



17º CONGRESSO BRASILEIRO DE
ALERGIA E
IMUNOLOGIA
PEDIÁTRICA
26 a 28 DE MARÇO DE 2022 São Paulo - SP

26 a 28
DE MARÇO

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



Trabalhos Científicos

Título: Impactos Da Utilização Da Terapia Genética Na Imunodeficiência Combinada Grave Com Deficiência De Adenosina Desaminase (Ada-Scid): Uma Revisão Sistemática.

Autores: BIANCA DE ALMEIDA MAIA SOUZA (ESCOLA BAHIANA DE MEDICINA E SAÚDE PÚBLICA), HELOÍSA PEREIRA GALVAO DE CARVALHO (ESCOLA BAHIANA DE MEDICINA E SAÚDE PÚBLICA), ILA SOBRAL MUNIZ (ESCOLA BAHIANA DE MEDICINA E SAÚDE PÚBLICA)

Resumo: A deficiência de adenosina desaminase (ADA) é uma imunodeficiência combinada grave (SCID) associada a linfocitopenia e infecções de repetição. Por ser hereditária, a terapia gênica (TG) é uma opção promissora de tratamento. Ela se baseia na manipulação genética de células-tronco de medula óssea, em lugar das células T empregadas anteriormente. "Avaliar os efeitos da TG na ADA-SCID, na população pediátrica." Revisão Sistemática da Literatura, com base no protocolo PRISMA e com busca avançada nas bases PUBMED/MEDLINE, COCHRANE, WEB OF SCIENCE, EMBASE e SCOPUS, com descritores em DECS e MESH. Incluíram-se ensaios clínicos (EC) abertos, simples-cego, duplos-cego, multicêntricos, estudos piloto e de diversas fases publicados nos últimos 5 anos, em inglês, acerca da TG no tratamento da ADA-SCID. Excluíram-se artigos duplicados e sem texto completo. Seleção e extração de dados realizados por dois revisores independentes, com o uso da plataforma Rayyan. O risco de viés dos EC foi avaliado pela ferramenta ROBINS-I. "Encontramos 5 artigos no Pubmed, 7 Web of Science, 36 Scopus, 0 Cochrane e Embase. De 48 artigos, 5 duplicatas. De 43, 40 foram tirados pelos critérios de exclusão (revisão, coorte e relatório) e 3 incluídos. Kohn et al, 2021, utilizou, em 30 pacientes nos Estados Unidos (EUA) e 20 no Reino Unido (UK), a TG de células-tronco hematopoiéticas e progenitoras CD34+ autólogas (HSPCs) transduzidas ex vivo com um vetor lentiviral por 24 meses nos EUA e 36 meses no UK. Os autores notaram uma sobrevida global livre de eventos adversos (EA) com reconstituição imunológica funcional² em 90% dos americanos e 100%, britânicos. White et al, 2022, avaliaram 10 pacientes (7 a 10 anos) pós transplante autólogo de células-tronco (TACT) com TG nos EUA e observaram que em 120 meses, os pacientes submetidos a TG não apresentaram novas mutações somáticas. Reinhardt et al, 2021, avaliaram 10 crianças (3 meses a 15 anos) que usaram a TG retrovírus específico (MND-ADA gRV) por 8 a 11 anos nos EUA e concluíram que a TG elevou a produção de linfócitos apesar do risco leve de leucemia e EA leves. Pela análise do ROBINS-I, os 3 artigos tiveram risco de viés classificado como moderado. "O transplante autólogo de células-tronco com TG (ASCT-GT) mostrou reduzido risco de complicações associadas à imunossupressão pós-HCT e propiciou recuperação mais rápida em comparação aos outros transplantes. A TG forneceu aos pacientes células-tronco hematopoiéticas com gene ADA funcional para geração de novas células e restauração da função imunológica. Apesar da constatação de risco de malignidade e redução telomérica após uso de bussulfano e vetores lentivirais autoativadores por White et al 2022, constatamos que ASCT-GT é muito segura e minimiza a integração oncogênica no genoma.