 **TERAPIA GÊNICA EM DOENÇAS HEREDITÁRIAS**

Daniel El Jaliss Schuh – Unievangélica, danieljaliss@gmail.com, CPF (700.048.661-93);

 Letícia De Matos Campos – Unievangélica, Lm-leticiamcampos@hotamil.com, CPF (384.099.798-45);Isabela Roriz de Carvalho – Unievangélica, isabelarorizdecarvalho@gmail.com, CPF (04423892138);Paulo Caetano Mendes Queiroz – Unievangélica, pauloqueirozcaetano97@gmail.com, CPF (051.618.151-32); Jivago Carneiro Jaime – Unievangélica, jivagojaime@gmail.com, CPF (401.982.511-49).

**INTRODUÇÃO**: A terapia gênica é uma abordagem inovadora que visa tratar ou curar doenças ao corrigir mutações genéticas causadoras de enfermidades. Esta técnica tem mostrado grande potencial no tratamento de doenças hereditárias, oferecendo esperança para condições que atualmente não possuem cura. **OBJETIVO**: Explorar as técnicas de terapia gênica aplicadas no tratamento de doenças hereditárias e discutir casos de sucesso e desafios enfrentados. **METODOLOGIA**: Esta revisão integrativa foi elaborada a partir da análise de estudos publicados nas bases de dados PubMed, Scopus e Web of Science. Foram utilizados os descritores 'gene therapy', 'hereditary diseases', 'genetic disorders' e 'clinical trials', associados ao booleano 'AND'. Os critérios de inclusão englobaram artigos publicados em inglês entre 2015 e 2023, focados em terapia gênica para doenças hereditárias. Estudos duplicados e não disponíveis na íntegra foram excluídos. **RESULTADOS**: A terapia gênica utiliza vetores virais e não virais para entregar genes corretivos às células-alvo. Um exemplo notável é a terapia gênica para a hemofilia, onde a introdução de um gene funcional do fator VIII ou IX tem mostrado reduzir significativamente os episódios hemorrágicos em pacientes. A fibrose cística, causada por mutações no gene CFTR, também tem sido alvo de terapias gênicas, com avanços promissores em ensaios clínicos que demonstram melhora na função pulmonar dos pacientes tratados. Entretanto, desafios como a resposta imune aos vetores, a eficiência de entrega do gene e a regulação da expressão gênica persistem. **CONCLUSÃO**: A terapia gênica representa um avanço significativo no tratamento de doenças hereditárias, com vários casos de sucesso já documentados. No entanto, para sua implementação clínica ampla, ainda são necessários aprimoramentos tecnológicos e a superação de barreiras imunológicas e éticas. A continuidade da pesquisa e o desenvolvimento de novas técnicas são essenciais para consolidar a terapia gênica como uma abordagem padrão para o tratamento de doenças genéticas.

**Palavras-chave**: Terapia Gênica; Doenças Hereditárias; Distúrbios Genéticos.

**REFERÊNCIAS:**

HIGH, K. A.; RONCAROLO, M. G. Gene therapy. **New England Journal of Medicine**, v. 381, n. 5, p. 455-464, 2019.

NATHWANI, A. C.; et al. Long-term safety and efficacy of factor IX gene therapy in hemophilia B. **New England Journal of Medicine**, v. 371, n. 21, p. 1994-2004, 2017.

KEISER, N. W.; ENGELHARDT, J. F. New animal models of cystic fibrosis: what are they teaching us?. **Current Opinion in Pulmonary Medicine**, v. 26, n. 6, p. 553, 2019.

DUNBAR, C. E.; et al. Gene therapy comes of age. **Science**, v. 359, n. 6372, eaan4672, 2018.

NALDINI, L. Gene therapy returns to centre stage. **Nature**, v. 526, n. 7573, p. 351-360, 2015.

WILSON, J. M.; FLOTTE, T. R. Moving forward after two deaths in a gene therapy trial of myotubular myopathy. **Human Gene Therapy**, v. 31, n. 13-14, p. 695-696, 2020.;

