

A INTERAÇÃO ENTRE TECNOLOGIAS AVANÇADAS E O BIOMÉDICO NO TRATAMENTO DE DOENÇAS GENÉTICAS: UMA REVISÃO BIBLIOGRÁFICA

THE INTERACTION BETWEEN ADVANCED TECHNOLOGIES AND THE BIOMEDICAL IN THE TREATMENT OF GENETIC DISEASES: A BIBLIOGRAPHIC REVIEW

CAES, Rafaela Fernanda Oliveira¹; BRIGIDO, Franciele Nazário¹; NUNES, Ana Beatriz Silva¹; AZEVEDO, Tayná Humeniuk¹; GATTI, Luciano Lobo¹; SILVA, Douglas Fernandes¹.

¹Departamento de Biomedicina – Centro Universitário das Faculdades Integradas de Ourinhos – Unifio/FEMM Ourinhos, SP, Brasil

RESUMO

A manipulação genética é uma promissora abordagem no tratamento de doenças causadas por falhas genéticas. A terapia gênica tem experimentado avanços notáveis, permitindo a substituição ou manipulação de genes disfuncionais; técnicas de edição do genoma, como CRISPR-Cas9 e CRISPR-Cas12a, têm sido desenvolvidas e representam abordagens duradouras no tratamento de doenças genéticas. O papel do biomédico, com sua formação interdisciplinar em biologia molecular e genética é essencial nesse contexto. O avanço das tecnologias moleculares e de biotecnologia promovem novas perspectivas no diagnóstico, tratamento e prevenção de doenças, revolucionando a medicina e melhorando a saúde da população. OBJETIVO: Este estudo tem como objetivo listar novas tecnologias genéticas no contexto do tratamento de doenças, com o intuito de fornecer dados pertinentes para pesquisas futuras na área da manipulação genética. Adicionalmente, busca-se destacar o papel do biomédico no atual panorama tecnológico e científico. METODOLOGIA: Foram utilizados levantamentos bibliográficos literários selecionados através de plataformas específicas para análise de dados de artigos, mediante critérios específicos; ao final foram selecionados 9 artigos. CONCLUSÕES: A literatura pesquisada evidenciou que as inovações tecnológicas na terapia genética apresentam perspectivas revolucionárias para a medicina, ao oferecerem promissoras possibilidades de tratamento para doenças de origem genética e adquiridas. Nesse contexto, o biomédico desempenha um papel central, atuando na condução de pesquisas, na implementação de terapias e no fornecimento de orientação, com o objetivo de assegurar a segurança e eficácia dessas abordagens terapêuticas.

Palavras-chave: Manipulação Genética; Terapia Gênica; Biomédico; Edição Genômica.

ABSTRACT

Genetic manipulation is a promising approach for the treatment of diseases caused by genetic failures. Gene therapy has experienced remarkable advances, allowing the replacement or manipulation of dysfunctional genes; genome-editing techniques such as CRISPR-Cas9 and CRISPR-Cas12a have been developed and represent enduring approaches in the treatment of genetic diseases. The role of the biomedic, with its interdisciplinary training in molecular biology and genetics, is essential in this context. The advancement of molecular technologies and biotechnology promote new perspectives in the diagnosis, treatment and prevention of diseases, revolutionizing medicine and improving the population's health. OBJECTIVE: This study aims to list new genetic technologies in the context of disease treatment, to provide relevant data for future research in the field of genetic manipulation. Additionally, we seek to highlight the role of the biomedic in the current technological and scientific panorama. METHODOLOGY: Literary bibliographic surveys selected through specific platforms for data analysis of articles were used, according to specific criteria; at the end, 9 articles were selected. CONCLUSIONS: The researched literature showed that technological innovations in gene therapy present revolutionary perspectives for medicine, as they offer promising treatment possibilities for genetic and acquired diseases. In this context, biomedical professionals play a central role, conducting research, implementing therapies and providing guidance, with the aim of ensuring the safety and efficacy of these therapeutic approaches.

Keywords: Genetic Manipulation; Gene Therapy; Biomedic; Genomic Editing.

INTRODUÇÃO

Desde tempos remotos, os humanos possuem a percepção empírica de que as características dos pais podem ser transmitidas aos filhos. Na Grécia Antiga, estudiosos já especulavam acerca do que hoje se conhece como herança genética. Entretanto, apenas em meados do século XIX, especificamente em 1850, com o trabalho pioneiro do monge austríaco Gregor Mendel, iniciaram-se estudos sistemáticos nessa área (Hartl, 2022). Mendel liderou uma série de experimentos com ervilhas, e dela concluiu que os traços hereditários são transmitidos do progenitor a seus descendentes através de unidades individuais, que hoje chamamos de genes (BORGES-OSÓRIO; WANYCE MIRIAM ROBINSON, 2013).

