

**ALONDRA YULIANA GONZALEZ GORDILLO**

**DR. ANDRES ALONSO CANCINO GARCIA**

**ENSAYO "TERAPIA GENICA"**

**BIOLOGIA MOLECULAR**

**4 A**

**Comitán de Domínguez Chiapas a 6 de noviembre de 2024**

## INTRODUCCION

La terapia génica es una rama de la medicina que busca modificar el material genético de una célula para tratar o prevenir enfermedades. Es como una edición de nuestro código genético, con el objetivo de corregir los errores que causan diversas patologías. La terapia génica es un campo innovador de la biomedicina que busca tratar o incluso curar enfermedades genéticas a través de la modificación directa de los genes. En lugar de tratar los síntomas de una enfermedad, la terapia génica se enfoca en corregir los defectos genéticos que ya preexisten incluso, poniendo, alterando o eliminando material genético dentro de las células de un paciente.

Este enfoque promete revolucionar el tratamiento de diversas enfermedades hereditarias, como algunos tipos de cáncer, trastornos metabólicos, enfermedades cardíacas y enfermedades raras causadas por mutaciones genéticas. Los avances recientes en técnicas que permite editar genes con gran precisión, han abierto nuevas posibilidades para terapias más eficaces y personalizadas.

A pesar de su gran potencial, la terapia génica aún enfrenta desafíos significativos, como la seguridad, la eficacia a largo plazo, y los costos elevados. Sin embargo, los primeros tratamientos aprobados han mostrado resultados esperanzadores, y la investigación sigue avanzando para superar las barreras actuales y ampliar su aplicación clínica, pero estos serán explicados más adelante a detalle.

La terapia génica principalmente se puede definir como el conjunto de técnicas que van a permitir manejar lo que vendría siendo las secuencias de ADN o de ARN al interior de células diana, con objeto de modular, cambiar la expresión de determinadas proteínas que se encuentran alteradas de cierta forma, revirtiendo así el trastorno biológico que este mismo produce. Es una técnica que previene, trata o cura una enfermedad al introducir, modificar o sustituir material genético en las células de la persona y producir una proteína beneficiosa. Esto bien puede realizarse en células somáticas o en células germinales. Muy importante esta técnica ya que bien es como un enfoque terapéutico también, por que una de las tantas razones principales es que es utilizada para el tratamiento de enfermedades heredadas, adquiridas, o virales, basada en la transferencia y expresión de genes, usualmente para poder proporcionar dicha actividad terapéutica que esta suprimida o hace falta. Pero para que todo esto suceda no será una tarea relativamente fácil, puesto que tendrá que acontecer toda una serie de procesos en los que se debe llevar a cabo específicamente y principalmente de una manera correcta con orden. Entonces para dar pauta a esto, comencare comentando que existen dos modalidades de esta terapia génica, la primera es; Terapia génica de células germinales: esta va a ser capaz, o tiene la funcionalidad de modificar la dotación genética de aquellas células implicadas en la formación de los óvulos y espermatozoides, que por consiguiente están implicadas de tal forma transmisible a la descendencia. Este tipo, por el mecanismo en la que actúa sería la más apta para corregir de forma definitiva las enfermedades congénitas, pero una vez siendo eficaz y segura, aun que lamentablemente no es posible dada a las circunstancias que sea llevada a cabo en la situación actual. Y la Terapia génica somática: esta estará enfocada en la dotación genética, pero a diferencia de la otra, en células no germinales, que en otras palabras, son aquellas que están presentes en nuestro organismo, entonces no es posible la transmisibilidad a la descendencia. Existe otra clasificación, pero este en base a la estrategia aplicada, una de ellas es Terapia génica in vivo: se caracteriza por ser introducido el material genético directamente en las células del organismo, pero sin producir su extracción, ni manipulación in vitro, una de las ventajas considerablemente importante acerca de este es que tiene una mayor sencillez. Terapia génica ex vivo: son los seguimientos y pautas en los que las células que se van a tratar van a ser extraídas del propio paciente, van a estar aisladas, crecidas en cultivo, y por ende sometidas al proceso de transferencia in vitro. Juega un papel importante los Métodos de Transferencia puesto que se necesita introducir de manera eficaz la secuencia génica de interés en la célula diana y conseguir la expresión deseada; esta finalidad propone contar con un adecuado sistema de vehiculización o transferencia, pero al mismo tiempo tener a la mano aquellos promotores que sean los más adecuados dependiendo sea el caso para conseguir la dicha expresión a su máximo, del gen insertado en la célula. Como principalmente hemos visto no es cuestión de

