



**Josué Alejandro Roblero Díaz**

**Dr. Andrés Alonso Cancino García**

**Ensayo de Terapia Génica**

**Biología Molecular**

PASIÓN POR EDUCAR

**4°**

**A**

Comitán de Domínguez Chiapas a 05 de noviembre de 2024.

## Introducción

Se dice que las terapias genéticas introducen nuevo material genético en el cuerpo de un paciente para tratar o desacelerar la progresión de una enfermedad genética. Por ello la función de la terapia genética se ha sido desarrollada para tratar o prevenir una enfermedad mediante la administración de nuevo material genético en las células afectadas utilizando un vehículo de administración conocido como vector. Juntos con los genes aportan las instrucciones sobre cómo fabricar las proteínas que nuestro cuerpo necesita. Las terapias genéticas solo se dirigen a células específicas del organismo.

Entonces la composición genética es basada de una persona no cambia, únicamente las células a las que se dirige la terapia. Sin embargo, lo que significa la aprobación acelerada de medicamentos por parte de la FDA, es que es la aprobación acelerada a un mecanismo de aprobación mediante el que la FDA por ello determina si un producto si es seguro, eficaz y si está listo para ser comercializado por una empresa. Ambos mecanismos son importantes, pero desempeñan papeles muy diferentes en el acceso a productos innovadores.

Entonces los efectos que tendrá la terapia genética en el cuerpo son que introducen un nuevo código genético que puede restaurar funciones críticas que no se encuentran en las células del organismo de un paciente. Las terapias genéticas solo se dirigen a células específicas del cuerpo. La composición genética básica de una persona no cambia, únicamente las células a las que se dirige la terapia.

Sin embargo, la terapia genética empeorará el problema ya que ni la respuesta de sus efectos secundarios pueden predecirse con exactitud en el caso de ningún individuo. Pueden producirse efectos secundarios inesperados o la muerte después de la terapia genética, pero son poco frecuentes en pacientes cuyo desarrollo se monitoriza y controla estrechamente durante varios meses después del tratamiento.

Existen los posibles beneficios de la terapia genética cuyo objetivo de la terapia genética es introducir una copia sana de un gen que no se encuentra o que no funciona de forma óptima en los pacientes. Los estudios en animales y los ensayos clínicos en humanos han demostrado que las terapias genéticas pueden restaurar la función física, o detener o desacelerar la progresión de una enfermedad.

## Ensayo

Se dice que la terapia génica es un tratamiento alternativo a los abordajes farmacológicos, por ello quirúrgicos y de índole convencional que se está desarrollando tanto a nivel experimental como clínico. En esta revisión, más allá de mencionar los avances y presentar un panorama del tema en el área biomédica, se pretende entonces ampliar el concepto de ADN, desde su función como reservorio fundamental de información para la síntesis de proteínas hasta sus acciones como fármaco.

Por ello se espera que el ADN es encapsulado en vectores o directamente aplicado al tejido, se cumpla la función que el gen defectuoso no puede realizar mediante su reemplazo, o impida que un gen desregulado permanezca activo, a través de mecanismos de interferencia. En estos objetivos no solo están dirigidos al tratamiento de pacientes de diferentes edades, sino también de individuos aún no natos, entonces como lo evidencian numerosos son abordajes experimentales de terapia génica intrauterina.

Sin embargo, lo hablamos de que se dice que actualmente existen varios productos comerciales surgidos en el contexto de la terapia génica. Ya que una vez que este tipo de tratamiento sortee aquellos aspectos que todavía constituyen importantes factores de riesgo, se establezcan acuerdos éticos y se equilibren los costos de las intervenciones, constituirá una alternativa a los métodos convencionales para tratar ciertas enfermedades. El ADN y el ARN se presentan como los futuros fármacos en acción de las próximas décadas.

En la terapia génica constituye una forma de manipulación genética que trata de corregir o disminuir los efectos que ocasionan enfermedades de origen genético. Se dice que existen grandes esperanzas en el desarrollo de este tipo de terapia, sobre todo para enfermedades somáticas de origen genético que no tienen curación. Pero hay también numerosas dificultades técnicas que no están del todo resueltas. No se ha demostrado todavía eficacia clínica y se pueden producir daños irreversibles en el organismo. Por una parte, existe la necesidad de regular por medio de protocolos que deben ser rigurosamente analizados por comités de evaluación ética y científica y, por otra, hace falta un diálogo entre países, con el fin de evitar una presentación exitista de la técnica en el mercado sin mencionar sus dificultades inherentes.

