



Mi Universidad

Resumen Alzheimer

Méndez López Carlos Javier

Cuarto parcial

Biología molecular

Dra. Iris Mayela Toledo

Medicina humana

Cuarto semestre, grupo "C"

Comitán de Domínguez, Chiapas a 30 de junio del 2025

— TERAPIA GENETICA EN ENF. NEURODEGENERATIVAS.

(Alzheimer)

Luis

Terapias Modificadoras de la enfermedad: 17/06/23

Se han desarrollado terapias que buscan modificar el curso de la enfermedad, en lugar de solo tratar los síntomas. Estas incluyen anticuerpos monoclonales dirigidos contra la proteína **beta-amiloide**, como el **aducanumab**, que han mostrado resultados mixtos en ensayos clínicos.

La terapia génica en la enfermedad del Alzheimer (EA) representa un enfoque emergente y prometedor, orientado a modificar la base genética de la patología.

Utiliza herramientas como **CRISPR/Cas9** para editar genes implicados, especialmente el **APP**, principal factor genético de riesgo en EA.

También explora vectores virales para introducir genes terapéuticos que **protejan los neuronas** o **modulen** procesos neurodegenerativos. Aunque aún en fase experimental, la terapia génica de riesgo en EA.

La terapia génica podría permitir tratar causas subyacentes de la EA, ofreciendo alternativas a largo plazo frente a tratamientos sintomáticos actuales.

Silenciamiento de genes productores de proteínas tóxicas:

La acumulación de proteínas como la beta-amiloide es característica de la EA. La terapia génica busca reducir la producción de estas proteínas mediante el silenciamiento de los genes responsables, utilizando técnicas como el ARN.

interferente (ARNi) y los oligonucleicos antisentido.

Restauración de factores neurotróficos:

Los factores neurotróficos, como el factor de crecimiento nervioso (NGF), son esenciales para la supervivencia y función de las neuronas. La terapia génica puede introducir genes que modifican estos factores para promover la salud neuronal y prevenir la degeneración.

Edición genética para corregir mutaciones:

Herramientas como CRISPR/Cas9 permite la edición precisa del ADN para corregir mutaciones específicas asociadas con la EA. Esta estrategia tiene el potencial de tratar formas hereditarias de la enfermedad al corregir directamente los defectos genéticos.

Aducanumab: Es un anticuerpo monoclonal (IgG1-mAb) que se dirige al epítopo N-terminal formado por los aminoácidos 3-7 péptidos A β 42, mostrando una mayor afinidad por los agregados fibrilares que por los monómeros.

Donanemab: Es un tratamiento que consiste en administrar un anticuerpo anti-amiloide a través de una infusión intravenosa (IV).

Lecanemab: Es un anticuerpo monoclonal que se dirige a las placas de beta-amiloide. El lecanemab se une a los protofibrillos, que son tipo de beta-amiloide que es perjudicial para las neuronas.