

TERAPIA GÊNICA

por Alexandra Zilli
Farmacêutica-bioquímica - INCOR

TERAPIA GÊNICA (TG):

- O QUE É - Aplicação dos princípios genéticos no tratamento das doenças humanas
- COMO - Pela introdução de material genético em células-alvo.
- PARA QUÊ
 - Reduzir ou remover o efeito do gene doente
 - Introduzir uma nova função
- ONDE é possível aplicar -
 - Em células somáticas e em germinativas

Abordagem somática:

- **considerado um tipo de tratamento médico para o paciente**

Abordagem germinativa:

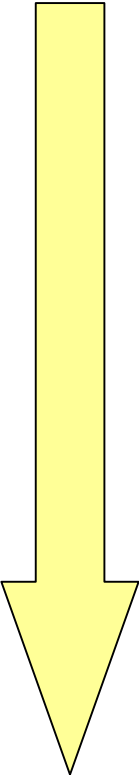
- **considerado um risco em potencial para as futuras gerações**

Atualmente, é ilegal!

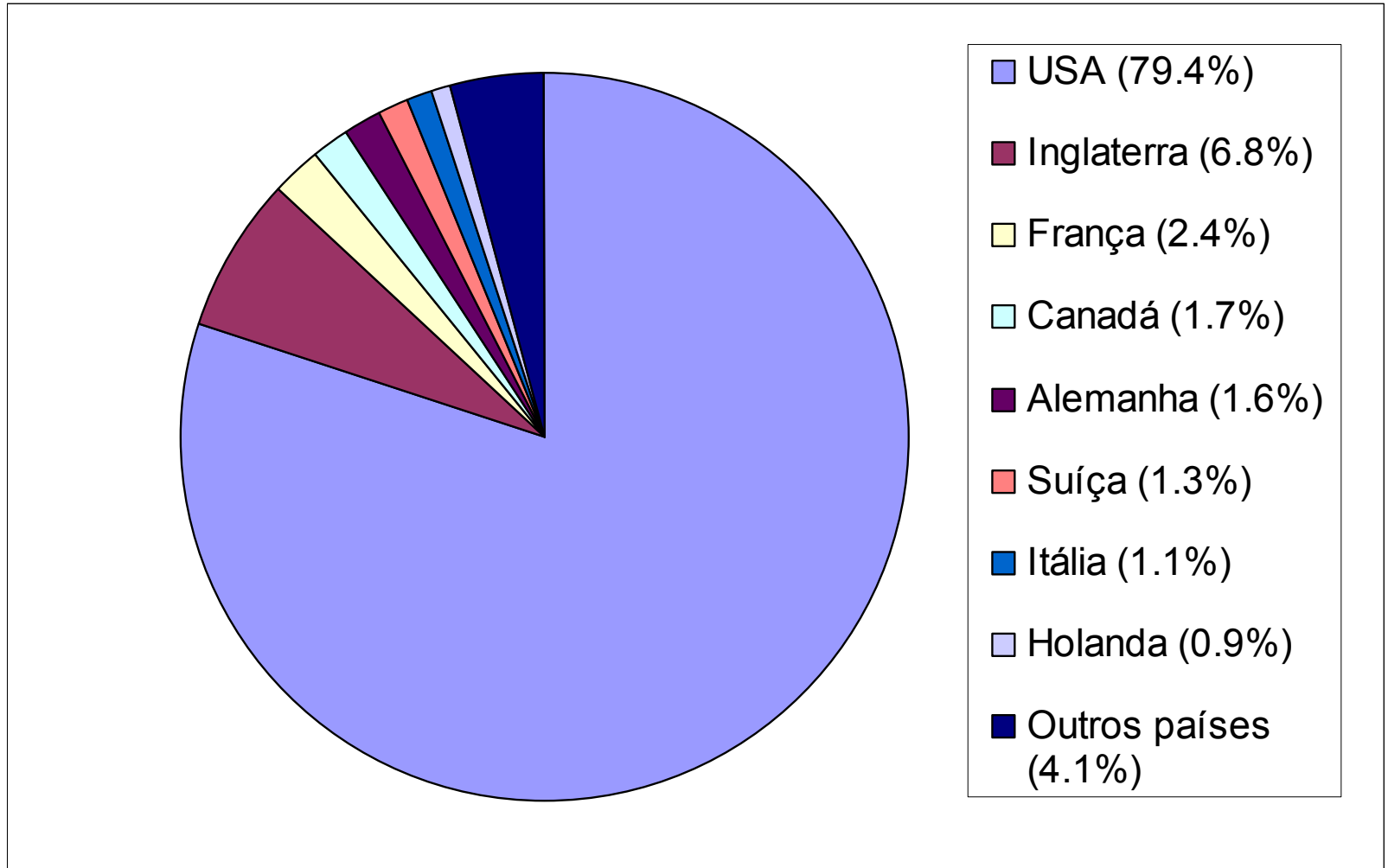
Aplicações da terapia gênica:

- Câncer
- Doenças hereditárias
- Doenças infecciosas (por vírus ou bactéria)
- Doenças do sistema imune
- Doenças agudas
- Vacinação

