



## XXXV SALÃO de INICIAÇÃO CIENTÍFICA

6 a 10 de novembro

<b>Evento</b>	Salão UFRGS 2023: SIC - XXXV SALÃO DE INICIAÇÃO CIENTÍFICA DA UFRGS
<b>Ano</b>	2023
<b>Local</b>	Campus Centro - UFRGS
<b>Título</b>	Desenvolvimento e caracterização físico-química de lipossomas termossensíveis para vetorizar o sistema CRISPR para fins de edição gênica
<b>Autor</b>	MATHEUS HENRIQUE AVILA
<b>Orientador</b>	ROSELENA SILVESTRI SCHUH

A mucopolissacaridose tipo I (MPS I) é uma doença lisossômica causada pela deficiência da enzima alfa-L-iduronidase, que provoca o acúmulo dos substratos sulfato de dermatano e sulfato de heparano em diversos tecidos. Os tratamentos existentes para combater os sintomas da doença demonstram grandes restrições, o que leva à busca e desenvolvimento de novas terapias mais efetivas, como a terapia gênica, onde há reparação do gene mutado com ênfase no reparo da deficiência. A fim de contornar a dificuldade da entrega intracelular dos ácidos nucleicos para terapia gênica, pode-se lançar mão do uso de lipossomas como vetores não-virais. Desse modo, objetivou-se a caracterização físico-química, desenvolvimento e investigação da estabilidade de complexos lipossomais com os ácidos nucleicos com vistas a sua utilização como vetores não-virais para edição gênica por via nasal. Os complexos lipossomais compostos por DOPE, DOTAP, DSPE-PEG e POLOXAMER407 foram feitos pela técnica de formação de filme, seguida pela técnica de homogeneização a alta pressão e comparados com os lipossomas anteriormente produzidos compostos por DOPE, DOTAP e DSPE-PEG. A avaliação da complexação entre vetores e nanoestruturas ocorreu através de ensaio de retenção em gel de agarose por eletroforese, mostrando complexação estável e efetiva do DNA. O diâmetro médio das formulações variou entre 88,2 nm e 208,4 nm. O índice de polidispersão foi de 0,19 para as formulações, demonstrando população monodispersa de vesículas. O potencial zeta das formulações foi de + 12,3 mV e + 22,5 mv, respectivamente. Os resultados mostram que os lipossomas são carreadores de DNA estáveis, e que essas formulações complexadas ao DNA demonstraram possuir tamanho adequado e potencial zeta positivo, além de serem aderidas à mucosa nasal suína sem causar danos à mesma. A partir desse estudo foi possível verificar que os lipossomas são alternativas efetivas para a terapia gênica da MPS I.