

## **RNA therapeutics**

RNA therapy refers to the treatment or prevention of diseases using RNA-based molecules. The recent development of effective vaccines in response to the COVID-19 pandemic has caused an unexpected and growing interest in the development of new RNA-based therapies. Several RNA-based molecular approaches are available to modify cell gene expression and correct genetic defects for which conventional methods using proteins or antibodies could not be applied, or not been developed due to their cost. The development of antisense oligonucleotides (ASO), silencing RNA (siRNA) or the messenger RNA itself (mRNA) have been essential tools for correcting genetic alterations and curing diseases. Along with the development of these RNA-based drugs, diverse strategies have been developed to transport these drugs into cells efficiently. The seminar will provide an overview of RNA-based therapies that are currently being evaluated in clinical trials or have already been approved for clinical use, as well as the advantages and challenges associated with the use of RNA-based drugs.

## **Terapias basadas en ARN**

La terapia del ARN refiere al tratamiento o prevención de enfermedades usando moléculas basadas en el RNA. El desarrollo reciente de efectivas vacunas contra la COVID-19 ha provocado un inesperado y creciente interés en el desarrollo de nuevas terapias basadas en el RNA. Existen diversas aproximaciones moleculares basadas en el RNA para modificar la expresión génica de la célula y corregir defectos genéticos que no podían ser abordados con métodos más tradicionales usando proteínas o anticuerpos, o que no se han desarrollado debido a su alto coste. El desarrollo de oligonucleótidos antisentido (ASO), RNA de silenciamiento (siRNA) o el propio RNA mensajero (mRNA) han sido herramientas fundamentales para la corrección de alteraciones genéticas y curación de enfermedades. Junto con el desarrollo de medicamentos basados en el RNA, diversas estrategias están siendo evaluadas para transportar esos medicamentos de forma eficiente y selectiva al interior celular. En el seminario, se proporcionará una visión general de las terapias basadas en el RNA que están siendo actualmente utilizadas en ensayos clínicos o han sido ya aprobadas para su uso clínico, así como las ventajas y desafíos presentes asociados con el uso de esta tecnología.