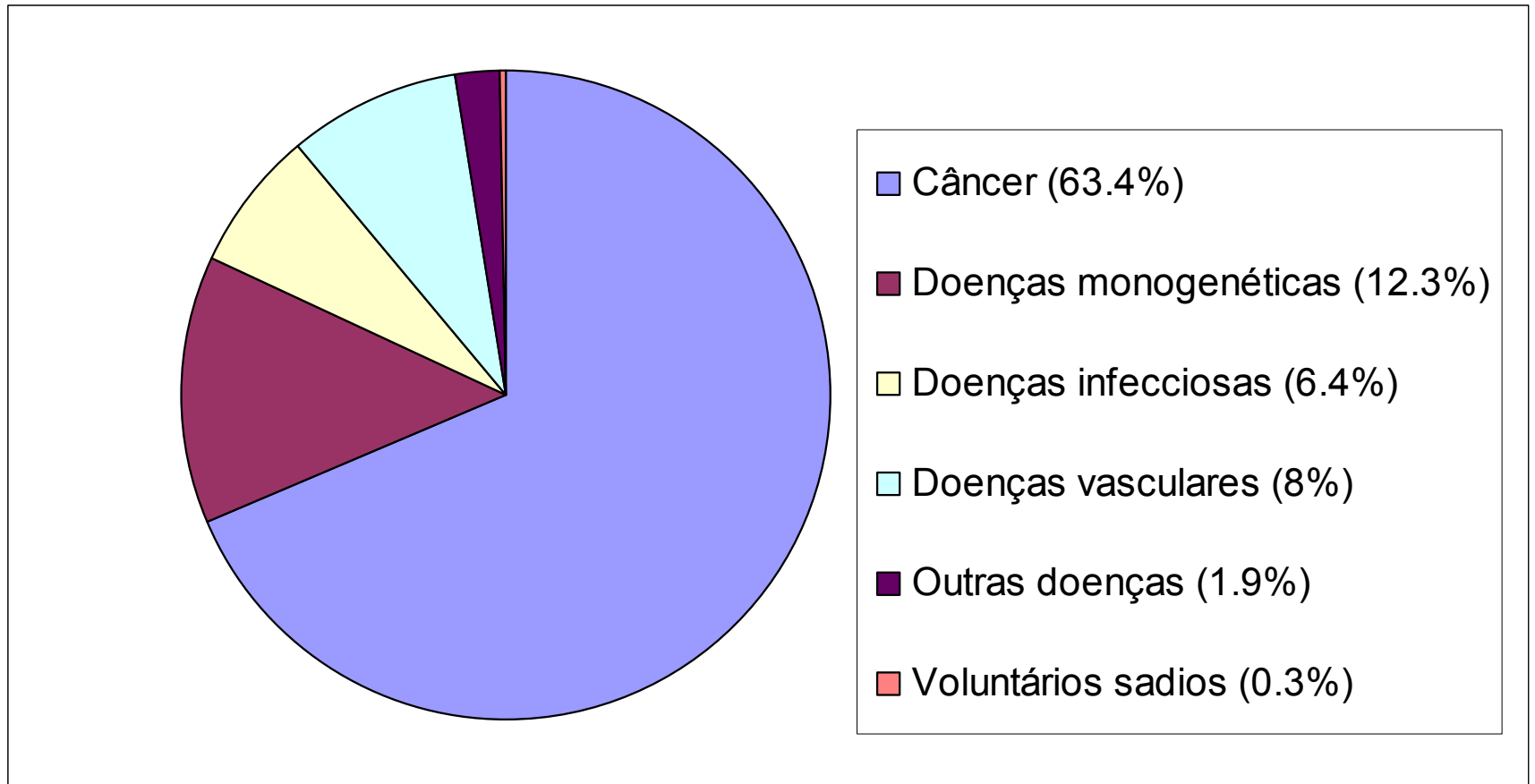
História da terapia gênica

- 
- **Anos 30** - engenharia genética/controlado de reprodução de plantas e animais
 - **Anos 60** - primeiras idéias utilizando genes para fins terapêuticos
 - **Anos 50-70** - desenvolvimento da transferência gênica
 - **Anos 70-80** - tecnologia do DNA recombinante
 - **1990** - primeira TG em humanos (Imunodeficiência severa combinada - ISC)
 - **2000** - primeira cura de doença humana (ISC)
 - **2003** - 636 estudos clínicos com TG (3496 pacientes)

Protocolos em andamento por país:



Doenças que envolvem protocolo com TG:



O que é necessário para a realização da TG:

- compreensão do processo da doença
- entender a estrutura e a função do gene a ser introduzido
- experimento em modelos animais e análise da função
- transporte eficiente do gene de interesse
- controle da expressão gênica
- prevenção e controle de resposta imune
- estudos clínicos

Tecidos-Alvo:

- **Células hematopoéticas:** mais fáceis
- **Músculo e fígado:** bons alvos
- **Retina ocular:** acessível, mas frágil
- **Neurônios:** muito difíceis
- **Tumores:** acesso ao interior pode ser difícil

Problemas com a TG:

⇒ Segurança:

- Toxicidade
- Resposta imune
- Integração
 - ♦ transformação maligna
 - ♦ integração às células germinativas
- Replicação viral por meio de recombinação

⇒ Eficácia:

- Captação pela célula-alvo
- Controle da expressão gênica