



¿HACIA DÓNDE PODRÍA DIRIGIRSE AHORA EL TRATAMIENTO DE LA HEMOFILIA?



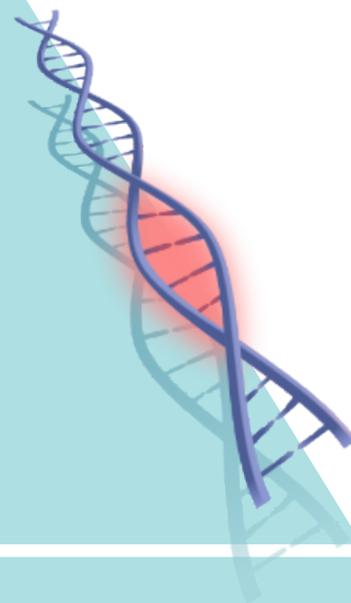
Acerca de la hemofilia

La hemofilia está causada por una mutación en un único gen. En la hemofilia A, el gen F8 está mutado, por lo que el organismo produce una proteína no funcional, limitada o sin factor VIII. En la hemofilia B, el gen F9 está mutado y el organismo produce una proteína no funcional, limitada o sin factor IX.

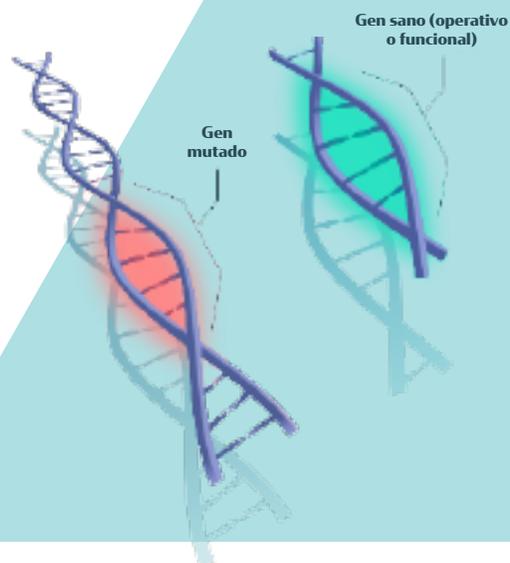
Estas proteínas, conocidas como factores de coagulación, trabajan juntas para ayudar a coagular la sangre correctamente y detener las hemorragias. Si hay un nivel bajo de cualquiera de los factores de coagulación, se ven afectados los pasos necesarios para detener las hemorragias.



Escanee para obtener más información sobre la hemofilia o visite <https://www.hemhorizonte.com/about-hemophilia>



Escanee para continuar leyendo sobre el potencial de la terapia génica o visite <https://www.hemhorizonte.com/potential-gene-therapy>



Potencial de la terapia génica

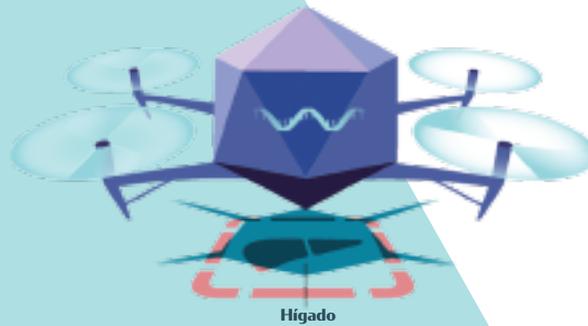
En la actualidad hay diferentes enfoques de la medicina genética que se están estudiando en varias áreas terapéuticas. En la hemofilia, la mayoría de los ensayos clínicos se han centrado en la transferencia o adición de genes, que es la transferencia o adición de material genético a la célula. Este recurso se centra en la terapia génica (transferencia o adición).

La terapia génica no solo tiene como objetivo tratar los síntomas de una enfermedad o un trastorno. En su lugar, la terapia génica puede ayudar a tratar ciertas enfermedades introduciendo un gen sano (operativo o funcional) que puede detener o ralentizar un trastorno genético.



Ciencia de la terapia génica

En la terapia génica (transferencia o adición), una cubierta transportadora proporciona un gen sano (operativo o funcional), que se introduce en las células de una persona para tratar una afección específica. Cuando los portadores contienen genes sanos, se les denomina vectores. Los vectores son esencialmente vehículos diseñados para transportar genes sanos directamente a los órganos diana, como el hígado.

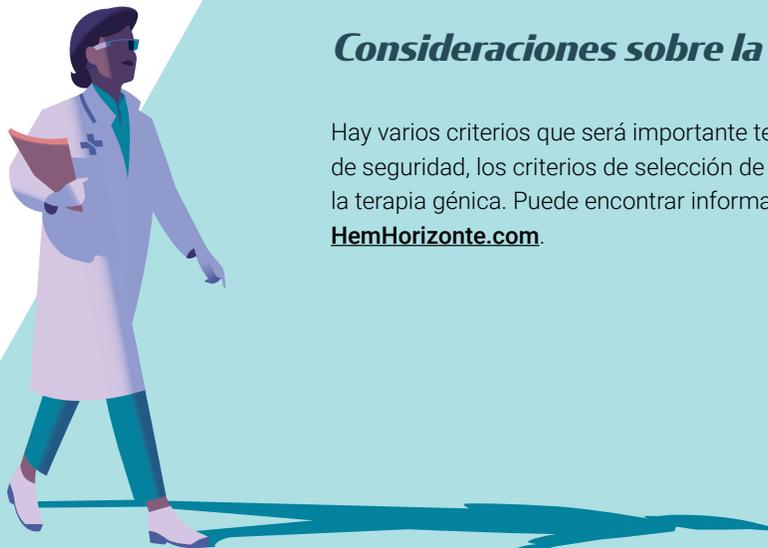


Si está interesado en la ciencia de la terapia génica, escanee aquí para continuar leyendo o visite <https://www.hemhorizonte.com/science-gene-therapy>

Aunque la terapia génica introduce un gen sano en el organismo de una persona, no sustituye ni modifica el gen mutado ni cambia el ADN de la persona. El gen sano simplemente proporciona al organismo la información necesaria para producir la proteína ausente o no funcional. En el caso de la hemofilia, el gen sano proporciona la información necesaria para que el organismo produzca la proteína del factor de coagulación VIII o IX. Dado que el ADN de una persona no cambia después de la terapia génica, las personas tratadas con terapia génica pueden seguir transmitiendo mutaciones y afecciones genéticas a sus hijos.



Escanee aquí para obtener más información sobre las consideraciones de seguridad o visite <https://www.hemhorizonte.com/considerations>.



Consideraciones sobre la terapia génica

Hay varios criterios que será importante tener en cuenta, como las consideraciones de seguridad, los criterios de selección de los pacientes y la duración del efecto de la terapia génica. Puede encontrar información en nuestro sitio web, [HemHorizonte.com](https://www.hemhorizonte.com).

Descubra lo que podría haber en el panorama de tratamiento de la hemofilia.

Para obtener más información, visite [HemHorizonte.com](https://www.hemhorizonte.com).

