

“UNIVERSIDAD NACIONAL JOSÉ FAUSTINO SANCHEZ CARRIÓN”

FACULTAD DE MEDICINA HUMANA



**DISEÑO DE TERAPIAS GÉNICAS PARA ENFERMEDADES RARAS EN
ETAPAS EMBRIONARIAS**

Estudiante:

Loli Sanchez Karla Leticia

Carrera:

Medicina Humana

Materia:

Genética Médica

Docentes:

Dr. Paredes Bottoni. Geraldina

Dr. Vasquez Estela. Dario

Huacho, Perú

2025

INDICE

INTRODUCCIÓN.....	3
Objetivos:.....	4
Metodología:.....	4
1. Desarrollo:	5
1.1. Definición de terapia génica:	5
1.2. Tipos de terapia génica:	5
1.3. Definición y características de enfermedades raras:	6
1.4. Importancia de la intervención temprana en enfermedades genéticas:.....	7
2. Terapia génica en etapas embrionarias:.....	8
2.1. Diferencias entre terapia génica en adultos vs. Embriones:	8
2.2. Ventajas y desventajas de intervenir en etapas tempranas:	8
2.3. Técnicas actuales de edición genética en embriones (CRISPR-Cas9, TALEN, ZFN):.....	9
2.4. Aplicaciones en modelos animales y estudios preclínicos:	9
3. Avances en el diseño de terapias génicas para enfermedades raras:	10
3.1. Ejemplos de enfermedades raras con potencial tratamiento génico embrionario:.....	10
3.2. Casos de éxito y limitaciones actuales:.....	11
4. Consideraciones bioéticas y legales:	11
4.1. Dilemas éticos en la modificación genética de embriones:.....	11
4.2. Regulaciones internacionales sobre terapia génica embrionaria:	12
4.3. Percepción pública y controversias:	12
5. Desafíos y perspectivas futuras:	13
5.1. Barreras tecnológicas y científicas:	13
5.2. Potencial impacto en la medicina personalizada:.....	13
5.3. Posibles avances en los próximos años:.....	14
6. Conclusiones:.....	15
7. Bibliografía:	16
8. Anexos.....	¡Error! Marcador no definido.

INTRODUCCIÓN

Las enfermedades raras afectan a un pequeño porcentaje de la población, pero su impacto es considerable debido a su cronicidad, complejidad diagnóstica y escasez de opciones terapéuticas. La mayoría de estas enfermedades tienen un origen genético y se manifiestan desde etapas tempranas del desarrollo. Frente a esta problemática, la terapia génica ha surgido como una herramienta revolucionaria que permite modificar o corregir genes defectuosos, representando una esperanza terapéutica especialmente en aquellos casos en los que no existen tratamientos convencionales eficaces (Zhang, Wang, & Chen, 2023).

En los últimos años, el desarrollo de herramientas como CRISPR-Cas9 ha permitido avances significativos en la edición genética embrionaria, con el objetivo de intervenir antes de que se manifieste la enfermedad. Esta estrategia no solo podría prevenir la aparición de patologías genéticas graves, sino también reducir el riesgo de transmisión hereditaria. No obstante, su aplicación en seres humanos genera preocupaciones éticas, particularmente por los efectos fuera del objetivo (“off-target”) y por las implicancias de modificar la línea germinal humana.

Dado el potencial transformador de estas terapias, su estudio es de suma relevancia para la medicina moderna, especialmente en el contexto de la medicina personalizada. Al mismo tiempo, es imprescindible considerar las dimensiones bioéticas, sociales y legales que rodean la edición genética en etapas embrionarias. Por ello, es fundamental realizar un análisis integral que contemple tanto los avances científicos como las regulaciones internacionales que guían su aplicación responsable (ASRM, 2020).

Objetivos:

- **Objetivo general:**

Analizar los avances científicos, implicancias éticas y perspectivas médicas del diseño de terapias génicas para enfermedades raras en etapas embrionarias.

- **Objetivos específicos:**

Describir las tecnologías actuales de edición génica aplicadas en embriones humanos para el tratamiento de enfermedades raras.

Evaluar las implicaciones éticas y sociales asociadas con la modificación genética en etapas tempranas del desarrollo.

Revisar el estado actual de las políticas y regulaciones que guían el uso responsable de estas terapias.