Entonces una de las preocupaciones mayores es que la aceptación paulatina de este tipo de terapia, y la eliminación de restricciones, permita el uso de la técnica para terapia génica germinal y para terapia génica de mejoría, cuya validez ética es cuestionada. Por ello al usar la terapia génica en células germinales conlleva el riesgo de introducir daños genéticos en generaciones posteriores. La terapia génica somática comenzó a principios de los años 90 del siglo que acaba de terminar con unas enormes expectativas, que en el transcurso de los años siguientes se vieron parcialmente defraudadas debido a las dificultades y problemas que impidieron el logro de avances significativos. Parte de estas expectativas fueron potenciadas por los

intereses de los propios grupos de investigación, necesitados de encontrar fuentes de financiación para sus ensayos.

En estas mismas necesidades llevaron en algunas ocasiones a realizar protocolos de investigación con pocas garantías, en los que se ocultaron a los organismos responsables de su control algunos de los resultados adversos que se produjeron. Esta situación llegó a provocar una crisis de confianza en los ensayos de terapia génica cuando se dio a conocer que se había ocultado la muerte de una persona como consecuencia del tratamiento al que había sido sometida. Pese a estos problemas las técnicas de terapia génica somática se han ido desarrollando y siguen siendo una vía muy prometedora, aunque no tan inminente como en un principio se pensaba, para la lucha contra un buen número de enfermedades genéticas.

Existe un amplio acuerdo sobre la idea de que la terapia génica somática no plantea problemas éticos distintos de los de cualquier otro tratamiento terapéutico nuevo en fase experimental. Pero se considera muy necesario, sobre todo a la luz de las experiencias negativas ocurridas, que los protocolos que se pongan en práctica se desarrollen con mucha prudencia y con un control estricto por parte de las comisiones científicas y éticas destinadas a tal fin. Asimismo, es necesario que los intereses económicos de las empresas privadas con inversiones en este campo no interfieran negativamente en lo que debe ser una buena y segura práctica de experimentación clínica.

Por lo que se refiere a la terapia germinal, resulta rechazable porque sus supuestas ventajas no compensan los peligros asociados a la misma, toda vez que existen alternativas terapéuticas con el mismo potencial y que no comportan los mismos riesgos. Únicamente en la perspectiva de una ingeniería genética de mejoramiento humano, que nosotros rechazamos, tendría sentido la modificación genética de las células germinales.

La terapia génica es un procedimiento innovador que esboza en su aplicación conflictos potenciales de orden médico, ético, económico y social. Puede ser definida como la transferencia de genes a células humanas específicas con el objetivo de producir un efecto terapéutico con el que se pueda corregir un defecto genético. A pesar de la seguridad para la intervención génica, emerge una consideración ética, que, si bien ha de estar presente en cualquier tipo de terapia, en la terapia génica, por su naturaleza, se hace relevante. Es posible un cambio de la selección natural y de la especie; presupuestos que han mantenido la variabilidad de nuestro material genético y han permitido la diversidad de la humanidad, la emergencia del principio de autonomía y el ejercicio de la dignidad humana a través de la libertad.

Una terapia, cualquiera que sea, surge para volver al individuo a un estado saludable; debe realizarse en función del bien del hombre y no en detrimento de este o en la búsqueda irresponsable de solo su bienestar.

## Conclusión

La terapia génica presenta aspectos positivos y negativos y debe ser analizada dentro de una perspectiva ética, que se ve facilitada al conocer la evolución de este campo de la genética. En teoría, este enfoque debería ser muy eficaz en la lucha contra las enfermedades genéticas y hereditarias. La terapia génica de células somáticas consiste en transferir genes terapéuticos a las células somáticas de un paciente. Cualquier modificación y cualquier efecto se limitan únicamente a ese paciente y no se heredan a las generaciones futuras.

# Bibliografía

Harvey, L. (2023). *Biología Celular y Molecular*. Medica Panamericana.

