

Trabalho apresentado no 26º CBCENF

Título: TERAPIA GENÉTICA PARA TRATAMENTO DE DOENÇAS RARAS: UMA REVISÃO DA LITERATURA

Relatoria: EDUARDA COSTA SANTOS
LUANA EVELYN LIMA DE SOUZA
SARA LAÍS COSTA DA SILVA

Autores: VINICIUS RIBEIRO ALVES
DAVID FERREIRA COSTA
PERPÉTUA DO SOCORRO SILVA COSTA

Modalidade: Pôster

Área: Eixo 1: Assistência, gestão, ensino e pesquisa em Enfermagem

Tipo: Pesquisa

Resumo:

Introdução: A terapia genética é uma abordagem revolucionária no campo da medicina, que consiste na correção ou substituição de defeitos genéticos subjacentes a uma variedade de doenças. Trata-se de uma área que tem avançado rapidamente devido a descobertas recentes e apresenta o potencial de curar doenças genéticas raras. É necessário, portanto, explorar os progressos, desafios e perspectivas da terapia gênica. Ao examinar as técnicas, os ensaios clínicos e as implicações éticas e regulatórias, buscamos fornecer uma visão objetiva deste campo em rápida evolução. Objetivo: Identificar, na literatura científica, os avanços recentes na terapia genética em doenças hereditárias e raras. Metodologia: Trata-se de uma revisão da literatura, realizada na base de dados Google Acadêmico, com inclusão de artigos relacionados aos descritores terapia genética e doenças hereditárias, publicados nos últimos 5 anos, para abordar os avanços recentes na área. Resultados: As estratégias de terapia genética como a edição de genes e terapia celular são promissoras para transformar o tratamento de doenças raras. O tratamento aliado aos avanços das pesquisas relacionados à edição de genes permitiria estabelecer uma terapia mais duradoura e eficaz aos portadores de doenças raras, fornecendo uma melhor qualidade de vida. A exemplo desses avanços se destaca a edição de células tronco para tratamento da anemia falciforme, com uso da técnica CRISPR-Cas9, que permite a correção da mutação genética. Ensaios clínicos se mostraram bem sucedidos em casos de doenças raras como a atrofia muscular espinhal e atrofia muscular de Duchenne, com uso de vetores virais modificados. Em alguns casos de doenças hereditárias, as revisões se mostraram potencialmente eficientes na cura. No entanto, a análise genômica também enfrenta embates éticos, científicos e técnicos como a privacidade dos dados genômicos e os desafios da manipulação precisa de edições genéticas, além dos altos custos. Conclusão: Os avanços recentes da terapia genética, oferecem esperança há diversos indivíduos que possuem doenças genéticas hereditárias e raras. Embora tais progressos tenham mostrado sucesso em ensaios clínicos, indicando potenciais curas, ainda existem desafios para realização dessa prática. A coparticipação entre cientistas, médicos e reguladores é crucial para impulsionar os avanços e disponibilizar tratamentos acessíveis e precisos.