Metodología:

Para la elaboración de esta monografía se realizó una revisión bibliográfica de artículos científicos publicados entre 2020 y 2025. Se utilizaron bases de datos especializadas como PubMed, Scopus y ScienceDirect. Se priorizaron estudios originales, revisiones sistemáticas y documentos de consenso emitidos por organismos reconocidos como la American Society for Reproductive Medicine. La información fue analizada con criterios de actualidad, relevancia científica y validez académica.

1. Desarrollo:

1.1. Definición de terapia génica:

La terapia génica es una rama avanzada de la biotecnología que busca tratar o prevenir enfermedades mediante la inserción, modificación o eliminación de genes dentro del material genético de una célula. Esta técnica tiene como objetivo corregir defectos genéticos directamente en su fuente, a diferencia de los tratamientos convencionales que suelen mitigar síntomas sin atacar la causa genética. En el caso de las enfermedades raras, donde muchas veces existe una sola mutación causante de la patología, la terapia génica puede representar una cura potencial (Papaioannou et al., 2023).

En los últimos años, el desarrollo de vectores virales más seguros y eficientes, junto con técnicas de edición genética como CRISPR/Cas9, ha permitido avanzar hacia aplicaciones clínicas más concretas. Estas tecnologías permiten una edición dirigida y precisa del ADN, minimizando el riesgo de efectos secundarios y aumentando la eficacia del tratamiento (López, 2025). Asimismo, se han abierto líneas de investigación para aplicar estas técnicas en etapas tempranas del desarrollo, incluyendo las fases embrionarias y fetales, donde las posibilidades de revertir o evitar el daño genético son mayores.

1.2. Tipos de terapia génica:

1.2.1. Terapia génica somática:

La terapia somática modifica células del cuerpo del paciente sin afectar las células reproductivas, lo que implica que los cambios no se heredan por las generaciones futuras. Este enfoque es el más aceptado actualmente desde el punto de vista ético y regulatorio. Se ha utilizado en múltiples enfermedades raras como inmunodeficiencias, distrofias musculares o

algunos tipos de anemia, con resultados prometedores y sin alterar la línea germinal (Papaioannou et al., 2023; Fundación Columbus, 2025).

1.2.2. Terapia génica germinal:

En contraste, la terapia génica germinal implica alterar el ADN en gametos o embriones, por lo que los cambios se transmiten a toda la descendencia. Esta opción, aunque teóricamente más eficaz para erradicar enfermedades hereditarias, implica riesgos éticos sustanciales. Entre los principales desafíos están los efectos no deseados, la modificación irreversible de la línea genética humana y la posibilidad de mal uso (Ferreira, 2022). Muchos países prohíben o limitan su uso en humanos, aunque continúan las investigaciones en modelos animales con resultados alentadores.

1.2.3. Terapia génica ex vivo e in vivo:

La modalidad ex vivo consiste en extraer células del paciente (como células madre hematopoyéticas), modificarlas genéticamente en laboratorio y luego reintroducirlas al organismo. Esto permite un control más riguroso sobre las células tratadas antes de ser administradas nuevamente (Papaioannou et al., 2023).

En cambio, la terapia in vivo introduce los genes terapéuticos directamente en el cuerpo mediante vectores virales o nanopartículas, permitiendo tratar órganos como el hígado, cerebro o músculo esquelético sin necesidad de cirugía ni extracción celular. Esta forma es más simple en la práctica clínica, aunque con mayores retos de distribución y control.

1.3. Definición y características de enfermedades raras:

Las enfermedades raras abarcan patologías identificadas, muchas de ellas de origen genético, que afectan a un pequeño número de personas. En Europa, se considera rara a una enfermedad que afecta a menos de 1 de cada 2000 personas. A pesar de su baja prevalencia

individual, colectivamente representan un grave problema de salud pública. En su mayoría son crónicas, progresivas y altamente discapacitantes. A esto se suma que más del 50 % de los casos inician en la infancia (CIMA, s.f.; EuroGCT, s.f.).

Estas enfermedades tienen en común la dificultad en el diagnóstico, escasez de expertos, y falta de tratamientos específicos. La terapia génica representa un cambio radical, ya que se enfoca en corregir directamente la causa genética subyacente. Su potencial no solo reside en mejorar la calidad de vida, sino también en prevenir la aparición de síntomas, disminuir la carga sobre las familias y el sistema de salud, y brindar alternativas donde antes solo existía el manejo paliativo (Diariofarma, 2025; Fundación Columbus, 2025).

