**TERAPIA GÊNICA NO TRATAMENTO DE RETINOPATIAS**

Joao Lucas Pereira Mariano1, Daniel Lopes Marques de Araújo1, Guilherme Augusto Detome Vertelo1, Laynne Lorrane Santos1, Márden Estevão Mattos Júnior2.

1Discente do Centro Universitário Atenas.

2Docente do Centro Universitário Atenas.

**Introdução**: Por meio da terapia gênica, tornou-se possível tratar as alterações das expressões gênicas diante de uma mutação. Em 2020, foi registrado pela Anvisa o Luxturna, primeiro medicamento com base na terapia gênica no Brasil, com o intuito de tratar alterações que envolvam a expressão de certos genes com modificações no padrão de expressão em pacientes com Distrofias Retinianas hereditárias. Assim, a terapia gênica se mostra uma alternativa promissora quanto ao tratamento de algumas doenças caracterizadas por disfunções visuais. **Objetivo**: Explanar a respeito da abordagem da terapia genética com enfoque no tratamento da Distrofia Retiniana (DR). **Revisão**: A terapia gênica por Luxturna para o tratamento de doenças retinianas está relacionado àquelas cujas patologias são decorrentes da mutação do gene RPE65. Este mesmo gene está relacionado à produção da enzima isomerase, fundamental no ciclo visual para realizar a conversão de vitamina A. A mutação nesse gene impede a formação do pigmento visual, o que ocasiona prejuízos progressivos à visão, tendo como resultado as retinopatias como a Retinose Pigmentar e Amaurose Congênita de Leber. A medicação estudada é realizada por injeção subretiniana e fornece o gene sadio às células da retina, permitindo uma codificação correta de proteínas, de forma que restaure o ciclo visual. Para que esse tratamento tenha efeito, é necessário que o paciente ainda tenha células retinianas sadias. Estudos que utilizam a terapia gênica demonstram que ela foi eficaz para aumentar a resposta pupilar, a função dos fotorreceptores, a sensibilidade visual e visão funcional em pacientes diagnosticados com distrofias retinianas. A terapia encontra como empecilho seu alto custo: o tratamento é avaliado em 850.000 U$D. Assim, o alto preço é considerado como desencorajador para o tratamento. Em perspectivas futuras, há a esperança de produzir um vetor viral, com baixa imunogenicidade e citotoxicidade, para a transferência do gene à célula-alvo, com o intuito de que ela passe a expressá-lo. **Conclusão:** A terapia gênica para o tratamento de retinopatias relacionadas ao gene RPE65 apresenta resultados positivos quanto ao tratamento, de forma que melhore o quadro clínico e apresente efeito protetor à retina. A aprovação da medicação no Brasil pode indicar esperança de uma melhor qualidade de vida aos pacientes com Retinose Pigmentar, Amaurose Congênita de Leber e Síndrome de Usher. **Palavras-chave:** Retinose Pigmentar, Amaurose.