

# **A CONTRIBUIÇÃO DA TERAPIA GÊNICA PARA O SISTEMA NERVOSO CENTRAL DE PORTADORES DE ANEMIA FALCIFORME (APOIO SANTANDER)**

**Aluna:** Cristiane Aparecida Gonçalves Modolo

**Orientador:** Prof. Dr. Flávio Buratti Gonçalves

**Curso:** Biomedicina

**Polo:** São José do Rio Pardo

A anemia falciforme é uma doença recessiva e autossômica causada por defeito genético na sexta posição do cromossomo 11, que atinge aproximadamente 100.000 brasileiros. Devido à baixa oxigenação e à alta oxidação sanguínea, os sintomas são multifacetados, desde dor crônica, envolvendo redes cerebrais padrão, sensorial, saliência, executiva, autônoma e emocional, até infarto silencioso, com complicações importantes na substância branca, e AVC, com sequelas irreversíveis, que implicam na qualidade de vida e levam à morte. Os objetivos deste estudo são identificar comprometimentos neurológicos e neurocognitivos da doença e verificar como a terapia gênica pode contribuir para a saúde do sistema nervoso central em comparação com tratamentos já em curso. Foram analisados 25 artigos distribuídos em quatro etapas: tratamentos com transfusões sanguíneas, administração de hidroxureia, transplantes alogênicos de células-tronco hematopoiéticas e tratamentos de terapia gênica. Identificou-se, portanto, que transfusões de sangue causam dependência, quelação de ferro e anemia sideroblástica, comprometendo os gânglios da base; a hidroxureia, apesar de controlar sintomas, possui graves complicações como a leucemia mieloide aguda, que atinge a medula e dissemina para todo o sistema nervoso central; o transplante alogênico é bem aceito como tratamento curativo, mas falta doador compatível, e eventos adversos como a doença do enxerto contra hospedeiro e a toxicidade por quimioterápicos deixam sequelas graves no encéfalo; por fim, a terapia gênica sugere uma diminuição das agressões ao sistema nervoso central, por ser uma terapia autóloga e totalmente compatível, dispensando a imunossupressão pós-transplante,

contudo, ainda é cedo para conclusões, sendo necessário aguardar testes de segurança e persistência no tempo.