Terapia Gênica Como Abordagem Promissora Para o Tratamento da Anemia Falciforme

Autor(res)

Francis Fregonesi Brinholi
Nathalia Thalitha Bernardes Dos Santos

Categoria do Trabalho

TCC

Instituição

UNOPAR / ANHANGUERA - PIZA

Introdução

A anemia falciforme (AF) afeta milhares de pessoas no mundo todo. É uma doença hereditária autossômica recessiva, caracterizada pela produção de hemoglobina S (HbS), que difere da hemoglobina A (MATALLANA et al., 2021), que gera uma anormalidade, também chamada de polimerização da HbS (INUSA et al., 2019), levando a um comprometimento da oxigenação dos tecidos, que pode causar lesão de órgãos e outros malefícios ao organismos. O tratamento convencional consiste em terapias sintomáticas, porém a terapia gênica vem sendo investigada como uma possível cura para essa condição.
A capacidade de melhoramento genético por meio da correção de genes mutados ou modificações sítio-específicas que visam o tratamento terapêutico é conhecida como terapia gênica e pode ser usada em diversas doenças genéticas incluindo a anemia falciforme. Apesar de ser ainda experimental há grandes expectativas em relação a essa nova abordagem terapêutica para a anemia falciforme (GOLÇALVES, 2017).

Objetivo

O objetivo do presente trabalho foi analisar os estudos e pesquisas científicas que abordam a utilização da terapia gênica na anemia falciforme, a fim de avaliar o seu uso como um tratamento promissor.

Material e Métodos

Foi realizada uma revisão de literatura onde foram criteriosamente selecionados dissertações e artigos científicos através das seguintes bases de dados: Google acadêmico, Scientific Electronic Library Online (SciELO) e PubMed, para serem consultados. A seleção de conteúdos teve como critério trabalhos publicados nos últimos 7 anos, sem dispensar estudos anteriores de importância. As palavras chaves utilizadas na busca foram: terapia gênica, anemia falciforme, CRISPR/Cas, Sickle cell disease e gene teraphy.

Resultados e Discussão

Segundo as pesquisas disponíveis, até os dias atuais foi possível verificar o avanço da terapia gênica na AF, onde são aplicadas duas abordagens gerais: adição de genes, em que os genes são transferidos para o genoma através de um sistema de vetores, e edição de genes, em que são feitas alterações genômicas permanentes que envolvem a remoção ou substituição de sequências de DNA, utilizando principalmente a técnica do CRISPR/cas9

(ALLISTAR, et al., 2021).
Até à data, o objetivo destas abordagens tem sido minimizar o efeito da mutação da HbS através de modificações genéticas que permitam a produção de hemoglobina (Hb) normal ou de Hb com propriedades anti-sickling (ALLISTAR, et al., 2021), utilizando principalmente células-tronco hematopoiéticas.
No presente momento existem três estudos em aberto na fase de recrutamento de pacientes registrados no clinicaltrials.gov e todos eles utilizam vetores no tratamento genético de pacientes com anemia falciforme atuando diretamente no gene.

Conclusão

Diante dos avanços científicos e tecnológicos no campo da medicina, biotecnologia e genética, é indiscutível o potencial da terapia gênica no tratamento, e possível cura, da AF, pois os resultados preliminares de algumas pesquisas são ótimos. Essa terapia inovadora pode ajudar os pacientes com AF a ter uma cura eficaz e duradoura, melhorando significativamente suas condições de vida e abrindo caminho para tratamentos de outras doenças genéticas, mesmo ainda enfrentando alguns obstáculos.

Referências

ALLISTAIR, A.; ABRAHAM, A. A.; TISDALE, J. F. Gene therapy for sickle cell disease: moving from the bench to the bedside. American Society of Hematology, v. 138, n. 11, p.932-941, 2021. Disponível em: https://ashpublications.org/blood/article/138/11/932/476349/Gene-therapy-for-sickle-cell-disease-moving-from. GOLÇALVES, G. A. R.; PAIVA, R. M. A. Terapia gênica: avanços, desafios e perspectivas. Albert Einstein: Instituto Israelita de Ensino e Pesquisa, v. 15, n. 3, p.369-75, 2017. Disponível em: https://www.scielo.br/j/eins/a/cPw3g6fGY8srqk5hs83dDKR/?lang=en. INUSA, B. P. D.; ET AL. Sickle Cell Disease - Genetics, Pathophysiology, Clinical Presentation and Treatment. International Journal of Neonatal Screening, v. 5, n. 9, p. 1-15, 2019. Disponível em: https://www.mdpi.com/2409-515X/5/2/20. MATALLANA, M. D.; ET AL. Anemia falciforme: una revisión sobre el genotipo de la enfermedad, haplotipos, diagnóstico y estudios associados. Revista Médica de Chile, v. 149: n. 9, p. 1322-1329, 2021.