



UNIVERSIDAD DEL SURESTE
CAMPUS COMITAN
LIC. EN MEDICINA HUMANA



BIOLOGIA MOLECULAR
Ensayo sobre el tema de Terapia génica

Luis Brandon Velasco Sanchez
Dr Andrés Alonso Cansino García
4 A

La terapia génica es una rama de la biología molecular que busca tratar o incluso curar enfermedades mediante la modificación de los genes dentro de nuestras células. En lugar de tratar los síntomas de una enfermedad, como hacen muchos medicamentos, la terapia génica va más allá y aborda el problema desde su raíz. Esto se hace al cambiar el material genético, es decir, las instrucciones que las células utilizan para funcionar. Nuestros cuerpos están compuestos por millones de células, y cada una contiene ADN, una molécula que almacena toda la información necesaria para que funcionen correctamente. El ADN se organiza en genes, desde construir tejidos hasta defendernos de enfermedades. Sin embargo, cuando hay errores en el ADN, los cuales son mutaciones, las proteínas pueden funcionar mal o no producirse, lo que nos puede causar distintas enfermedades. Es aquí donde entra en juego la terapia génica.

La terapia génica representa uno de los avances más emocionantes en biología molecular. Esta tecnología permite tratar enfermedades a nivel genético, ofreciendo soluciones que parecían inalcanzables para la medicina hace unos años atrás. A lo que me lleva a realizar las siguientes preguntas retomando los puntos más importantes a mi consideración

¿Qué es el ADN y Por Qué Importa en la Terapia Génica?

El ADN es una molécula que se encuentra en cada célula del cuerpo y contiene las instrucciones necesarias para desarrollar y mantener la vida. Es el "libro de recetas" que guía cómo deben formarse las proteínas, las moléculas responsables de casi todas las funciones biológicas, como la digestión, la inmunidad y el crecimiento celular.

Los genes son secciones específicas de ADN que codifican para una función o proteína particular. Sin embargo, en algunos casos, los genes pueden tener mutaciones, que son errores en su secuencia de ADN. Estas mutaciones pueden provocar que el gen no funcione correctamente, lo que puede llevarnos al desarrollo de enfermedades

¿Cómo Funciona?

La terapia génica se propone corregir estas mutaciones, introduciendo genes sanos o alterando los defectuosos. Hay varios métodos para hacerlo los cuales son los siguientes:

1. **Añadir un Gen Nuevo:** En algunos casos, se introduce un gen normal que ayuda a compensar el defecto en el gen mutado.
2. **Modificar Genes Existentes:** Esta técnica se usa para "editar" un gen problemático. Herramientas como CRISPR-Cas9 permiten realizar cortes muy específicos en el ADN para corregir errores.
3. **Apagar Genes Problemáticos:** En algunas enfermedades, el problema está en un gen que produce demasiada proteína o que está activo en el momento equivocado. Apagar ese gen puede ser una solución.

La terapia génica tiene un enorme potencial para tratar enfermedades que actualmente no tienen cura o que requieren tratamientos de por vida. Es por eso que se considera a la terapia génica como una nueva esperanza para tratar enfermedades, ejemplo:

- **Enfermedades Genéticas:** Enfermedades como la fibrosis quística, hemofilia o distrofia muscular se deben a mutaciones en un solo gen. La terapia génica puede corregir o reemplazar el gen defectuoso. Ha mostrado potencial en enfermedades como la distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad que causa debilidad muscular y es causada por mutaciones en el gen DMD. Al introducir una copia funcional de este gen, se puede mejorar la producción de distrofina, una proteína esencial para el músculo
- **Cáncer:** Algunos tratamientos actuales de terapia génica modifican el sistema inmunológico del paciente para que pueda reconocer y atacar las células cancerosas. Han modificado células del sistema inmune del paciente para hacerlas capaces de identificar y atacar células cancerosas. Un ejemplo es la terapia CAR-T, en la que los linfocitos T del paciente son modificados para que reconozcan marcadores específicos en las células cancerosas y así las destruyan de manera precisa.
- **Enfermedades Infecciosas:** La terapia génica se está investigando también para tratar enfermedades virales como el VIH, intentando fortalecer el sistema inmunológico para combatir el virus. Una estrategia es modificar los glóbulos blancos para que sean resistentes al virus, lo que permitiría que el sistema inmunológico controle la infección sin la necesidad de medicamentos antirretrovirales de por vida.

Investigando un poco más me encontré con algunos Desafíos Éticos y Científicos de la Terapia Génica. La terapia génica, a pesar de sus ventajas, enfrenta varios retos significativos como puede ser su: Seguridad: Los científicos deben garantizar que los genes nuevos o modificados se introduzcan en el sitio correcto del ADN, pues si se insertan en el lugar incorrecto, pueden causar otras mutaciones o efectos secundarios. El rechazo inmunológico: En algunos casos, el sistema inmunológico reconoce los vectores virales como amenazas y los destruye antes de que puedan insertar el gen, lo que limita la eficacia de la terapia. Los costos y la accesibilidad: Actualmente, los tratamientos de terapia génica son extremadamente costosos, lo cual limita el acceso a quienes pueden beneficiarse de estos avances. Esta situación plantea dilemas éticos sobre quién debe recibir estas terapias y cómo pueden hacerse más accesibles.

También un punto importante a tomar es el futuro de la terapia génica. La terapia génica está en constante evolución, y su potencial parece no tener límites. Con el desarrollo de nuevas herramientas como CRISPR y la aparición de terapias génicas más específicas, se espera que en el futuro haya tratamientos efectivos y accesibles

para una variedad de enfermedades genéticas y complejas. La biología molecular y la terapia génica están reescribiendo la medicina moderna. Si bien aún hay obstáculos importantes, el avance continuo en este campo nos acerca cada vez más a un futuro donde podamos curar enfermedades desde su raíz genética.

Conclusión

La terapia génica es una tecnología revolucionaria con el poder de cambiar la medicina tal como la conocemos. Aunque aún enfrenta retos importantes, su desarrollo ha abierto un mundo de posibilidades para tratar enfermedades que antes se consideraban incurables. En los próximos años, es probable que veamos más avances en esta área, con terapias cada vez más seguras, accesibles y efectivas.

BIBLIOGRAFIAS

- Kantor, B., Ma, H., Webster-Cyriaque, J., Monahan, P. E., & Kafri, T. (2014). Epigenetic gene regulation by lentivirus vectors containing an inducible suicide gene. *Molecular Therapy*, 22(5), 1007-1018. <https://doi.org/10.1038/mt.2014.35>
- Wang, D., Tai, P. W., & Gao, G. (2019). Adeno-associated virus vector as a platform for gene therapy delivery. *Nature Reviews Drug Discovery*, 18(5), 358-378. <https://doi.org/10.1038/s41573-019-0007-9>
- Ylä-Herttuala, S. (2019). Endgame: Glybera finally recommended for approval as the first gene therapy drug in the European Union. *Molecular Therapy*, 20(10), 1831-1832. <https://doi.org/10.1038/mt.2012.194>
- Ginn, S. L., Amaya, A. K., Alexander, I. E., Edelstein, M., & Abedi, M. R. (2018). Gene therapy clinical trials worldwide to 2017: An update. *The Journal of Gene Medicine*, 20(5), e3015. <https://doi.org/10.1002/jgm.3015>