

## **Aplicação da terapia betibeglogene autotemcel (Beti-Cel) em beta-hemoglobinopatias: uma revisão da literatura**

**INTRODUÇÃO:** As hemoglobinopatias compreendem um grupo de doenças nas quais ocorre uma alteração na produção de hemoglobina. As beta-hemoglobinopatias, nesse contexto, consistem em alterações genéticas que levam a distúrbios qualitativos ou quantitativos na produção da cadeia beta da hemoglobina (betaglobina). Entre as principais beta-hemoglobinopatias, destacam-se a anemia falciforme e as beta-talassemias. A Betibeglogene Autotemcel (Beti-Cel; LentiGlobin) é uma terapia gênica que induz a modificação *ex vivo* no gene da betaglobina em células-tronco hematopoiéticas autólogas com a transdução gênica lentiviral. Posteriormente, essas células são transplantadas para o paciente com o objetivo de reconstituir a hematopoiese com produção normal de betaglobina. **OBJETIVO:** Realizar uma revisão da literatura para avaliar a eficácia da terapia betibeglogene autotemcel no tratamento da Anemia Falciforme e da Beta-talassemia. **MATERIAL E MÉTODO:** Realizou-se uma pesquisa na base de dados PubMed utilizando os descritores Beta-talassemia, Anemia Falciforme, Hemoglobinopatias, Terapia Gênica e Betibeglogene autotemcel. Com a combinação desses termos, foram encontrados treze artigos, dos quais quatro foram selecionados para atender ao objetivo proposto. Os dados utilizados foram coletados no período de 2021 a 2023. **RESULTADOS:** Em um estudo envolvendo 35 pacientes com anemia falciforme que receberam o tratamento com LentiGlobin, observou-se a produção sustentada de HbA na maioria das células vermelhas do sangue, o que resultou na redução da hemólise e na resolução completa de eventos vaso-oclusivos graves. Em outro estudo clínico, que incluiu 23 pacientes com beta-talassemia maior, constatou-se que 20 deles se tornaram independentes de transfusões após a terapia com Beti-cel. Os riscos associados ao uso dessa terapia incluem atrasos na reconstituição da produção de plaquetas e neutrófilos, bem como o risco de hipersensibilidade em resposta à exposição aos antígenos dos vetores virais ou proteínas modificadas. A betibeglogene autotemcel, em dose única, demonstrou eficácia prática ao aumentar os níveis de hemoglobina em cerca de 40% após a aplicação única e foi aprovada pela Food and Drug Administration (FDA) em 2021. Além disso, apresenta um custo-benefício elevado, uma vez que tem o potencial de prolongar vidas e evitar os efeitos adversos associados a métodos terapêuticos de longo prazo, como transfusões sanguíneas. **CONCLUSÃO:** A Betibeglogene Autotemcel demonstrou ser uma terapia eficaz para o tratamento de hemoglobinopatias, obtendo resultados significativos. Apesar dos efeitos adversos, a porcentagem de pacientes que os apresenta é baixa e esses efeitos são tratáveis. A terapia de dose única é inovadora e tem o potencial de beneficiar cada vez mais pessoas com hemoglobinopatias.

**Palavras-chave:** Talassemia beta, Anemia Falciforme, Hemoglobinopatias, Terapia Genética.