



APLICAÇÕES DE CRISPR-CAS9 E IPSCS EM TERAPIAS GENÉTICAS- REVISÃO BIBLIOGRÁFICA

HECTOR SEBASTIAN BAPTISTA; LAURA BEATRIZ BORIM DA SILVA; CAROLINE RODRIGUES DE JESUS; INGRID MIRANDA FERRAZ

INTRODUÇÃO: A expectativa de curar doenças genéticas ainda está sobre a identificação de genes responsáveis por sua patogênese e sobre o avanço das tecnologias de DNA recombinante, ou "engenharia genética", que permitem a manipulação do genoma de forma cada vez mais eficiente e segura. A terapia gênica é uma área da engenharia genética que predomina em laboratórios de pesquisa de forma experimental. Desenvolve-se a possibilidade de correção de genes mutados ou modificações específicas que tenham como alvo o tratamento terapêutico. **OBJETIVO:** O objetivo deste resumo foi descrever as técnicas de CRISPR-Cas9 (Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats) e iPSCs (células-tronco pluripotentes induzidas) como forma de terapia gênica, utilizando revisão de literatura. **METODOLOGIA:** Foram analisados 50 artigos entre 2013 e 2023 em fontes confiáveis, avaliando aspectos relevantes ao tema. **RESULTADOS:** As CRISPR podem ser traduzidas em pequenos fragmentos de RNA que se associam a proteínas específicas, as CRISPR associated proteins ou Cas, formando um complexo capaz de degradar o material genético específico, assim essa tecnologia permite a correção de defeitos genéticos e edição do DNA. Outra terapia gênica recente visa o uso de células-tronco hematopoiéticas, que têm se tornado ideais para a transferência gênica, devido ao elevado potencial de longevidade e a capacidade de autorrenovação. **CONCLUSÃO:** As tecnologias de iPSCs e CRISPR-Cas9 nos permitem obter modelos celulares de edição gênica específicos ao paciente, tornando promissora a pesquisa sobre novas abordagens terapêuticas em medicina regenerativa e terapia gênica. Entretanto, mesmo sendo variados, apresentam diversas limitações e ainda necessitam de aprimoramento para evitar alterações genômicas indesejadas, assim como de regulamentação jurídica, para coibir manipulação gênica humana desordenada.

Palavras-chave: Edição genética, Crispr-cas9, Ipscs, Terapia gênica, Biotecnologia.