



XXXIII SIC SALÃO INICIAÇÃO CIENTÍFICA

Evento	Salão UFRGS 2021: SIC - XXXIII SALÃO DE INICIAÇÃO CIENTÍFICA DA UFRGS
Ano	2021
Local	Virtual
Título	Terapia gênica in situ em condições neurodegenerativas: uma revisão da pesquisa clínica
Autor	LUIZA DA SILVA RODRIGUES
Orientador	GUILHERME BALDO

“Terapia gênica *in situ* em condições neurodegenerativas: uma revisão da pesquisa clínica”

Luiza da Silva Rodrigues, Guilherme Baldo

UFRGS - Universidade Federal do Rio Grande do Sul

Justificativa: Considerando que as condições neurodegenerativas têm um enorme impacto na qualidade de vida dos pacientes e de suas famílias, e que os tratamentos disponíveis atualmente não são capazes de impedir a progressão da doença, a busca por novas estratégias terapêuticas se faz necessária. Estudos utilizando terapia gênica *in situ* para essas condições chegaram à fase clínica nos últimos anos e vêm aumentando consideravelmente. Dessa forma, uma revisão dos produtos de terapia gênica utilizados em ensaios clínicos até o momento reúne informações relevantes para a literatura da área e pode contribuir para o desenvolvimento de novas terapias. Objetivos: O trabalho de revisão teve como objetivo apresentar os avanços clínicos na área da terapia gênica *in situ* para o sistema nervoso central, com foco em doenças neurodegenerativas e doenças lisossomais. Também foram destacadas as principais características dos vetores virais e das rotas de administração utilizadas. Metodologia: Os ensaios clínicos foram buscados na plataforma ClinicalTrials.gov em novembro de 2020 a partir dos termos em inglês: “terapia gênica”, “doenças neurológicas”, “doenças neurodegenerativas” e “doenças de depósito lisossômico”. Foram selecionados estudos completos, ativos e em recrutamento que utilizaram a estratégia de terapia gênica *in situ*. Resultados: Os estudos concluídos até o momento tiveram sucesso em demonstrar um bom perfil de segurança, no entanto, a maioria dos resultados são de ensaios abertos e os dados de eficácia são considerados preliminares.