

EFEITOS DO USO DA TERAPIA GÊNICA NO TRATAMENTO DA HEMOFILIA A: UMA REVISÃO NARRATIVA

Sandrielle Maria Brito do Nascimento (britosandrielle@gmail.com)

Antonio Cezar Queiroz Lima Filho (cezarqueiroz.f@gmail.com)

Cristovan Maciel Teixeira (cristovan246@gmail.com)

Francisco Jailson Portela Melo (jailsonp2019@gmail.com)

Keren dos Reis Porfirio (Kp.porfirio@gmail.com)

Lucas Farias Linhares Silva (lucasfariaslinharessilva@alu.ufc.br)

Yane Vitória de Lima Cavalcante (yanevitoria57@gmail.com)

Introdução - A hemofilia A é um distúrbio hemorrágico hereditário ligado ao cromossomo X causado por deficiência no fator VIII (essencial para a cascata de coagulação sanguínea). Assim, com o intuito de corrigir esse defeito diversas alternativas podem ser utilizadas, como a terapia gênica com Valoctocogene Roxaparvovec (Roctavian), que consiste no uso de um vetor viral (vírus adeno-associado 5) para transportar uma versão saudável do gene do fator VIII até as células do fígado, onde essa proteína será produzida. Ademais, essa alternativa apresenta algumas propostas e repercussões, as quais devem ser analisadas de maneira minuciosa. **Objetivo** - Avaliar os efeitos do uso de Roctavian nos indivíduos com hemofilia A a fim de auxiliar o profissional médico para a escolha do tratamento mais adequado para cada paciente. **Métodos** - O estudo trata-se de uma revisão narrativa de literatura. Foi realizada uma pesquisa na base de dados PubMed, cruzando os descritores “hemofilia A”, “terapia genética” e “vírus adenoassociados”. Para tanto, foram selecionados cinco artigos entre os anos de 2022 e 2024, em língua inglesa. Como critério de inclusão usou-se a pertinência temática e como critério de exclusão, foi usada a não adequação ao tema proposto. **Resultados** - Nos estudos analisados, o uso de Valoctocogene Roxaparvovec está associado a uma redução na taxa de sangramento e na utilização do concentrado de fator VIII profilático (tratamento padrão da hemofilia A), além de promover o aumento da produção endógena e atividade dessa proteína essencial na coagulação sanguínea. Logo, essa alternativa de tratamento é responsável por melhorar a qualidade de vida dos pacientes e diminuir a morbidade e a mortalidade relacionada a eventos de sangramento. Além disso, a terapia gênica com Roctavian propicia algumas vantagens em relação ao tratamento padrão, como a utilização de dose única e a diminuição do risco de desenvolvimento de inibidores (anticorpos). Entretanto, esse medicamento apresenta efeitos colaterais como hipersensibilidade, reações na infusão, náuseas, dores de cabeça e nas articulações,

além do aumento das enzimas alanina aminotransferase (ALT) e aspartato aminotransferase (AST), que são marcadores da função hepática. **Conclusões** - A terapia genética com Roctavian é considerada segura e eficaz no tratamento da hemofilia A, mas os seus efeitos colaterais devem ser levados em consideração durante a escolha do tratamento. Desse modo, cabe ao profissional médico durante a escolha da intervenção terapêutica avaliar o histórico clínico, saúde do fígado e a presença de anticorpos pré-existentes contra o vetor viral para conseguir tomar a decisão mais adequada.

Palavras-chave: Hemofilia A, Terapia Genética, Vírus Adenoassociados.