practicar o hacer tal técnica sin los protocolos ni los manejos adecuados, por que recordemos que existen múltiples casos en los cuales son diversos y cada uno presenta una función diferente, que hay que tener en cuenta a la hora de actuar, para evitar errores, ya que todas estas técnicas requieren de ciertos cuidados, teniendo todo esto en cuenta proseguiré con otros aspectos importantes. Los vectores tienen una funcionalidad e importancia en este tema, puesto que este vector es como un vehículo de reparto microscópico que va a "despachar" los paquetes del material genético a direcciones específicas que son las células blanco. Van a existir dos tipos de vectores: virales y no virales. Los vectores no virales van a ser aquellos métodos físicos o químicos, en los cuales se van a utilizar materiales naturales o sintéticos compatibles con el cuerpo humano, por lo que generar una respuesta inmunitaria es baja. Los vectores no virales más activamente investigados incluyen los basados en polímeros lipídicos, que encapsulan al transgén, protegiéndolo así a la degradación y entregándolo al interior celular, al fusionarse con la membrana celular que también es de naturaleza lipídica. En cambio, los vectores virales; los virus se ganan el protagonismo aquí, con este es posible aislar las partes del genoma del virus que los hacen tan eficaces en ingresar a las células y eliminar aquellas partes que causan una enfermedad o que permiten la replicación del virus al interior de la célula. Importante mencionar que esta clase de vectores son los más utilizados en las estrategias de terapias génicas, aprobadas por la FDA. Todo puede verse de la mejor manera, pero lamentablemente no siempre salen dándose resultados con éxito, existen diversos riesgos potenciales que trae como consecuencia de las terapias génicas, como número uno esta, las reacciones inmunes: una reacción inmune al sistema de administración de la terapia génica o la proteína terapéutica podría hacer que la terapia sea menos eficiente. También, los anticuerpos contra el sistema de administración de la terapia génica pueden evitar que se administre una eventual segunda dosis. Mutagénesis de inserción: la utilización de los vectores que inserten el transgén en zonas no deseadas en lo que va a ser el genoma del huésped puede resultar en una división celular descontrolada u oncogénesis de inserción. Inactivación involuntaria de otros genes con funciones importantes. Estos son solo algunas de las complicaciones. Por casi finalmente es indispensable mencionar cuales serían las ventajas y desventajas, como ventajas: 1) tx de enfermedades incurables, 2) tx personalizado, 3) potencial para prevenir enfermedades, 4) gran gama de aplicaciones, etc. Y como desventajas tenemos: 1) seguridad: es relativamente depende el caso, 2) respuesta inmunitaria inadecuada e inoportuna, 3) baja eficiencia de la transferencia génica: Lograr que el gen terapéutico se integre al genoma de la célula diana de manera eficiente y duradera sigue siendo un desafío, 4) expresión génica variable: La expresión del gen terapéutico puede variar en diferentes células, lo que dificulta predecir la eficacia del tratamiento, 5) alto costo.

## CONCLUSION

La terapia génica representa hoy y quizá desde siempre una de las fronteras más prometedoras de la medicina moderna. A pesar de los desafíos actuales que se nos pueden presentar y siguen pasando, los avances en este campo son exponenciales y siguen sorprendiendo cada vez más. Sólo el hecho de saber que existe la capacidad de modificar el genoma humano para tratar y prevenir muchísimas enfermedades hereditaria nos abre un gran abanico de posibilidades inimaginables hace apenas unas décadas. Si bien nos es crucial abordar las cuestiones éticas y regulatorias que plantea esta gran tecnología, su potencial para mejorar la calidad de vida de millones de personas es innegable. La terapia génica no solo es una promesa para el futuro, sino una realidad que está transformando la medicina tal como la conocemos, esto no se detiene y ahora como sabemos, todo avanza muy rápido que es cuestión que estudiemos, tomemos muy afondo todos los aspectos posibles y sobre todo nunca dejemos de aprender de estos sucesos, por que debemos manejarlo con cautela, un simple error podría llevarnos a lo imperdonable, sobre todo por aquellos pacientes que en verdad lo necesitan.

## BIBLIOGRAFIA

- Antología UDS
- Chen, Y. H., Keiser, M. S., & Davidson, B. L. (2018). Viral Vectors for Gene Transfer. *Current Protocols In Mouse Biology*, 8(4).
- Collins, M., & Thrasher, A. (2015). Gene therapy: progress and predictions. *Proceedings Of The Royal Society B Biological Sciences*, 282(1821), 20143003.
- Ángel Herráez Sánchez., & José. Luque. (2006). Texto ilustrado de Biología molecular e ingeniería genética.