**Terapia Gênica para Doença Falciforme (DF)**

Larissa Yurie Rezende Tanimitsu¹, Maria Vitória Vieira Graciano¹, Lígia Gonsalves Ribeiro¹, Ana Carolina de Holanda Machado¹, Yasmin Alves Pereira¹, Marcela de Andrade Silvestre²

1. Discente do curso de medicina do Centro Universitário de Anápolis – UniEVANGÉLICA
2. Docente do curso de medicina do Centro Universitário de Anápolis – UniEVANGÉLICA

**INTRODUÇÃO:** A Doença Falciforme é causada por uma alteração hereditária no gene da hemoglobina em que a hemoglobina-A normal passa a ser chamada de (S) pelo seu formato. Sendo essa justificativa dos problemas que essa doença causa, principalmente a dificuldade de transporte de moléculas de oxigênio. É um distúrbio genético gerado por uma substituição de aminoácidos de cadeia β-globina que dificultam a fluidez dos glóbulos pelos vasos sanguíneos. A importância da terapia gênica para essa doença é uma alternativa próspera, porém ainda com poucas evidências comprovadas. Sendo o objetivo analisar a relação entre a terapia gênica, doença falciforme e a possível efetividade dessa terapia.**MÉTODO**: Foram selecionados 20 artigos originais dos anos 2016 a 2020, nas bases de dados “PubMed” e “Scholar Google”, sendo utilizados os descritores “Gene Therapy” e “Sickle Cell Disease” e excluindo aqueles que não respondiam ao objetivo dessa revisão.**RESULTADOS:** A terapia gênica é a introdução de genes no indivíduo doente. Essa doença na maioria das vezes,é uma disfunção/mutação genética. Atualmente, uma opção potencialmente curativa é o transplante alogênico de células tronco, ou seja, de medula óssea. A doença falciforme apresenta manifestações clínicas sendo agudas ou crônicas. A gravidade da doença está relacionada com a proporção de Hb-S. Sendo o Hb-SC menos grave que o Hb-SS. Contudo, outra adversidade é que o transplante de medula requer quimioterapia condicionante destruindo a medula óssea do receptor antes dessa transfusão de células saudáveis.Pesquisas iniciais com altas doses de radio e quimioterapia demonstraram complicações a longo prazo e até imediatas. Estudos mais recentes demonstraram que se houver uma intensidade reduzida dessas terapias ou condicionamento não mieloblativo, há uma diminuição de complicações. Um tratamento ideal deve levar em conta uma correção gênica altamente efetiva com mínimas mutações de oncogênese. A transfusão de hemácia, por sua vez, pode ter vários benefícios para terapia gênica em pessoas doentes. Dentre elas podendo suprimir a eritropoiese endógena, melhorar o rendimento celular e a taxa de enxerto e sendo essas transfusões a longo prazo podem minimizar danos nos órgãos afetados pela.**CONCLUSÃO:** Ainda não há conclusões consolidadas sobre a efetividade do tratamento por meio da terapia gênica. Entretanto, são relevante os avanços no transplante de medula óssea, oferecendo maior taxa de sobrevida aos doentes e possível cura da doença.

**PALAVRAS-CHAVES:** Sickle Cell Disease, Gene Therapy, A-Hemoglobin