



# NANOSISTEMAS PARA TERAPIA GÉNICA OCULAR. SEGMENTO ANTERIOR DEL OJO

Claudia Domínguez Moscardó  
Facultad de Farmacia, Universidad Complutense de Madrid. Julio 2020

## INTRODUCCIÓN

La baja biodisponibilidad ocular de las formulaciones tópicas ha promovido el desarrollo de nanosistemas. Las sustancias activas incorporadas en estos transportadores son liberadas controlada y selectivamente en su lugar de acción, mejorando así la biodisponibilidad. Las características del ojo lo convierten en una de las dianas más apropiadas para la terapia génica. En este tipo de terapia los nanosistemas presentan gran potencial como vectores del material genético.

## OBJETIVOS

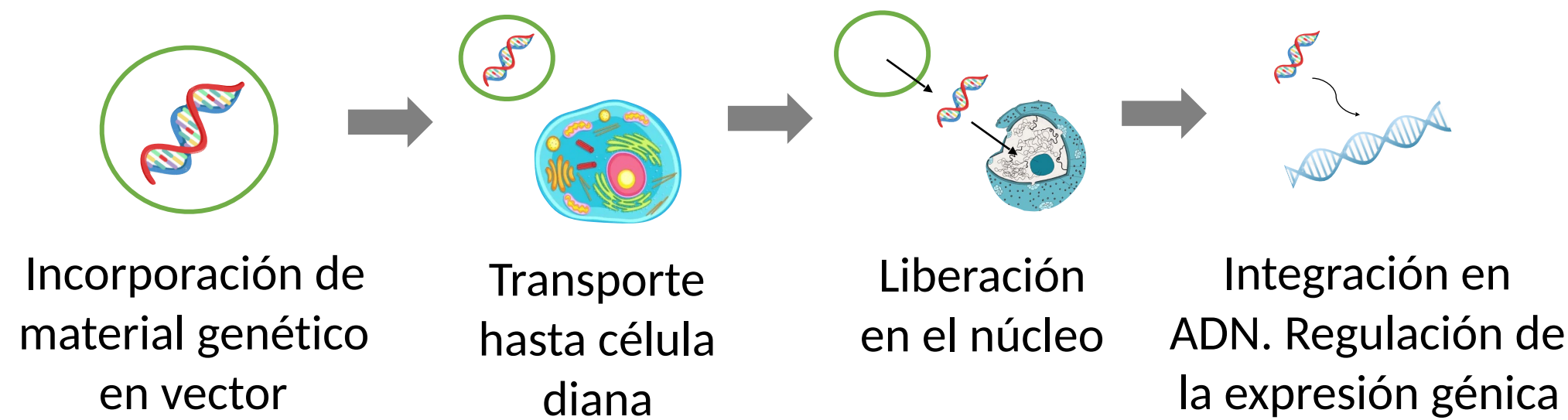
Estudiar la aplicación de nanosistemas en terapia génica de enfermedades del segmento anterior del ojo, explicando la utilidad de los nanosistemas como vectores y las características del ojo como órgano diana, entre otros aspectos.

## MATERIALES Y MÉTODOS



## RESULTADOS Y DISCUSIÓN

La **terapia génica** es la introducción y liberación de material genético exógeno en una célula para añadir, eliminar, corregir, silenciar o reemplazar un gen dando lugar a un beneficio terapéutico. En el proceso de transferencia génica son esenciales los **vectores**, que pueden ser virales o no virales, entre los que se encuentran los nanosistemas.

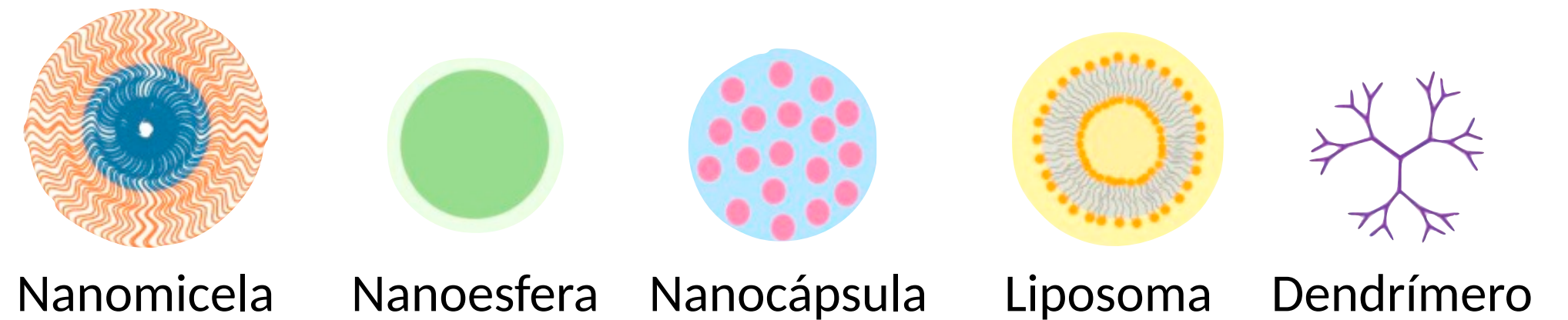


### Características del ojo como diana en terapia génica

- Anatomía altamente compartimentada
- Estructura cerrada y aislada. Pequeño tamaño
- Estatus inmunológicamente privilegiado
- Gran variedad de genes identificados
- Disposición de modelos animales para estudios
- Monitorización a nivel local

