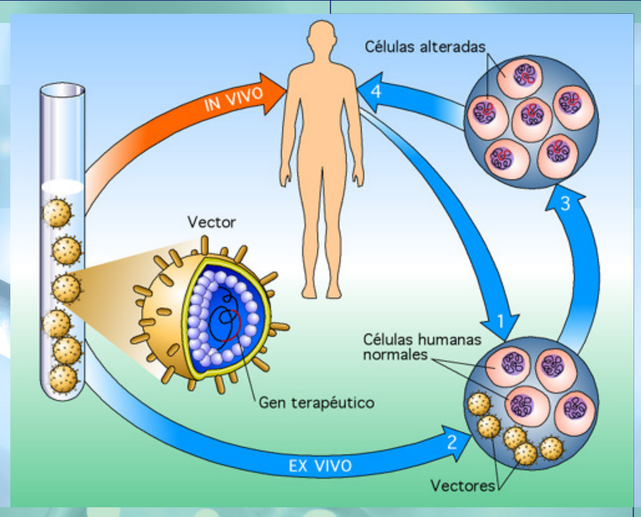
HERRAMIENTAS MOLECULARES PARA EL DESARROLLO DE TRATAMIENTOS BASADOS EN LA TERAPIA GÉNICA

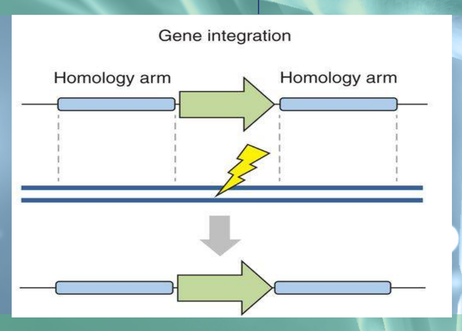
·RESUMEN

La alta prevalencia de enfermedades de origen, nos ha obligado a estudiar y desarrollar herramientas para la modificación del genoma que sean específicas y seguras. Dentro de estas herramientas encontramos las nucleasas y vectores que están continuamente siendo modificados para poder introducir mejoras y que sean capaces de llegar a su lugar de destino de manera específica y así evitar efectos secundarios. De momento estas herramientas están siendo utilizadas para el tratamiento de enfermedades monogénicas.

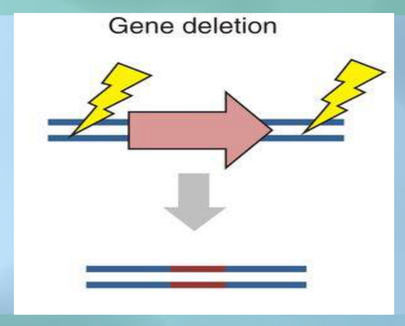
¿QUÉ ES LA TERAPIA GÉNICA?



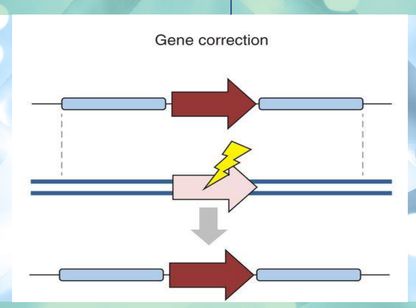
Adición génica



Supresión génica

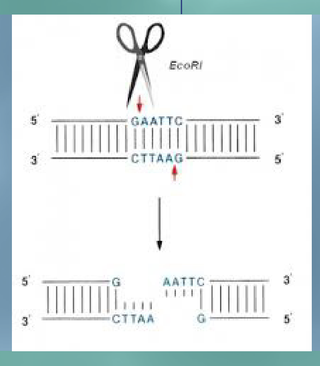


Reparación genética

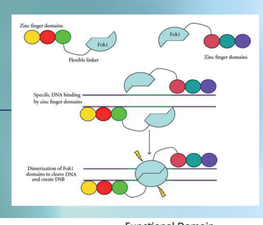


Edición del genoma

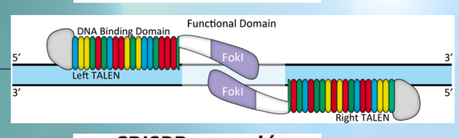
Nucleasa ó enzima de restricción



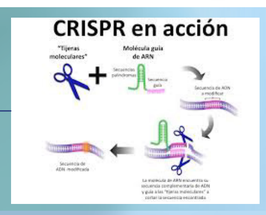
- ·Meganucleasas (MNs)
- ·Zinc finger nucleases (ZFN)



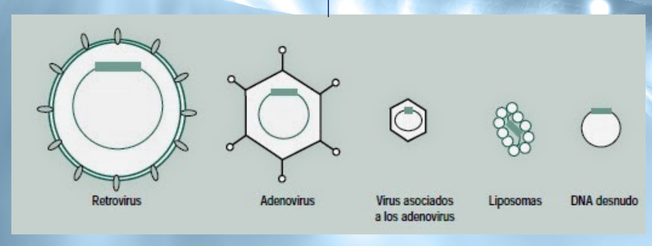
- ·Transcription activator-like effector nuclease (TALENs)

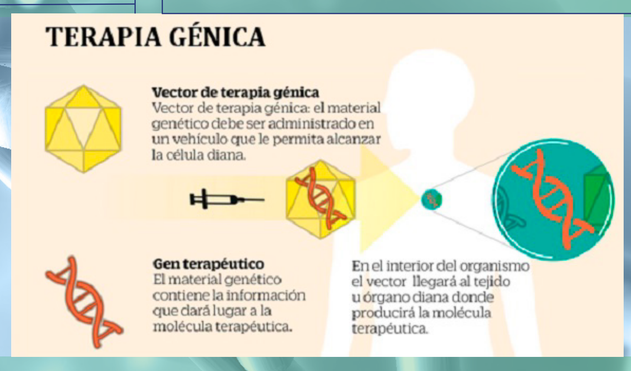


- ·CRISPR/Cas9

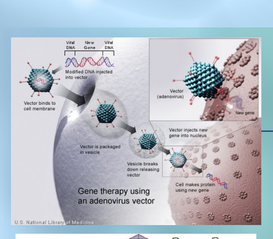


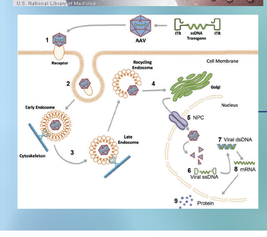
Vector



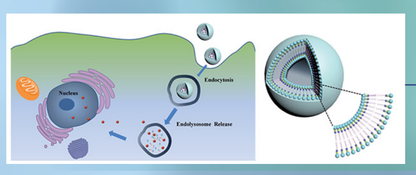


- ·Adeno-associated virus (AAVS)





- ·Liposomas



·CONCLUSIONES

1. Las herramientas de edición del genoma están siendo investigadas para la cura de enfermedades monogénicas
2. Una de las cosas en las que se está haciendo un mayor hincapié es en la mejora de la toxicidad para que no actúen sobre sitios fuera del destino específico y así no causar efectos secundarios.
3. De momento la mayoría de los ensayos se están llevando a cabo in vitro.
4. Ya se han visto avances en enfermedades como el HIV-1, virus del papiloma humano, hepatitis B... entre muchas otras.