



Ensayo

Briseida Guadalupe Torres Zamorano.

Parcial 3

Biología Molecular

Dr. Andrés Alonso Cancino García

Medicina Humana

4° "A"

Comitán de Domínguez, chis; A 08 de noviembre de 2024.

Terapia Genética

La terapia genética es una de las áreas más prometedoras y avanzadas de la biomedicina contemporánea. Consiste en la modificación de genes dentro de las células de un paciente con el objetivo de tratar o prevenir enfermedades. Desde su aparición, ha generado expectativas y debates sobre su potencial para transformar el tratamiento de diversas patologías, incluyendo enfermedades hereditarias, ciertos tipos de cáncer y trastornos genéticos raros, la terapia genética se basa en la premisa de que muchas enfermedades son causadas por anomalías en los genes. Estas anomalías pueden ser mutaciones que alteran la función de proteínas esenciales, lo que a su vez interfiere con procesos celulares críticos. La terapia busca corregir estas anomalías introduciendo, eliminando o modificando material genético en las células del paciente.

La terapia genética es una de las áreas más prometedoras y avanzadas de la biomedicina contemporánea. Consiste en la modificación de genes dentro de las células de un paciente con el objetivo de tratar o prevenir enfermedades. Desde su aparición, ha generado expectativas y debates sobre su potencial para transformar el tratamiento de diversas patologías, incluyendo enfermedades hereditarias, ciertos tipos de cáncer y trastornos genéticos raros.

Los Fundamentos de la Terapia Genética, se basan en la premisa de que muchas enfermedades son causadas por anomalías en los genes. Estas anomalías pueden ser mutaciones que alteran la función de proteínas esenciales, lo que a su vez interfiere con procesos celulares críticos. La terapia busca corregir estas anomalías introduciendo, eliminando o modificando material genético en las células del paciente.

La terapia génica se divide en dos categorías principales: la terapia génica de células germinales y la terapia génica somática y Cada una tiene características, aplicaciones y consideraciones éticas distintas.

La terapia génica de células germinales se centra en modificar el material genético de las células que forman los gametos (óvulos y espermatozoides). Este enfoque tiene el potencial de corregir enfermedades congénitas de manera definitiva, ya que las modificaciones serían transmitidas a la descendencia. Sin embargo, este tipo de terapia plantea importantes desafíos éticos y técnicos:

Implicaciones Éticas: La modificación del genoma humano en células germinales genera un debate sobre las consecuencias a largo plazo en la evolución y la diversidad genética. También surgen preocupaciones sobre la posibilidad de "bebés de diseño" y el acceso equitativo a estas tecnologías.

Seguridad y Eficacia: Actualmente, la terapia génica de células germinales no ha alcanzado un nivel de seguridad y eficacia que permita su aplicación clínica generalizada. Las técnicas deben ser perfeccionadas para minimizar riesgos de mutaciones no intencionadas y efectos adversos en la salud.

Regulación: Muchos países tienen regulaciones estrictas que restringen o prohíben la modificación del genoma humano en líneas germinales, lo que refleja la preocupación por sus implicaciones éticas y sociales.

Terapia Génica Somática

La terapia génica somática se dirige a modificar el ADN de células no germinales, es decir, las células somáticas que constituyen el organismo. Las modificaciones en este caso no son heredables, lo que significa que no se transmiten a la descendencia. Este enfoque tiene varias ventajas:

Menores Riesgos Éticos: Al no afectar a las células germinales, la terapia somática elude muchas de las preocupaciones éticas asociadas a la modificación del genoma humano.

Aplicaciones Clínicas: La terapia génica somática ha mostrado resultados prometedores en el tratamiento de diversas enfermedades, como trastornos genéticos, ciertos tipos de cáncer y enfermedades infecciosas. Por ejemplo, se han desarrollado tratamientos para la distrofia muscular y la hemofilia.

Desarrollo Tecnológico: Las técnicas utilizadas en la terapia somática, como la edición genética mediante CRISPR, están avanzando rápidamente, lo que permite su aplicación en ensayos clínicos y la búsqueda de tratamientos efectivos.

