

Terapia génica

La terapia génica es una forma de restaurar la funcionalidad en células en las que faltan genes o en las que los genes no funcionan debidamente. Los genes contienen toda la información para la formación y mantenimiento de células, y están codificados mediante ácido desoxirribonucleico (ADN). El núcleo de cada célula contiene veintitrés pares de cromosomas en los que se encuentran miles de genes. Algunas enfermedades son causadas por ligeros cambios en el ADN de nuestros genes, lo que se conoce como variaciones genéticas. Las variaciones se producen cuando la información codificada por nuestros genes se copia incorrectamente, lo que puede conllevar la producción de proteínas defectuosas que causan enfermedades. La terapia génica se utiliza para solucionar el problema en su origen. Eso quiere decir que los tejidos y órganos enfermos podrán volver a funcionar debidamente.

La terapia génica es una técnica extremadamente experimental que ha demostrado ser prometedora en algunos ensayos clínicos en humanos para enfermedades como las inmunodeficiencias (cuando el sistema inmunitario no funciona debidamente), la distrofia muscular (pérdida progresiva de músculo esquelético) y la anemia (disminución del número o funcionamiento de los glóbulos rojos). Desde 1990, se han realizado más de 1700 ensayos clínicos en todo el mundo.

El enfoque de la terapia génica resulta útil en enfermedades en las que se ve afectado un único gen, ya sea por una variante simple o por múltiples variaciones del mismo gen. En enfermedades en las que están implicados múltiples genes, este enfoque resulta mucho más complicado y es menos probable que funcione.

Otros recursos

- Sociedad Europea de Terapia Génica y Celular. (29 de octubre de 2011). *Introduction to Gene Therapy*. Recuperado el 17 de junio de 2015 de <https://web.archive.org/web/20170130082943/http://www.esgct.eu/useful-information/introduction-to-gene-therapy.aspx>

Referencias

1. U.S. National Library of Medicine. (2015). *Genetics Home Reference*. Retrieved June 17, 2015, from <http://ghr.nlm.nih.gov/>

A2-1.06.6V1.1