I CONGRESSO BRASILEIRO DE BIOLOGIA MOLECULAR ON-LINE

A EFICÁCIA DA APLICAÇÃO DO SISTEMA CRISPR-CAS9 NO TRATAMENTO DA ANEMIA FALCIFORME E TALASSEMIA

ASSIS, Leonardo de Oliveira[1]; SOUZA, Danielli Carolina Brito[2]

RESUMO

Introdução: As hemoglobinopatias são complicações genéticas provocadas por alterações mutagênicas na estrutura da hemoglobina que atingem cerca de 7% da população mundial. A técnica CRISPR/Cas9 surgiu para induzir modificações genéticas podendo ser programada especificamente para determinados locais a partir da alteração da sua sequência de RNA-guia, acionando um mecanismo de alto desempenho para edição de genes defeituosos como é o caso de determinadas hemoglobinopatias. **Objetivo**: Este estudo é desenvolvido com foco principal na análise da eficácia da utilização do complexo CRISPR/Cas9 no tratamento da talassemia (CID D56) e anemia falciforme (CID D57). **Material e métodos**: O método escolhido para o alcance dos objetivos foi a Revisão Sistemática da Literatura de artigos publicados entre 2015 e 2020. Os estudos foram selecionados junto à PubMed – National Library of Medicine, SCIELO - Scientific Eletronic Library on-line - e Google Acadêmico. **Resultados**: A entrega de material genético por plasmídeo obteve eficiência e facilidade de uso após a seleção com alta toxicidade, porém ainda não é adequada para aplicação clínica. A entrega sem DNA junto a eletroporação por RNA e RNP obteve uma eficiência de até 80%, sendo promissora na edição clínica de genes. **Conclusão**: A otimização da utilização das CRISPR/Cas9 é de extrema importância a fim de se obter uma toxicidade mínima e alta eficiência na edição do genoma. Espera-se que os rápidos avanços na tecnologia CRISPR/Cas9 acabem por eliminar o risco de efeitos genéticos fora do alvo, e este se torne o método padrão para curar desordens genéticas na prática clínica de rotina.

Palavras-chave: Anemia falciforme. Cas9. CRISPR. Hemoglobinopatias. Talassemia.

[1] Universidade Brasil, Fernandópolis, São Paulo. E-mail: leoassis1234@hotmail.com
[2] Universidade Brasil, Fernandópolis, São Paulo. E-mail: daniellicarolina@hotmail.com

ISBN 978-65-88884-02-7