

TERAPIA GÊNICA BASEADA EM CRISPR-CAS9: AVANÇOS E PERSPECTIVAS NO TRATAMENTO DE DOENÇAS GENÉTICAS

PONZONI, LAÍS¹; DE LIMA LEITE, Valdinei¹; BELLAVER, Emyr Hiago¹;

Fundamentação/Introdução: O avanço das tecnologias de edição gênica tem transformado significativamente a medicina molecular, permitindo intervenções diretas no genoma humano com elevada precisão. Entre essas ferramentas, o sistema CRISPR-Cas9 destaca-se como uma das maiores inovações da biotecnologia moderna. Derivado de um mecanismo natural de defesa bacteriana contra vírus, esse sistema permite identificar e modificar sequências específicas do DNA, possibilitando a correção de mutações responsáveis por diversas doenças genéticas. A aplicação dessa tecnologia tem ampliado as perspectivas terapêuticas em patologias hereditárias anteriormente consideradas incuráveis, representando um marco na medicina genômica e na biomedicina translacional.

Objetivos: Analisar os avanços científicos da tecnologia CRISPR-Cas9 e discutir suas aplicações terapêuticas no tratamento de doenças genéticas, com ênfase em terapias gênicas recentes.

Delineamento e Métodos: Trata-se de uma revisão bibliográfica integrativa realizada entre 2020 e 2025 nas bases PubMed, Scopus e ScienceDirect. Foram incluídos ensaios clínicos, revisões sistemáticas e publicações científicas que abordassem aplicações clínicas, mecanismos moleculares e desafios relacionados à edição gênica.

Resultados: A literatura científica demonstra que a tecnologia CRISPR-Cas9 apresenta grande potencial terapêutico no tratamento de doenças monogênicas, incluindo anemia falciforme, beta-talassemia e distrofias musculares. Estudos clínicos recentes demonstraram sucesso na modificação de células-tronco hematopoiéticas para estimular a produção de hemoglobina fetal, reduzindo significativamente crises vaso-oclusivas em pacientes com anemia falciforme. Além disso, pesquisas indicam aplicações promissoras em oncologia, terapias celulares e medicina personalizada. Entretanto, desafios científicos permanecem, incluindo possíveis efeitos off-target, limitações na entrega do sistema de edição às células-alvo e questões éticas relacionadas à manipulação genética.

Conclusões/Considerações Finais: A edição gênica baseada em CRISPR-Cas9 representa uma das estratégias terapêuticas mais promissoras da medicina contemporânea, oferecendo perspectivas reais de tratamento e potencial cura para diversas doenças genéticas. Contudo, sua aplicação clínica requer rigor científico, monitoramento de segurança e reflexão ética sobre os limites da intervenção no genoma humano.

Palavras-chave: CRISPR-Cas9; Doenças genéticas; Edição gênica; Medicina genômica; Terapia gênica;

¹ UNIARP - Caçador - SC - Brasil