1.4. Importancia de la intervención temprana en enfermedades genéticas:

Actuar en las fases tempranas del desarrollo humano, incluso antes del nacimiento, abre un nuevo paradigma terapéutico. La terapia génica fetal o embrionaria busca tratar enfermedades congénitas antes de que causen daño irreversible. Este enfoque es especialmente valioso en enfermedades que afectan órganos que maduran intraútero, como el sistema nervioso central, los pulmones o el corazón (Yung et al., 2021).

Los beneficios de una intervención in utero incluyen una mayor plasticidad celular, menos respuesta inmunitaria al vector y la posibilidad de una distribución más uniforme del gen terapéutico en todo el organismo (Society for Maternal-Fetal Medicine, s. f.). No obstante, estos tratamientos requieren máxima precisión y protocolos rigurosos de bioseguridad. Su implementación se encuentra aún en etapas experimentales, pero los avances actuales apuntan a que en un futuro cercano puedan utilizarse para prevenir enfermedades raras graves desde la etapa embrionaria (Jrioseco, 2024).

2. Terapia génica en etapas embrionarias:

2.1. Diferencias entre terapia génica en adultos vs. Embriones:

La terapia génica en adultos implica intervenir en células somáticas ya diferenciadas, buscando corregir defectos genéticos después de que han aparecido síntomas clínicos o incluso en fases avanzadas de una enfermedad. Por el contrario, la terapia génica embrionaria se aplica en estadios iniciales del desarrollo, incluso antes de la implantación del embrión o durante el desarrollo fetal. Esta distinción es crítica, ya que en la terapia embrionaria los cambios genéticos pueden afectar todas las células del organismo, incluida la línea germinal, lo que implica que los efectos se transmitirán a la descendencia (Ferreya, 2022).

Además, mientras que la terapia génica en adultos se ha autorizado en múltiples ensayos clínicos para enfermedades raras como atrofia muscular espinal o inmunodeficiencias severas, la terapia génica embrionaria aún se encuentra en un terreno experimental debido a los altos riesgos éticos y técnicos que supone (Papaioannou, Owen, & Yáñez-Muñoz, 2023). La posibilidad de generar efectos fuera del objetivo, o de alterar la identidad genética de generaciones futuras, sigue siendo uno de los principales motivos de debate en la comunidad científica (Ansah, 2022).

2.2. Ventajas y desventajas de intervenir en etapas tempranas:

Una de las mayores ventajas de la intervención embrionaria es la posibilidad de corregir una enfermedad antes de que se manifieste, evitando así daño irreversible. Según Yung et al. (2021), tratar una enfermedad genética in utero permite intervenir en un entorno inmunológicamente más tolerante y con una mejor integración de la terapia en el desarrollo tisular del feto. Además, se incrementa la posibilidad de curación completa con una única intervención.

Sin embargo, esta modalidad también acarrea importantes desventajas. La principal es el riesgo ético de modificar embriones humanos, así como la posibilidad de generar mutaciones indeseadas o mosaicos genéticos. También existen dudas sobre la precisión de las tecnologías actuales para garantizar una edición completamente segura (Ferreyra, 2022). A ello se suma el hecho de que la regulación internacional aún no establece un marco unificado para la edición genética embrionaria, lo que genera incertidumbre jurídica y médica (Society for Maternal-Fetal Medicine, s. f.).

2.3. Técnicas actuales de edición genética en embriones (CRISPR-Cas9, TALEN, ZFN):

Las principales herramientas utilizadas actualmente en la edición genética embrionaria son: CRISPR-Cas9, TALEN y ZFN. De todas ellas, CRISPR-Cas9 ha destacado por su eficiencia, bajo costo y capacidad de edición dirigida del ADN. Esta técnica utiliza una guía de ARN que localiza el gen objetivo y una proteína Cas9 que realiza el corte preciso, permitiendo introducir o corregir genes defectuosos (Ferreyra, 2022; Papaioannou et al., 2023).

Por su parte, TALEN (nucleasas efectoras activadas por transcriptores) y ZFN (nucleasas con dedos de zinc) también han sido utilizadas con buenos resultados, especialmente en estudios preclínicos. Sin embargo, su diseño es más complejo y menos versátil en comparación con CRISPR-Cas9. Estas tecnologías han demostrado ser útiles para prevenir enfermedades genéticas como la talasemia, la fibrosis quística o la enfermedad de Huntington en modelos experimentales (Diariofarma, 2025).

