para prever su impacto en el futuro de la medicina y en la mejora de la calidad de vida, en este tema se examinará las diversas dimensiones de esta tecnología revolucionaria, incluyendo su potencial, las técnicas que se emplean y los obstáculos que debe superar para consolidarse como una alternativa terapéutica viable y segura, la terapia génica es un innovador tratamiento que implica la introducción de material genético en las células de los pacientes con el fin de tratar o prevenir diversas enfermedades, tanto hereditarias como adquiridas, en este tipo de terapias, el principio activo suele ser un ácido nucleico recombinante, de modo que el efecto terapéutico o preventivo depende de la secuencia genética o del producto de su expresión, entre las estrategias más comunes en terapia génica están la adición, sustitución, y eliminación de secuencias genéticas, así como la inhibición de su expresión en las células del paciente, el propósito de estas modificaciones es reparar o compensar los daños en la secuencia genética que puedan haber surgido por mutaciones, ya sean adquiridas o hereditarias, originalmente, estas técnicas se desarrollaron para corregir alteraciones en pacientes con enfermedades monogénicas, es decir, aquellas causadas por la mutación de un solo gen, sin embargo, los

avances en investigación han permitido que la terapia génica se explore también en enfermedades complejas e, incluso, que se utilice para fortalecer funciones específicas de ciertas células, como las del sistema inmunológico, aumentando su capacidad para combatir tumores, actualmente, la única forma aprobada de terapia génica es la terapia en células somáticas, ya que el tratamiento en células germinales podría causar cambios genéticos que se transmitirían a la descendencia, generando riesgos para futuras generaciones, así como también la importancia de la terapia génica es crucial en medicina porque ofrece una vía para tratar enfermedades a nivel genético, abordando la raíz del problema en lugar de solo sus síntomas, esto es particularmente importante para enfermedades monogénicas y trastornos complejos, donde modificar o reemplazar genes defectuosos podría significar una cura o mejoría sustancial, además, su potencial para potenciar el sistema inmunológico en el combate contra tumores y otras enfermedades amplía sus aplicaciones terapéuticas, lo que podría transformar profundamente el tratamiento de diversas patologías en el futuro, entonces la terapia génica se puede definir como una intervención clínica que tiene como objeto el tratamiento u la prevención de enfermedades mediante la modificación genética de células, mediante terapia génica es posible agregar genes al fondo genético de una célula y así también sustituir genes para enfermedades, este se puede aplicar directamente al individuo que son las denominadas terapias in vivo el gen es transportado de manera sistémica por circulación sanguínea mediante un vector adecuado el cual se implanta en las células diana y realiza una modificación en el ADN o se pueden utilizar células del propio paciente o de un donante sano modificarlas genéticamente in vitro y reinfundirlas de nuevo al individuo esto se le llama terapia ex vivo, la administración de genes se realiza por medio de vectores de entrega que pueden ser clasificados en virales y no virales, los vectores no virales son por lo general menos eficaces pues interactúan de manera menos eficiente con la célula huésped en comparación con los vectores virales lo anterior se debe a que los virus son vectores naturales por su capacidad innata de suministrar material genético a las células hospederas a la vez se utiliza diversos mecanismos que les permiten superar barreras intracelulares como parte de su proceso de infección natural, la terapia génica ha surgido como una estrategia para tratar enfermedades humanas mediante la introducción de material genético en las células de un paciente, el objetivo principal es restaurar o modificar una función celular defectuosa, añadir una nueva función o bloquear una ya existente, las diferentes técnicas de terapia génica dependen de tres elementos esenciales: el material genético que se introduce, el método de transferencia y el tipo de célula destinataria, aunque inicialmente se enfocó en enfermedades hereditarias monogénicas, hoy en día también se utiliza en el tratamiento del cáncer, aunque su potencial es

prometedor, aún requiere perfeccionarse antes de integrarse completamente en la medicina clínica.

En conclusión, la terapia génica representa un avance fundamental en medicina al ofrecer la posibilidad de corregir y modificar el material genético en las células para tratar o prevenir diversas enfermedades, especialmente aquellas con causas genéticas, a través de técnicas que introducen, reemplazan o eliminan secuencias de ADN, esta tecnología busca restaurar funciones celulares alteradas, añadir nuevas capacidades terapéuticas o incluso inhibir funciones perjudiciales, aunque todavía enfrenta desafíos técnicos y éticos, la terapia génica continúa evolucionando y promete revolucionar el tratamiento de enfermedades hereditarias, cáncer y otros trastornos complejos

#### Bibliografía:

Biología molecular fundamentos y aplicaciones carlos beas, Daniel Ortuño 2009

Pfizer España. (s.f.). La Terapia Génica y sus Aplicaciones Clínicas. Pfizer España