



## NOVA TERAPIA GÊNICA PROMISSORA PARA HEMOFILIA B: ETRANACOGENE DEZAPARVOVEC/AMT-061

GABRIEL GALETE COSTA

**Introdução:** A hemofilia B é uma doença hemorrágica hereditária e recessiva que causa deficiência do fator IX de coagulação, podendo gerar sangramentos prolongados e graves. A terapia gênica é uma abordagem promissora e uma possível alternativa ao tratamento da hemofilia B, sendo que a Etranacogene dezaparvovec (AMT-061) é um vetor viral adeno-associado que carrega uma cópia funcional do gene do fator IX, utilizado para o tratamento da doença. **Objetivo:** Este estudo tem como objetivo avaliar a eficácia e segurança da terapia gênica com AMT-061 em pacientes com hemofilia B. **Metodologia:** Foram analisados ensaios clínicos (EC) de fase 3 realizados até fevereiro de 2023 encontrados na base de dados ClinicalTrials.gov, portanto, foi incorporado o ensaio open label multicêntrico denominado HOPE-B, com identificador NCT03569891. O EC contabilizou com 54 pacientes com hemofilia B grave ou modera-grave (atividade FIX  $\leq 2\%$ ) que receberam dose única de AMT-061 em comparação ao tratamento padrão (uso exógeno do FIX). A eficácia do tratamento foi avaliada por meio da atividade endógena do fator IX, além da taxa anual de sangramentos e o uso exógeno do fator IX. A segurança do tratamento foi avaliada por meio do monitoramento de eventos adversos. **Resultados:** A terapia gênica com AMT-061 foi eficaz na elevação dos níveis de atividade endógenos do fator IX, reduzindo significativamente o número de sangramentos anuais. Além disso, a necessidade de tratamento de reposição do fator IX foi reduzida em 96% dos pacientes tratados com AMT-061. O tratamento também foi considerado seguro, com poucos eventos adversos relatados, sendo em maioria leves. **Conclusão:** A terapia gênica com AMT-061 apresentou resultados promissores no tratamento da hemofilia B em ensaios clínicos, com eficácia e segurança comprovadas em pacientes com a doença. A utilização deste vetor viral que carrega uma cópia funcional do gene foi aprimorada após AMT-060, podendo ser uma opção para o tratamento da hemofilia B, com potencial para melhorar a qualidade de vida dos pacientes e se tornando uma alternativa ao único tratamento disponível. Agências internacionais de controle de medicamentos renomadas, como FDA e EMA, já aprovaram seu uso nos Estados Unidos e na União Europeia, respectivamente.

**Palavras-chave:** Hemofilia b, Fator ix, Etranacogene dezaparvovec, Amt-061, Terapia gênica.