

## UTILIZAÇÃO DA TÉCNICA CRISPR-CAS9 NA EDIÇÃO DO GENE DAS CÉLULAS-TRONCO DE PACIENTES COM ANEMIA FALCIFORME: UMA REVISÃO DE LITERATURA

ISABELLA GOMES MATOS

**Introdução:** A anemia falciforme é caracterizada pela presença de hemácias em forma de foice, o que resulta em sintomas dolorosos e complicações médicas que podem levar a morte prematura. Apesar dos avanços em tratamentos paliativos, a procura por métodos mais eficazes e definitivos é um desafio. Diante disso, a utilização do método CRISPR-Cas9 traz uma abordagem promissora no que diz respeito à correção do gene danificado causador da enfermidade e uma esperança de tratamento eficaz. **Objetivo:** Este estudo tem como meta fazer uma análise da literatura e abordar a utilização da técnica CRISPR-Cas9 na edição do gene das células-tronco de pacientes com anemia falciforme, explorando seu potencial terapêutico no tratamento da doença e perspectivas futuras para a implementação do tratamento. **Materiais e Métodos:** Foi realizada uma revisão de literatura em bases de pesquisa acadêmica reconhecidas, incluindo Google Acadêmico e PubMed. Foram considerados trabalhos entre os anos de 2019 a 2023. **Resultados:** Cinco estudos foram utilizados para compor a revisão de literatura, demonstrando a eficácia do método tanto in vitro quanto in vivo. No entanto, existem alguns entraves a serem considerados em ambientes in vivo, como os efeitos adversos da edição genômica que incluem evitar toxicidade e mutações fora do alvo. Apesar desses desafios, a técnica seria capaz de reparar as mutações genéticas e estimular a produção de hemoglobina fetal. **Conclusão:** Os pacientes acometidos da doença em questão enfrentam diversas dificuldades associadas com os sintomas causados pela anemia falciforme, portanto, o acesso a medicamentos e o próprio tratamento em si trazem perspectivas paliativas e não curativas, sendo assim, a terapia gênica com CRISPR-Cas9 promete ser um tratamento curativo, podendo assim devolver a qualidade de vida dos pacientes de forma duradora e substituir o uso de medicamentos e transfusões sanguíneas.

**Palavras-chave:** Anemia falciforme, Hemoglobinopatias, Proteína 9 associada à crispr, Terapia genética, Edição de genes.