



## Licenciatura en medicina humana

**Luis Josué Méndez Velasco**

**Dr. Andrés Alonso Cancino García**

**Terapia génica**

PASIÓN POR EDUCAR

**Biología molecular**

**4° "A"**

La terapia génica ha emergido como una de las innovaciones más prometedoras en el campo de la medicina moderna, ofreciendo la posibilidad de tratar e incluso curar enfermedades genéticas que hasta ahora eran consideradas incurables. Al dirigirse directamente a la raíz del problema mediante la modificación del material genético dentro de las células, esta técnica tiene el potencial de cambiar radicalmente la manera en que entendemos y tratamos una amplia gama de condiciones médicas. Gracias a los constantes avances en este campo se han dado cuenta de que una célula puede ser modificada introduciendo un gen en el organismo diana, tiene como objetivo tratar o prevenir enfermedades mediante la modificación de la información genética dentro de las células de un individuo. A diferencia de las terapias tradicionales, que generalmente tratan los síntomas de las enfermedades, la terapia génica se dirige a encontrar los problemas desde un nivel celular del organismo y por ello en la raíz de la enfermedad que tiene el paciente. Se puede definir a la terapia génica como un conjunto de técnicas y procesos que permitan la modificación de una célula diana mediante su ARN o ADN y con ello modificar la producción de proteínas, revirtiendo de esa forma la patología subyacente que tiene el organismo. La base de la terapia génica radica en la introducción, eliminación o modificación de material genético en las células de un paciente para corregir un defecto genético subyacente. Esto puede lograrse de diversas maneras, incluyendo la inserción de un gen funcional, la corrección de un gen defectuoso, o la desactivación del gen que está causando problemas.

Se puede dividir según el tipo de célula diana que utiliza la terapia génica, células germinales que están dirigidas a modificar la dotación génica desde el momento de la concepción con espermatozoides y óvulos, con ello modificando de manera permanente las futuras generaciones de descendientes del organismo en cuestión que se modificó, además la terapia génica somática, la cual consiste en modificar células no germinales que formen parte del organismo en cuestión. Por otra parte, se puede dividir en dos grandes vertientes para la aplicación de la terapia génica, la terapia génica in vivo en la cual el material genético se introduce directamente en el cuerpo del paciente (dentro del ser vivo). Se utiliza comúnmente para el uso de vectores virales (como los adenovirus o los lentivirus) con el objetivo de entregar genes terapéuticos a las células objetivo. Por otra parte, tenemos a la terapia génica ex vivo, en la cual las células del paciente se extraen, se modifican genéticamente en el laboratorio y luego se reintroducen en el cuerpo (fuera del ser vivo). Su uso en clínica se basa en el tratamiento de enfermedades hematológicas, como la beta-talasemia y la anemia falciforme.

Explicando sus procesos (introducción, eliminación o modificación del material genético) la inserción de genes, en la cual se introduce un gen funcional en las células del paciente para compensar la función de un gen defectuoso. por ejemplo, en el caso de la terapia génica para la hemofilia, se introduce el gen responsable de producir el factor de coagulación faltante y con ello solucionando el problema de raíz. Por otra parte, en la corrección de genes, en las cuales hay técnicas como CRISPR-Cas9 que permiten corregir mutaciones

específicas en el ADN del paciente, restaurando la función normal del gen. Por último, en la inactivación de genes, en las cuales se desactivan genes que están causando enfermedades. Esto es útil en enfermedades como ciertos tipos de cáncer, donde la eliminación de un oncogén activo puede detener la proliferación celular descontrolada.

La terapia génica ha mostrado resultados prometedores en el tratamiento de varias enfermedades genéticas y no genéticas. Entre ellos el tratamiento de enfermedades raras como la distrofia muscular de Duchenne y la enfermedad de Gaucher que han sido objeto de ensayos clínicos exitosos que utilizan terapia génica para mejorar la calidad de vida de los pacientes. Otros usos de la terapia génica son el tratamiento de cáncer con células CAR-T, una forma de terapia génica, han revolucionado el tratamiento de ciertos tipos de cáncer, como la leucemia linfoblástica aguda y con ello mejorando la calidad de vida de las personas con una opción de tratamiento para enfermedades que no tienen cura o que son de etiología genética.

A pesar de su potencial, la terapia génica enfrenta varios desafíos técnicos y éticos. Entre los desafíos técnicos se esta la entrega eficiente y específica de genes terapéuticos, la prevención de respuestas inmunes adversas y la durabilidad de los efectos terapéuticos. Por otra parte en los términos éticos causan discusión ya que se tienen muchas preocupaciones en las que incluyen la manipulación genética hereditaria, el acceso equitativo a los tratamientos y el posible uso indebido de la tecnología, ya que este es un procedimiento poco refinado e universalizado, lo cual causa un alto aumento de los precios de estas técnicas y la necesidad de acudir a lugares altamente especializados en zonas que no todos pueden acudir, sumado las altas esperas para el tratamiento experimental de las enfermedades provocando de esta manera que sean tratamientos para pocas personas. La terapia génica no está exenta de desafíos. Los obstáculos técnicos, como la entrega eficiente de genes terapéuticos y la minimización de respuestas inmunes adversas, son áreas que requieren atención continua. Además, las cuestiones éticas relacionadas con la manipulación genética hereditaria y el acceso equitativo a estos tratamientos revolucionarios plantean importantes debates que deben ser abordados con responsabilidad y rigor. En conclusión, la terapia génica representa un hito en la búsqueda de tratamientos más efectivos y personalizados. Con el avance continuo de la tecnología y la investigación, es probable que esta disciplina se convierta en una parte esencial del arsenal terapéutico contra una multitud de enfermedades, brindando esperanza y nuevas oportunidades para mejorar la calidad de vida de millones de personas en todo el mundo. A medida que superamos los desafíos técnicos y éticos, la promesa de la terapia génica se convierte en una realidad cada vez más tangible, marcando el inicio de una nueva era en la medicina. La terapia génica representa un avance monumental en la medicina y ofrece una esperanza renovada para el tratamiento de enfermedades que antes se consideraban incurables. A medida que la ciencia y la tecnología continúan avanzando, es probable que la terapia génica se convierta en una parte integral de la medicina personalizada, mejorando significativamente la calidad de vida de innumerables pacientes.

Bibliografía:

Karp, G. (2000). *Biología celular y molecular*. McGraw-Hill Interamericana.