

## TERAPIA GÊNICA: OS AVANÇOS NA SAÚDE E AS LIMITAÇÕES BIOÉTICAS DO SISTEMA CRISPR-CAS9

Tiago do Nascimento Gonçalves, tiago.goncalves@discente.ufma.br<sup>1</sup>,  
João Penha Neto Segundo<sup>1</sup>, joao.nps@discente.ufma.br,  
Rossana Vanessa Dantas de Almeida Marques<sup>2</sup>.

1. Acadêmico de Medicina da Universidade Federal do Maranhão – CCST;
2. Docente do Curso de Medicina da Universidade Federal do Maranhão – CCST.

### RESUMO

**INTRODUÇÃO:** A inovação terapêutica depende de uma abordagem que combina tecnologias modernas de descoberta de moléculas bioativas, imagem, genômica funcional, biologia estrutural e da fisiologia. A implementação deste conjunto constitui um enquadramento único para a compreensão dos organismos vivos, tratando patologias órfãs, raras ou emergentes, focando nos fenômenos de resistência e na questão da qualidade de vida ao longo da existência do indivíduo. A edição de genes encontra muitas aplicações por sua simplicidade de implementação, revolucionou os métodos de excisão/inserção de genes ou mutagênese *in situ* e, permitiu a introdução de modificações direcionadas em espécies animais. **OBJETIVO:** Relatar o conhecimento atualizado sobre a terapia gênica e, especificamente, informar sobre a utilização do Sistema CRISPR-Cas9 na saúde e seus limites bioéticos. **METODOLOGIA:** Foram selecionados na base de dados PubMed/Medline no primeiro semestre de 2021, usando os termos [CRISPR] AND [BIOETIC] AND [GENE THERAPY] no título. Houve uma restrição de idioma na língua inglesa em artigos de 2018 à 2022. Dentre os 51 artigos inicialmente identificados, 24 foram elegíveis para esta revisão. **REVISÃO DE LITERATURA:** O sistema CRISPR-Cas9 foi descoberto em bactérias, que têm ao longo de seu genoma sequências curtas de DNA repetidas regularmente, estas chamadas CRISPR (*Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats*). Trata-se de um mecanismo de defesa das bactérias que cliva somente uma parte do DNA específico do bacteriófago e se agrega ao DNA da própria bactéria, ou seja, através de um processo que imita o que uma bactéria faz naturalmente ao combater um vírus: usando um RNA guia, elas identificam e substituí setores específicos da DNA, para alcançar mudanças desejadas. Com o CRISPR, a sequência alvo do gene que vai ser intervencionado é específico e junta-se a ela, a enzima

Cas9 que corta as fitas de DNA da sequência que se deseja alterar. Esta mesma técnica de clivagem pode ser usada para inserir um novo gene que codifica uma característica desejável, de forma singular. Estudos clínicos realizados com o sistema CRISPR-Cas9 foram publicados com ação em várias doenças. Por outro lado, as preocupações sociais e bioéticas em relação aos seres humanos, outros organismos e meio ambiente são uma realidade, em que cristalizam-se na modificação de embriões humanos e transmissão aos descendentes. **CONCLUSÃO:** A edição de genes está prestes a revolucionar o mundo da saúde, e muitas aplicações terapêuticas estão sendo desenvolvidas, existem alguns obstáculos técnicos a serem superados antes de considerar a comercialização de tratamentos em humanos.

**Descritores:** Tecnologia CRISPR; Bioética; Biotecnologia; Difusão de inovações.