2.4. Aplicaciones en modelos animales y estudios preclínicos:

Las aplicaciones de la terapia génica embrionaria han sido ampliamente estudiadas en modelos animales, principalmente en ratones y primates. Estos estudios han mostrado que es posible introducir correcciones genéticas durante el desarrollo embrionario con resultados

positivos en la prevención de enfermedades hereditarias. Por ejemplo, en modelos murinos se ha logrado prevenir la aparición de enfermedades metabólicas congénitas mediante la edición de genes en etapas tempranas del desarrollo (Papaioannou et al., 2023; CIMA, s. f.).

Asimismo, en modelos de ovejas y monos se han realizado ensayos de terapia génica in utero con resultados prometedores, aunque aún persisten desafíos en cuanto a la eficacia a largo plazo, la seguridad del vector y la distribución homogénea del material genético (Yung et al., 2021). Estos avances sientan las bases para futuras aplicaciones clínicas en humanos, aunque todavía se requiere evidencia más robusta y aprobación ética.

3. Avances en el diseño de terapias génicas para enfermedades raras:

3.1. Ejemplos de enfermedades raras con potencial tratamiento génico embrionario:

Algunas enfermedades raras de origen genético tienen una alta probabilidad de beneficiarse de la terapia génica embrionaria, especialmente aquellas que son letales o gravemente discapacitantes desde el nacimiento. Entre ellas se encuentran la atrofia muscular espinal tipo I, la enfermedad de Tay-Sachs, la inmunodeficiencia combinada severa (SCID) y algunas mucopolisacaridosis (EuroGCT, s. f.).

Estas patologías se caracterizan por mutaciones bien identificadas en genes específicos, lo que permite desarrollar vectores dirigidos y personalizados. En algunos ensayos preclínicos se ha logrado detener la progresión de la enfermedad y mejorar el pronóstico mediante la edición genética embrionaria o fetal, aunque aún no existen tratamientos aprobados para esta vía en humanos (Fundación Columbus, 2025; Papaioannou et al., 2023).

3.2. Casos de éxito y limitaciones actuales:

A pesar de los importantes avances, la mayoría de las aplicaciones exitosas de terapia génica siguen ocurriendo en contextos postnatales. Se han aprobado terapias en Europa y EE. UU. para enfermedades raras como la distrofia retiniana ligada al gen RPE65, la beta-talasemia y la adrenoleucodistrofia cerebral (López, 2025). Estos casos han mostrado que una intervención genética puede cambiar radicalmente el curso de una enfermedad grave.

Sin embargo, en el contexto embrionario y fetal, los casos de éxito se limitan a modelos animales. Persisten obstáculos tecnológicos, como el control preciso de la expresión génica, la eficiencia de los vectores y los efectos fuera del objetivo. A esto se suma la incertidumbre ética y legal, que frena el paso a ensayos clínicos en humanos (Jrioseco, 2024). El consenso actual sugiere que, aunque la terapia génica embrionaria tiene un enorme potencial, su aplicación clínica segura y aceptada aún requiere más investigación.

4. Consideraciones bioéticas y legales:

4.1. Dilemas éticos en la modificación genética de embriones:

La posibilidad de editar genes en embriones humanos plantea una serie de interrogantes éticos complejos. Uno de los principales dilemas reside en la modificación de la línea germinal, ya que los cambios no solo afectan al individuo tratado, sino que se transmiten a futuras generaciones. Este hecho introduce preocupaciones sobre el consentimiento informado —ya que el embrión no puede darlo—, el posible uso con fines no terapéuticos y la creación de desigualdades sociales si estas terapias no están disponibles de manera equitativa (Ferreira, 2022; Ansah, 2022).

Además, existen riesgos técnicos asociados al uso de herramientas como CRISPR/Cas9, incluyendo efectos fuera del objetivo (off-target effects), que pueden provocar alteraciones

genéticas no deseadas. Estos riesgos hacen que muchos expertos consideren prematuro el uso clínico de la terapia génica embrionaria, especialmente sin protocolos de seguridad y seguimiento a largo plazo suficientemente sólidos (Ferreyra, 2022).

4.2. Regulaciones internacionales sobre terapia génica embrionaria:

Actualmente, el marco legal y regulatorio internacional sobre la edición genética en embriones es diverso y, en muchos casos, restrictivo. Mientras algunos países permiten la investigación con embriones humanos no viables o destinados a descartarse, otros prohíben categóricamente cualquier manipulación genética que pueda heredarse. Esta falta de consenso global crea un escenario desigual y dificulta la colaboración científica (Ansah, 2022).

