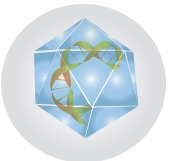
Terapia génica

Técnica basada en tratar algunas enfermedades provocadas por la falta o disfunción de un gen al sustituirlo con su versión correcta.

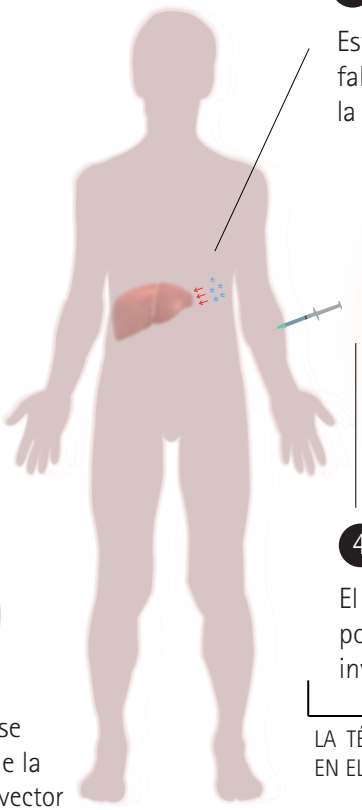
Prometedor método terapéutico para trtar la enfermedad de Wilson. Los primeros ensayos clínicos en pacientes se prevén para finales de 2018.

1 Síntesis del ADN del gen terapéutico.

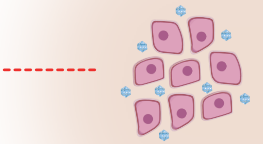
2 Selección de la cápside (Anc80).



3 El gen terapéutico se encapsula dentro de la cápside y se crea el vector viral optimizado VTX801.

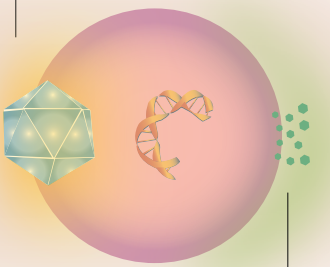


5 Este virus se dirige a la célula cuya falta o disfunción de un gen causa la enfermedad.



4 El virus optimizado VTX801 portador del gen terapéutico se inyecta en el paciente.

6 El VTX801 libera el gen terapéutico dentro de la célula dañada.



7 En el interior de la célula, el gen terapéutico expresa la proteína necesaria para corregir la enfermedad.

LA TÉCNICA *IN VIVO* CONSISTE EN LA INTRODUCCIÓN DEL ADN TERAPÉUTICO, SINTETIZADO EN EL LABORATORIO, DIRECTAMENTE EN EL CUERPO DEL PACIENTE.

FUENTE: Centro de Investigación Médica Aplicada (CIMA), Universidad de Navarra