

TERAPIAS CELULARES E GÊNICAS EM HEMATOLOGIA: AVANÇOS E PERSPECTIVAS NO TRATAMENTO DE HEMOGLOBINOPATIAS

Marcos Felipe do Ó Almeida, Lucas Borges de Almeida, Larissa Rodrigues Pinho, Joseilton Silva Sucupira, Paula Madeiro Santana, Ana Luiza De Aguiar Rocha Martin

INTRODUÇÃO: As hemoglobinopatias, como a anemia falciforme e a β -talassemia, representam um importante grupo de doenças genéticas hereditárias que afetam a estrutura ou a produção da hemoglobina. Tradicionalmente tratadas com terapias de suporte, como transfusões sanguíneas e quelantes de ferro, essas condições agora se beneficiam dos avanços da biotecnologia, especialmente com o surgimento das terapias celulares e gênicas. O uso de edição gênica, vetores virais e transplante de células-tronco modificadas tem remodelado o cenário terapêutico, oferecendo possibilidades de cura antes inalcançáveis. **OBJETIVO:** Analisar os avanços recentes no uso de terapias celulares e gênicas no tratamento das hemoglobinopatias, destacando mecanismos de ação, eficácia clínica e perspectivas futuras. **MATERIAL E MÉTODO:** Foi realizada uma revisão integrativa na base PubMed, utilizando os descritores: “Terapia Gênica” AND “Anemia Falciforme” AND “ β -Talassemia” AND “Terapias Celulares”. Os filtros aplicados incluíram artigos originais e revisões publicadas nos últimos 5 anos. Dos 14 artigos encontrados, 6 foram selecionados com base na relevância científica, clareza metodológica e foco nas aplicações clínicas das abordagens terapêuticas. **RESULTADOS:** Os estudos analisados revelam que a edição gênica com CRISPR/Cas9 tem permitido a reativação da produção de hemoglobina fetal (HbF) e correção do gene HBB, resultando em melhora clínica significativa. A terapia gênica mediada por lentivírus também demonstrou eficácia, com pacientes apresentando independência transfusional e melhora nos marcadores hematológicos. O transplante autólogo de células-tronco hematopoiéticas modificadas geneticamente mostrou segurança e durabilidade dos efeitos terapêuticos. Contudo, efeitos adversos, como citopenias transitórias e riscos associados à inserção gênica, foram relatados. A maioria dos artigos apontam resultados clínicos promissores e sustentáveis; os demais destacam limitações, principalmente no acesso, custos e necessidade de monitoramento de longo prazo.

CONCLUSÃO: As terapias celulares e gênicas representam um marco na abordagem das hemoglobinopatias, com potencial real de cura e melhora significativa na qualidade de vida dos pacientes. A edição gênica e o uso de vetores virais se consolidam como estratégias eficazes, especialmente para indivíduos sem doadores compatíveis para transplante convencional. Apesar do progresso, desafios éticos, financeiros e científicos ainda precisam ser superados para garantir o acesso amplo e seguro a essas terapias. O futuro da hematologia caminha para uma era personalizada e curativa, onde a modulação genética ocupará papel central.