Por ejemplo, en países como Reino Unido o Japón se permite la edición genética con fines de investigación bajo estricta supervisión, pero está prohibida su implantación. En cambio, otras naciones aún no han definido marcos claros al respecto. Según Papaioannou, Owen y Yáñez-Muñoz (2023), esto impone la necesidad urgente de acuerdos internacionales que establezcan principios éticos y científicos comunes para guiar esta tecnología.

4.3. Percepción pública y controversias:

La edición genética de embriones ha generado intensos debates públicos. Mientras que algunos sectores celebran el potencial de curar enfermedades devastadoras desde antes del nacimiento, otros temen una “pendiente resbaladiza” hacia la eugenesia moderna. Esta preocupación se acentúa con la posibilidad de usar estas técnicas para modificar rasgos no relacionados con la salud, como la inteligencia o la apariencia física (Ferreyra, 2022; Diariofarma, 2025).

Además, la percepción pública varía según la cultura, la religión y el nivel educativo de la población. Por ello, el avance de la terapia génica requiere una comunicación transparente, con información accesible y precisa sobre sus beneficios, riesgos y límites. La confianza del público es crucial para la aceptación y legitimación social de estas terapias (Ansah, 2022).

5. Desafíos y perspectivas futuras:

5.1. Barreras tecnológicas y científicas:

A pesar del enorme progreso, la terapia génica —especialmente en etapas embrionarias— enfrenta importantes limitaciones. Entre las más relevantes se encuentran la eficiencia limitada de los vectores virales, la dificultad de controlar la expresión génica a largo plazo, y la posibilidad de provocar mutaciones no deseadas. Estos desafíos técnicos se agravan en contextos prenatales, donde la precisión debe ser absoluta debido a la sensibilidad del embrión en desarrollo (Yung et al., 2021; Papaioannou et al., 2023).

Por otra parte, es necesario desarrollar sistemas de seguimiento postratamiento a largo plazo, para identificar cualquier efecto secundario tardío. Según el CIMA (s. f.), la mejora de la seguridad y eficacia de los vectores, y el perfeccionamiento de tecnologías como CRISPR y sus derivados, son pasos indispensables antes de considerar la implementación clínica rutinaria.

5.2. Potencial impacto en la medicina personalizada:

La terapia génica está transformando el paradigma de la medicina, permitiendo el diseño de tratamientos ajustados al perfil genético de cada paciente. En el caso de las enfermedades raras, muchas veces causadas por una mutación puntual, esta personalización es clave. Intervenir en etapas embrionarias o fetales podría significar prevenir por completo la aparición de la enfermedad, antes incluso de que se manifiesten síntomas (López, 2025; Fundación Columbus, 2025).

Además, el desarrollo de biobancos, la secuenciación genómica masiva y el uso de inteligencia artificial están impulsando aún más esta tendencia, permitiendo identificar con mayor precisión qué pacientes pueden beneficiarse de estas terapias. Según el CIMA (s. f.), esto reducirá considerablemente el ensayo y error en los tratamientos y mejorará los resultados clínicos.

5.3. Posibles avances en los próximos años:

En los próximos años se espera una expansión en la aplicación de terapia génica a un mayor número de enfermedades raras, conforme se optimicen los vectores, se reduzcan los costos y se establezcan marcos regulatorios más sólidos. En modelos animales ya se han logrado resultados prometedores, y algunos ensayos clínicos en humanos están en fases tempranas, particularmente para enfermedades como la distrofia muscular o ciertas inmunodeficiencias (Jrioseco, 2024; Papaioannou et al., 2023).

También se proyecta una integración más profunda entre la edición genética y otras tecnologías como la terapia celular, la nanotecnología y la medicina regenerativa. Esta convergencia permitirá tratamientos combinados más eficaces y con menos riesgos. No obstante, para lograr estos avances será esencial mantener el equilibrio entre la innovación científica y el respeto a los principios éticos y sociales que rigen la medicina contemporánea (Ansah, 2022).

6. Conclusiones:

La terapia génica ha demostrado ser una herramienta revolucionaria con gran potencial para el tratamiento y posible curación de enfermedades raras, especialmente aquellas de origen genético. A través de la edición precisa del ADN, se abre la posibilidad de intervenir directamente en la raíz de estas enfermedades, superando las limitaciones de los tratamientos convencionales que solo abordan los síntomas. Su aplicación en etapas embrionarias o fetales, aunque aún experimental, representa una oportunidad sin precedentes para prevenir el desarrollo de patologías desde los primeros momentos de la vida.

