



17º CONGRESSO BRASILEIRO DE
ALERGIA E
IMUNOLOGIA
PEDIÁTRICA
26 a 28 DE MARÇO DE 2019 São Paulo - SP

26 a 28
DE MARÇO

Centro de Convenções Frei Caneca
R. Frei Caneca, 569 - Consolação, São Paulo



Trabalhos Científicos

Título: O Papel Da Terapia Genética Com Células-Tronco Hematopoiéticas No Tratamento De Imunodeficiências Pediátricas

Autores: LUIZA GABRIELA ZANUZZO (UNOCHAPECÓ), JÚLIO CESAR DETONI NADALETI (UNOCHAPECÓ), FERNANDA SALETE GUELLA (UNOCHAPECÓ), VANESSA EVELIN TARDETTI PACAZZA (UNOCHAPECÓ), NICOLE VAZ LOPES RODRIGUES (UNOCHAPECÓ)

Resumo: A terapia genética com células-tronco hematopoiéticas (HSPCs) é uma abordagem inovadora para tratar doenças pediátricas graves que afetam o sistema hematológico e imunológico. Corrigindo mutações genéticas específicas, essa terapia possibilita a restauração das funções imunológicas, oferecendo novas esperanças para condições anteriormente difíceis de tratar. "Revisar o papel da HSPCs no manejo de imunodeficiências pediátricas." Realizou-se uma pesquisa de artigos para revisão bibliográfica na base de dados do Pubmed, utilizando como descritores "Immunodeficiency Syndrome", "Therapy" e "Stem Cells", resultando em publicações científicas que foram criteriosamente analisadas para responder à pergunta pico que delineou o objetivo. "A terapia genética baseada em células-tronco hematopoiéticas (HSPCs, do inglês Haematopoietic Stem and Progenitor Cells) tem demonstrado um papel crucial no tratamento de imunodeficiências primárias (PIDs), condições genéticas que comprometem a função imunológica. Essa abordagem consiste na modificação genética ex vivo de células autólogas para corrigir mutações causadoras da doença, seguida de reintrodução no paciente, promovendo a reconstituição do sistema imunológico. Entre as imunodeficiências tratadas com sucesso, destacam-se a imunodeficiência combinada grave ligada ao X (SCID-X1), a deficiência de adenosina deaminase (ADA-SCID), a síndrome de Wiskott-Aldrich e a doença granulomatosa crônica. Em casos como SCID-X1, a terapia corrige a ausência de células T e natural killer, enquanto em ADA-SCID permite a eliminação de metabólitos tóxicos que comprometem o desenvolvimento imunológico. Avanços como o uso de vetores lentivirais auto inativantes e a edição genética por CRISPR-Cas9 aumentaram significativamente a segurança e a eficácia da terapia, reduzindo riscos como a mutagênese insercional. Regimes de condicionamento de baixa intensidade também foram implementados para facilitar o enxerto das células corrigidas, minimizando a toxicidade. Apesar de desafios como custos elevados e a necessidade de regimes de condicionamento mais agressivos em algumas doenças, a terapia genética com HSPCs tem transformado o tratamento de PIDs, proporcionando uma alternativa segura e eficaz ao transplante alogênico. Com avanços contínuos, essa abordagem se consolida como uma ferramenta essencial no tratamento de imunodeficiências pediátricas." A terapia genética com HSPCs tem revolucionado o tratamento de imunodeficiências pediátricas, corrigindo mutações e restaurando o sistema imunológico. Avanços técnicos aumentaram sua eficácia e segurança, tornando-a uma alternativa viável ao transplante alogênico, apesar dos desafios como custos elevados e regimes de condicionamento específicos.