



**Citlali Monserrath Campos Aguilar**

**Biología Molecular**

**Dr Andres Alonso Cancino Garcia**

**4“A”**

## La Terapia Génica

La terapia génica es una de las áreas más prometedoras y revolucionarias dentro de la biología molecular. Su objetivo es alterar el material genético de un individuo para corregir defectos que causan enfermedades, mejorando así la salud y la calidad de vida de los pacientes. Desde su concepción en los años 70, la terapia génica ha avanzado considerablemente, tanto en su comprensión teórica como en su aplicación práctica. En términos de biología molecular, la terapia génica se basa en la modificación del ADN de las células de un individuo para curar enfermedades genéticas, muchas de las cuales, hasta hace poco, se consideraban incurables.

La terapia génica se fundamenta en los principios básicos de la biología molecular, que busca modificar o reparar genes defectuosos en el ADN de las células para tratar enfermedades genéticas. El ADN, la molécula que almacena la información genética, se encuentra organizado en cromosomas dentro de los núcleos celulares. Las mutaciones en el ADN, ya sea por errores en la replicación o por exposición a agentes dañinos, pueden dar lugar a enfermedades hereditarias o adquiridas, como ciertos tipos de cáncer.

La biología molecular ha permitido a los científicos desarrollar métodos para introducir, modificar o reemplazar fragmentos de ADN dentro de las células de un paciente. Estos procedimientos requieren el uso de vectores, que son herramientas diseñadas para transportar material genético hacia las células objetivo. Tradicionalmente, los vectores utilizados son virus modificados que poseen la capacidad de transferir genes, aunque también se emplean enfoques no virales, como liposomas o nanopartículas. Estos vectores deben ser capaces de integrar el material genético en el genoma de las células del paciente sin causar efectos adversos.

Existen dos tipos principales de terapia génica: somática y germinal. La terapia génica somática está dirigida a las células no reproductivas del paciente, lo que implica que los efectos de la modificación genética se limitan a la persona tratada y no se transmiten a las futuras generaciones. En cambio, la terapia génica germinal busca modificar las células reproductivas (óvulos y espermatozoides), lo que potencialmente afectaría a las generaciones futuras. Si bien la terapia germinal se encuentra en un estadio incipiente, está rodeada de un intenso debate ético debido a las posibles implicaciones sociales y biológicas.

En la biología molecular, la terapia génica tiene aplicaciones en una variedad de enfermedades genéticas, muchas de las cuales tienen un origen en la alteración de un solo gen.

En los últimos años, los avances en la biología molecular han permitido una mayor precisión en los tratamientos de terapia génica. Uno de los desarrollos más destacados ha sido el uso de CRISPR-Cas9, una herramienta de edición genética que permite cortar y modificar el ADN con una precisión sin precedentes. CRISPR-Cas9 se ha utilizado con éxito en estudios experimentales para corregir mutaciones en genes que causan enfermedades como la anemia falciforme y la talasemia, ambas enfermedades de la sangre. Esta tecnología tiene el potencial de revolucionar la terapia génica, ya que permite realizar correcciones genéticas más precisas y menos propensas a efectos secundarios indeseados.

Otro avance significativo ha sido el desarrollo de vectores no virales, que presentan menos riesgos que los vectores virales tradicionales. Estos vectores no virales son más seguros, ya que no están asociados con la posibilidad de causar mutaciones no deseadas o reacciones inmunológicas graves. Las nanopartículas lipídicas, por ejemplo, se utilizan para transportar material genético sin la necesidad de recurrir a virus. Estos métodos están siendo investigados activamente, ya que pueden ofrecer una alternativa más segura y accesible a los métodos tradicionales.

A pesar de sus avances, la terapia génica enfrenta varios desafíos a nivel molecular y clínico. Uno de los principales problemas es la seguridad. Los vectores virales, aunque efectivos, pueden causar reacciones inmunológicas adversas o inducir la inserción de genes en lugares no deseados del genoma, lo que podría llevar a efectos secundarios graves, como el desarrollo de cáncer. La persistencia del tratamiento también es una preocupación, ya que la corrección de un gen defectuoso puede no ser permanente, y en algunos casos, el gen corregido puede ser desactivado por mecanismos celulares.

Otro desafío es el costo de las terapias génicas, que es extremadamente alto debido a la complejidad de los procedimientos y las tecnologías involucradas. El tratamiento de enfermedades raras mediante terapia génica puede costar cientos de miles de dólares, lo que limita su accesibilidad a una población reducida de pacientes.

La terapia génica, desde la perspectiva de la biología molecular, representa un campo de investigación fascinante y con un enorme potencial para transformar el tratamiento de enfermedades genéticas. A medida que avanzan las tecnologías de edición genética y de entrega de material genético, la capacidad para corregir defectos genéticos se vuelve más precisa y menos riesgosa. Sin embargo, los desafíos técnicos, éticos y económicos aún persisten y deben ser cuidadosamente considerados para garantizar que los beneficios de la terapia génica sean accesibles y seguros para todos los pacientes. A pesar de estos obstáculos, el futuro de la terapia génica es prometedor, y con el tiempo, podría ser una solución definitiva para muchas enfermedades genéticas hasta ahora incurables.

## BIBLIOGRAFIA

Molecular Biology of the Cell de Alberts et Alabama.