	VECTORES VIRALES	VECTORES NO VIRALES
✓	Alta eficiencia de transfección, expresión génica a largo plazo	Sin restricción de tamaño, baja inmunogenicidad, elevada bioseguridad
✗	Restricción de tamaño, elevada inmunogenicidad, baja bioseguridad	Baja eficiencia de transfección, expresión génica a corto plazo

Los **nanosistemas** consisten en la asociación de una molécula activa a un transportador que sirve como vehículo hasta alcanzar la diana terapéutica, donde la molécula es liberada de forma segura y controlada.

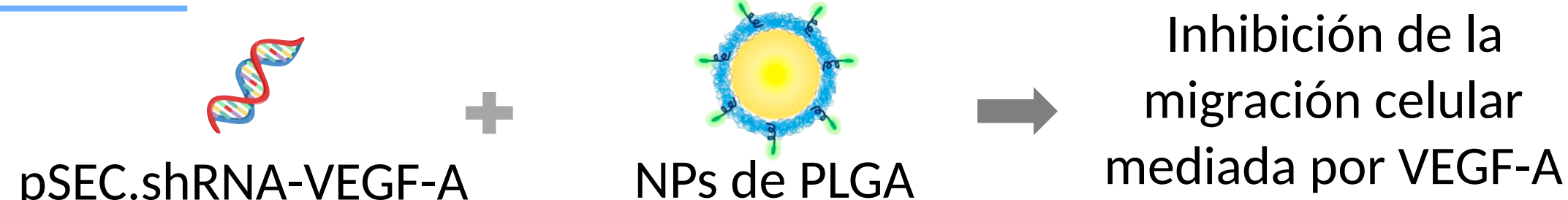


### Ventajas de los nanosistemas en administración ocular

- Elevada capacidad de incorporación de fármacos, ADN, ARN, etc.
- Fácil modificación y funcionalización de su superficie.
- Liberación dirigida y controlada del agente terapéutico en concentraciones suficientes. Reducción de la aparición de efectos adversos sistémicos.
- Mejora significativa de la permeación a través de membranas biológicas y de la internalización celular.
- Protección del fármaco o material genético encapsulado o absorbido.
- Biodegradabilidad y biocompatibilidad. Nula o escasa toxicidad.

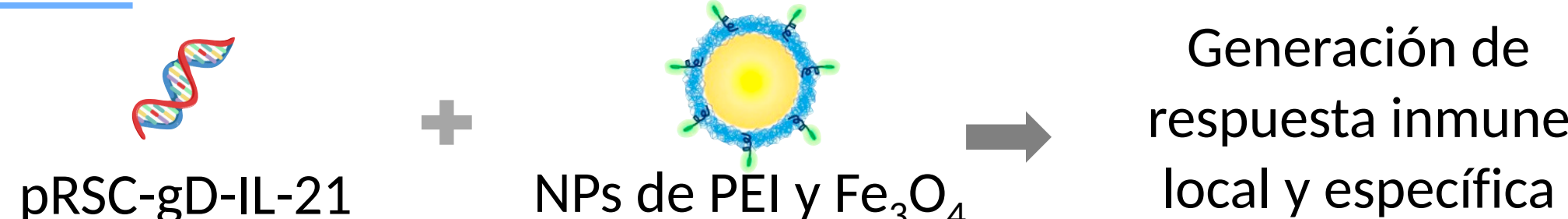
### APLICACIÓN DE NANOSISTEMAS EN TERAPIA GÉNICA DE ENFERMEDADES DEL SEGMENTO ANTERIOR DEL OJO

#### Estudio 1



Regresión de la neovascularización corneal

#### Estudio 2



Prevención de infecciones corneales

#### Estudio 3



Tratamiento del síndrome de ojo seco

En el año 2019, sólo un 1,2% de los ensayos clínicos de terapia génica tenían como indicación enfermedades oculares. La mayor parte de estos ensayos estudian enfermedades del segmento posterior, y sólo en un 20% utilizan vectores no virales.

## CONCLUSIONES

Conocidas las ventajas que presentan los nanosistemas frente a los vectores virales y el potencial de la terapia génica para tratar enfermedades del segmento anterior del ojo, se puede predecir que los tratamientos convencionales serán desbancados por la terapia génica ocular en las próximas décadas. Para ello, es necesario estudiar con más detalle la introducción de material genético en el segmento anterior y solventar las limitaciones características de los nanosistemas.

## BIBLIOGRAFÍA