La terapia génica puede clasificarse según la estrategia utilizada para introducir el material genético. Estas clasificaciones son fundamentales para entender cómo se aplica la terapia y sus respectivas ventajas y desventajas.

Terapia Génica In Vivo, el material genético se introduce directamente en el organismo del paciente sin necesidad de extraer y manipular células fuera del cuerpo. Esto se logra mediante la administración de vectores que llevan el gen terapéutico al sitio deseado, dentro de las desventajas está; La técnica es menos compleja en comparación con la terapia ex vivo, ya que no requiere cultivos celulares ni procedimientos quirúrgicos extensos, y esto requiere de menor Tiempo de Tratamiento, claro ya que la intervención puede ser más rápida, permitiendo una respuesta inmediata del organismo.

Dentro de eso entran los desafíos, esto se logra que el material genético llegue exactamente a las células diana puede ser complicado, como todo procedimiento es presentar posibles efectos secundarios, el uso de vectores puede desencadenar respuestas inmunológicas no deseadas.

La Terapia Génica Ex Vivo, implica la extracción de células del paciente, su aislamiento y cultivo en un laboratorio, donde se les introduce el material genético antes de reintroducirlas en el organismo. Este método permite un control más preciso sobre el proceso de modificación sus ventajas son

Control en el Proceso: La manipulación en un entorno controlado permite ajustar el protocolo y optimizar la eficacia de la transferencia genética y mayor especificidad se pueden seleccionar y modificar células específicas, lo que puede mejorar la eficacia del tratamiento, dentro de sus desafíos es que puede presentar complejidad, y requiere varios pasos, desde la extracción hasta la reintroducción, lo que puede aumentar el riesgo de complicaciones, además requiere de tiempo y recursos, esto puede ser más costosa y llevar más tiempo en comparación con las técnicas in vivo.

Métodos de transferencia y promotores, Para lograr la introducción eficaz de la secuencia génica en las células diana y garantizar su expresión, es crucial contar con sistemas de transferencia adecuados. Esto incluye el uso de vectores (virales o no virales) que transportan el material genético al interior de las células.

Sistemas de vehiculización, en esto entra los vectores virales: Utilizan virus modificados para entregar el material genético. Son altamente eficientes en la entrega, pero pueden presentar riesgos de respuesta inmune, y los vectores no virales: Incluyen liposomas y nanopartículas, que son menos eficientes pero suelen ser más seguros y menos inmunogénicos.

Los promotores son secuencias de ADN que regulan la expresión del gen insertado. Elegir un promotor adecuado es esencial para asegurar que el gen terapéutico se exprese de manera efectiva y controlada en las células diana, promotores constitutivos, esto permiten la expresión continua del gen, independientemente de las condiciones celulares, promotores inducibles: Su expresión puede ser controlada por factores externos, lo que permite una regulación más precisa.

Conclusión

La terapia génica representa un avance significativo en la medicina moderna, ofreciendo la posibilidad de tratar y, en algunos casos, curar enfermedades genéticas que antes eran consideradas intratables. Ambas formas de terapia génica tienen el potencial de revolucionar la medicina y el tratamiento de enfermedades genéticas. Sin embargo, mientras que la terapia de células germinales podría ofrecer una solución definitiva, enfrenta importantes desafíos éticos y de seguridad. La terapia somática, aunque más aceptada y aplicada en la actualidad, no aborda la transmisión de enfermedades a futuras generaciones, la terapia génica, ya sea *in vivo* o *ex vivo*, ofrece herramientas poderosas para tratar enfermedades genéticas. La elección de la estrategia y los métodos de transferencia adecuados son cruciales para el éxito de la terapia. A medida que la investigación avanza, se espera que estas técnicas se perfeccionen, mejorando la eficacia y seguridad de los tratamientos genéticos y abriendo nuevas oportunidades para el manejo de enfermedades hasta ahora incurables.

Bibliografía

- Biología molecular fundamentos y aplicaciones carlos beas, Daniel Ortuño 2009
- Lodish, H., *et al.* Molecular Cell Biology, 5th ed., W. H. Freeman, 2004.
[Biología celular y molecular (5ª ed.). Editorial médica panamericana, 2005