**OS AVANÇOS DA TERAPIA GENÉTICA EM PEDIATRIA: UMA REVISÃO DE LITERATURA**

**Maria Eduarda Prudente Kunzler Alves1, Rodrigo de Oliveira Rios2**

1Hospital Universitário de Brasília (residência), 2Hospital Materno Infantil de Brasília(residência)

**E-mail para correspondência: rodrigoriosbh@gmail.com**

**Introdução:** A terapia gênica (TG) emergiu como uma inovação no campo da medicina, oferecendo perspectivas revolucionárias no tratamento de doenças genéticas. No contexto pediátrico, onde muitas dessas condições são diagnosticadas precocemente, essa terapia apresenta-se como uma abordagem potencialmente transformadora. **Objetivo:** Explorar a aplicação da terapia gênica na pediatria, investigando seu impacto na abordagem terapêutica de doenças genéticas em crianças. Buscou-se analisar como a TG pode ser aplicada na pediatria, destacando as doenças genéticas-alvo, os métodos terapêuticos utilizados e os desafios associados à implementação dessa abordagem em pacientes pediátricos observando-se, principalmente, a qualidade de vida das crianças submetidas a esse tipo de intervenção. **Metodologia:** A presente revisão caracteriza-se como sendo do tipo integrativa. Foram consultadas três bases de dados bibliográficas: PubMed, Cochrane Library e EMBASE. Foram considerados como critérios de inclusão: artigos originais, no idioma inglês, disponíveis como acesso aberto e com um período de publicação entre 2013 e 2023, cuja busca foi atualizada até dezembro de 2023. Foram excluídos estudos duplicados e aqueles que não apresentavam, pelo menos, dois dos descritores no resumo ou no título. **Resultados e Discussões:** Os resultados apresentaram avanços significativos na aplicação da terapia gênica em crianças com doenças genéticas. Casos de sucesso indicam melhorias notáveis na qualidade de vida e redução dos sintomas associados a condições anteriormente consideradas incuráveis. No entanto, as discussões também enfocam desafios, como a necessidade de aprimorar a eficiência e segurança dos vetores gênicos, além de questões éticas relacionadas à manipulação genética em estágios precoces da vida. A análise das respostas imunológicas e potenciais efeitos colaterais a longo prazo são pontos críticos discutidos na literatura, ressaltando a importância de uma vigilância contínua após a aplicação da terapia gênica em pacientes pediátricos. **Conclusão:** Este estudo evidencia a terapia gênica como uma abordagem promissora na pediatria, oferecendo novas possibilidades terapêuticas para doenças genéticas em crianças. Os resultados positivos observados em diversos casos ressaltam a importância dessa inovação na transformação da perspectiva de tratamento para pacientes pediátricos e suas famílias. No entanto, os desafios técnicos, éticos e de segurança destacados na pesquisa enfatizam a necessidade de uma abordagem cautelosa, principalmente com relação aos riscos potenciais.

**Palavras-chave:** Pediatria. Terapia Genética. Terapia de Genes.

**Área Temática:** Medicina.