USO DA TECNOLOGIA DE mRNA PARA TRATAMENTO DE DOENÇAS

Autor(res)

Alanna Nascimento Delgado Mota
Guilherme Sampaio Arruda

Categoria do Trabalho

Trabalho Acadêmico

Instituição

FACULDADE ANHANGUERA DE IMPERATRIZ

Resumo

Introdução: Doenças genéticas raras são um atual desafio para o mundo, com poucas perspectivas de tratamento, no entanto algumas alternativas como terapias genéticas, reposição de proteína ou terapias com RNA são a chave para o tratamento destes males. Visto que moléculas de RNA resultam em menor risco de mutações no gene, estas são mais seguras e menos invasivas do que as terapias genéticas, que utilizam DNA. Diferentes formas de RNA são usadas na terapêutica de doenças, utilizando suas funções de regulação da expressão gênica (para a qual já tem medicamentos aprovados) e tradução de proteínas (RNA mensageiro – mRNA). A terapia de reposição de proteínas utilizando mRNA passou a ser estudada após a descoberta do seu papel mediador na síntese protéica ao injetar RNA exógeno em células e avaliar a produção de proteínas específicas. Para a entrega eficiente do RNA às células e proteção contra a sua degradação é necessário um veículo de entrega, que pode ser viral (maquinário de vírus com o material dentro) ou não-viral (nanopartículas lipídicas ou de polímeros).

Objetivo: O presente trabalho tem visa apresentar os benefícios e desafios da tecnologia de mRNA na terapia de reposição de proteínas para doenças genéticas.

Metodologia: Foi feita uma revisão bibliográfica de artigos encontrados nas bases pubmed e Google acadêmico. A pesquisa foi realizada entre os dias 26 de agosto a 30 de setembro de 2024 e os artigos selecionados foram publicados no período de 2019 a 2024.

Resultados e discussões: A revisão publicada em 2019 avaliou estudos de terapia com mRNA para doenças pulmonares e apresentou resultados positivos em estudos pré-clínicos em quadros de fibrose cística, deficiência de SP-B e deficiência de AAT. Já a revisão de 2023 apresentou um estudo clinico para fibrose cística em 12 pacientes doentes e que obteve resultados positivos, além de estudos pré-clínicos com resultados positivos para Fenilcetonúria, Deficiência de Arginase, Doença de Fabry e Fibrose Cística.
Conclusão: Na maioria dos estudos analisados pelas revisões, as etapas pré-clínicas e clínicas obtiveram resultados positivos, indicando eficiência de entrega e tradução. No entanto, para melhor eficiência e segurança na administração de mRNA, com boa tradução de proteínas e baixa imunogenicidade, são necessárias

Anais [...]. Londrina Editora Científica, 2024. ISBN: 978-65-01-19312-0