No obstante, esta intervención temprana implica desafíos éticos, técnicos y legales importantes. La edición de la línea germinal humana conlleva la transmisión de modificaciones genéticas a futuras generaciones, lo cual exige una evaluación rigurosa de sus implicancias. Asimismo, los riesgos asociados a los efectos no deseados, la precisión de las herramientas y la equidad en el acceso, son cuestiones que deben abordarse con responsabilidad y cautela. La percepción pública, influenciada por aspectos culturales y sociales, también juega un rol determinante en la aceptación o rechazo de estas tecnologías.

A futuro, se prevé que la terapia génica evolucione hacia enfoques más personalizados y seguros, apoyados en el desarrollo de nuevas tecnologías, la integración con la medicina regenerativa y el avance en inteligencia artificial. Sin embargo, será esencial garantizar un marco regulatorio internacional claro, ético y basado en la evidencia, que permita el uso responsable de estas terapias, protegiendo tanto a los pacientes como a la sociedad en su conjunto. El camino hacia la aplicación clínica de la terapia génica en embriones es prometedor, pero debe construirse con prudencia, diálogo interdisciplinario y compromiso con el bienestar humano.

7. Bibliografía:

Papaioannou, I., Owen, J. S., & Yáñez-Muñoz, R. J. (2023). Clinical applications of gene therapy for rare diseases: A review. *International Journal Of Experimental Pathology*, 104(4), 154-176. <https://doi.org/10.1111/iep.12478>

Diariofarma. (2025, 3 marzo). *Terapias génicas, una puerta abierta al conocimiento sobre las enfermedades raras*. Diariofarma. <https://diariofarma.com/2025/02/28/terapias-genicas-una-puerta-abierta-al-conocimiento-sobre-las-enfermedades-raras>

López, C. J. B. (2025, 30 enero). Revolución en la salud: la terapia génica transforma el futuro de enfermedades raras - PharmaSalud.net. *PharmaSalud.net*. <https://pharmasalud.net/bienestar/revolucion-en-la-salud-la-terapia-genica-transforma-el-futuro-de-enfermedades-raras/>

Terapia Génica de Enfermedades Raras. Programa de Investigación. CIMA. (s. f.). <https://cima.cun.es>. <https://cima.cun.es/investigacion/programas-investigacion/programa-terapia-genica-enfermedades-raras>

La terapia génica avanza en la curación de enfermedades raras. (s. f.). <https://cima.cun.es>. <https://cima.cun.es/actualidad/noticias/terapia-genica-avanza-curacion-enfermedades-raras>

Ferreira, K. A. (2022). Consideraciones éticas sobre CRISPR/Cas9: Uso terapéutico en embriones y futura gobernabilidad. *Revista de Bioética y Derecho*, 121-138. <https://doi.org/10.1344/rbd2021.54.36115>

¿Qué enfermedades se pueden tratar actualmente con terapia génica y celular? (s. f.). EuroGCT. <https://www.eurogct.org/es/what-conditions-can-currently-be-treated-using-gene-and-cell-therapy>

Terapia génica - Fundación Columbus. (2025, 15 abril). Fundación Columbus. <https://fundacioncolumbus.org/ejes-de-actuacion/salud/terapia-genica/>

Yung, N. K., Maassel, N. L., Ullrich, S. J., Ricciardi, A. S., & Stitelman, D. H. (2021). A narrative review of in utero gene therapy: advances, challenges, and future considerations. *Translational Pediatrics*, 10(5), 1486-1496. <https://doi.org/10.21037/tp-20-89>

Society for Maternal-Fetal Medicine Special Statement: Beyond the scalpel: in utero fetal gene therapy and curative medicine - SMFM Publications and Clinical Guidelines. (s. f.). <https://publications.smfm.org/publications/431-society-for-maternal-fetal-medicine-special-statement-beyond/>

Jrioseco. (2024, 9 diciembre). Avances en terapia génica promesas y retos para enfermedades raras - Vida Sana. *Vida Sana*. <https://vidasana.cl/avances-en-terapia-gnica-promesas-y-retos-para-enfermedades-raras>

Ansah, E. O. (2022). Ethical Challenges and Controversies in the Practice and Advancement of Gene Therapy. *Advances In Cell And Gene Therapy*, 2022, <https://doi.org/10.1155/2022/1015996>