Tecnologia de mRNA na terapia de reposição de proteínas para doenças genéticas

Autor(res)

Alanna Nascimento Delgado Mota
Guilherme Sampaio Arruda

Categoria do Trabalho

Trabalho Acadêmico

Instituição

FACULDADE ANHANGUERA DE IMPERATRIZ

Resumo

Introdução: Doenças genéticas são um atual desafio para o mundo, com poucas perspectivas de tratamento, no entanto algumas alternativas como terapias com DNA, proteínas ou RNA são a chave para o tratamento destes males. Visto que moléculas de RNA possuem menor risco de mutações no gene, 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 e tradução de proteínas. A terapia de reposição de proteínas utilizando mRNA passou a ser estudada após a descoberta do seu papel mediador na síntese protéica, injetando RNA exógeno em células e avaliando a produção de proteínas específicas. Para a entrega eficiente do RNA às células e proteção contra 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 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 também com resultados positivos para Fenilcetonúria, Deficiência de Arginase, Doença de Fabry e Fibrose Cística.
Conclusão: Na maioria dos estudos analisados pelas revisões, obtiveram-se 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 modificações na composição dos carreadores e na molécula de mRNA.

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