

## Terapias Gênicas para a Beta-Talassemia Baseadas na Tecnologia CRISPR-Cas9

José Airton Alves Ferreira<sup>1</sup>, Aluisio Dluças Alves e Gomes<sup>1</sup>, Hilderlânia Alves de Oliveira<sup>1</sup>, Luis Felipe Matos de Sousa<sup>1</sup>, Analice Alves Ferreira<sup>2</sup>, Vicente de Paulo Teixeira Pinto<sup>3</sup>

**INTRODUÇÃO:** A beta-talassemia é uma doença hereditária ocasionada pela mutação no gene HBB localizado no braço curto do cromossomo 11. Essa patologia é caracterizada pela anemia crônica e pela dependência de transfusões sanguíneas. Na atualidade, a terapia gênica, uma técnica que realiza a substituição ou correção de genes defeituosos em doenças genéticas, configura-se como uma abordagem terapêutica promissora para a cura de pacientes transfusionais dessa forma de talassemia. Relacionada a essa técnica, a tecnologia CRISPR-Cas9 está entre os principais avanços que proporcionam o restabelecimento da produção adequada de hemoglobina. **OBJETIVO:** Analisar a utilização e a contribuição da tecnologia CRISPR-Cas9 no tratamento da beta talassemia. **METODOLOGIA:** Trata-se de uma revisão integrativa de literatura na base de dados Google Acadêmico. As palavras-chave utilizadas foram: “beta talassemia”, “terapia gênica”, “CRISPR-Cas9”, sendo realizada uma busca por esses descritores no DECS para averiguar se estavam disponíveis. Por fim, foram selecionados 3 artigos entre os anos de 2022 e 2024, sendo os critérios de inclusão a pertinência temática e, de exclusão, artigos inadequados ao tema proposto e/ou com duplicidade. **RESULTADOS:** CRISPR-Cas9 pode realizar modificações objetivas no DNA de células vivas e utiliza um conjunto de proteínas específicas do sistema imunológico de bactérias, que tem a capacidade de identificar e clivar determinada região do DNA. Na perspectiva de melhor prognóstico da beta-talassemia, a CRISPR Therapeutics, após um experimento em 2019, realizou a implementação da técnica citada em um paciente de 20 anos. Nesse procedimento, ocorreu o tratamento com CTX001, que se tratam de células-tronco hematopoiéticas CD34+ autólogas editadas com a tecnologia CRISPR-Cas9, promovendo a interrupção do gene BCL11A, o que desencadeou o aumento na produção de hemoglobina fetal após as células editada serem devolvidas para a medula óssea. Como resultado, o paciente com talassemia beta dependente não precisou receber transfusão por um período de 9 meses. Já no ano de 2022, a terapia gênica em debate foi escolhida com o fito de reativar a expressão da gamaglobina (proteína presente na hemoglobina fetal). Foram realizadas edições de múltiplos genes em células HUDEP-2 e em células CD34+, fator esse que promoveu maior expressão de gamaglobina do que em experimentos nos quais apenas um gene foi editado. **CONCLUSÃO:** A partir dos estudos demonstrados, é notória a perspectiva de melhor prognóstico a partir da tecnologia CRISPR-Cas9, a qual promove alterações significativas na qualidade de vida de pacientes portadores da talassemia beta por meio da intensificação da produção de hemoglobina fetal e de gamaglobina em dois experimentos diferentes, demonstrando como a terapia gênica citada pode trazer benefícios a partir das suas múltiplas possibilidades de uso.

<sup>1</sup> Discente do Curso de Medicina, Universidade Federal do Ceará, *Campus* Sobral, [j.airtonferreira2018@gmail.com](mailto:j.airtonferreira2018@gmail.com), [aluisiodlucas@gmail.com](mailto:aluisiodlucas@gmail.com), [hilderlaniaalvesopaula@gmail.com](mailto:hilderlaniaalvesopaula@gmail.com), [luisfelipematos969@gmail.com](mailto:luisfelipematos969@gmail.com)

<sup>2</sup> Discente do Curso de Medicina, Faculdade de Ciências Médicas Afya, Palmas, Tocantins, [nalice@hotmail.com](mailto:nalice@hotmail.com)

<sup>3</sup> Doutor em Bioquímica, Docente do Curso de Medicina, Universidade Federal do Ceará, *Campus* Sobral, [pintovicente@gmail.com](mailto:pintovicente@gmail.com).