A investigação sobre a natureza dos genes foi aprimorada a partir de 1950, graças aos estudos do bioquímico americano James Watson e do biofísico britânico Francis Crick (DANYLOVA; KOMISARENKO, 2020), cujo modelo da estrutura helicoidal dupla do DNA sugeriu que ele poderia ser transmitido para um *blueprint* (ou código genético), e como esse *blueprint* estaria apto a ser transmitido às gerações seguintes. Essa descoberta foi considerada um marco da ciência moderna – uma revolução científica -, dando origem ao campo da biologia molecular (GRIFFITHS *et al.*, 2022).

O entendimento do código genético permitiu a compreensão da existência de mutações responsáveis por diversas doenças de origem hereditária ou adquirida. Por conseguinte, pelo avanço das tecnologias da formação de DNA recombinante (ou engenharia genética), a humanidade passou a ter a capacidade de manipular o próprio genoma de forma eficaz e segura, isolando genes desejáveis, com o objetivo de prevenir e/ou curar essas enfermidades causadas por um alelo mutado (Griffiths *et al.*, 2022).

O campo da terapia gênica tem experimentado avanços notáveis ao longo das últimas décadas no tocante ao manejo de patologias genéticas previamente inabordáveis (CRING; SHEFFIELD, 2022). As abordagens terapêuticas, segundo os mesmos autores, buscam atenuar as manifestações clínicas de distúrbios de caráter recessivo e dominante, além de diferentes tipos de neoplasias e outras enfermidades.

Nesse cenário, a terapia gênica surge como uma promessa no tratamento de enfermidades causadas por falhas gênicas, através da edição ou inserção de material genético exógeno, onde pode-se substituir ou manipular os genes inativos ou disfuncionais (SAYED *et al.*, 2022). A utilização de técnicas de edição do genoma representa uma abordagem mais duradoura no tratamento de doenças genéticas, incluindo endonucleases guiadas, como a técnica “*Nucleases com Efetores Tipo Ativador*

de Transcrição, *Transcription Activator-Like Effector Nucleases*” (TALENs) (Behboudi et al., 2022), “Zinc Finger Nucleases” (ZFNs) (Paschon et al., 2019) ou, as mais recentes, “*Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Regions*” que pode ser associada a enzima Cas9 (CRISPR-associated protein 9), conhecida como CRISPR-Cas9 (Zhang et al., 2020) ou Cpf1 (*Crispr-Associated Endonuclease from Prevotella and Francisella 1*), a *CRISPR-Cas12a* (CRISPR-Cpf1) (LI et al., 2019). Para tanto, a manipulação genética é um processo de grande complexidade que requer um alto nível de desenvolvimento das técnicas utilizadas, desta forma é necessário o domínio da acessibilidade e manipulação das células alvo, tal como a compreensão plena das ligações genéticas das doenças a serem tratadas.

Os autores Cring e Sheffield (2022) apresentam o avanço rápido e contínuo das tecnologias moleculares e de biotecnologia, todas podendo ser utilizadas para tratamento de doenças genéticas. Nesse contexto, o campo biomédico está avançando rapidamente, promovendo novas perspectivas, especialmente no que diz respeito ao diagnóstico, tratamento e prevenção de doenças.

De acordo com o Conselho Federal de Biomedicina (CFBM), os biomédicos são capacitados em biologia molecular e genética, sendo aptos a realizar exames de citogenética humana e genética humana molecular, além de coletar materiais, analisar, interpretar e emitir laudos e pareceres técnicos. Eles também desempenham o papel de consultores e aconselheiros genéticos (CONSELHO FEDERAL DE BIOMEDICINA, 2002).

O presente trabalho buscou fornecer uma visão abrangente sobre o papel do biomédico na integração das novas tecnologias de edição genômica no tratamento de doenças, destacando sua importância no avanço da medicina e na melhoria da saúde da população. Desta forma, o objetivo deste trabalho foi levantar estudos e pesquisas através de dados da literatura mais recentes e relevantes sobre as novas tecnologias genéticas, seus diferentes protocolos e aplicações, a fim de fornecer informações para futuros estudos na manipulação genética e saúde.

METODOLOGIA

Este estudo foi conduzido mediante uma revisão da literatura, na qual os estudos foram cuidadosamente selecionados após uma extensa pesquisa realizada nas seguintes bases de dados eletrônicas: PubMed (*National Library of Medicine*); Lilacs (literatura

latino-americana e do Caribe em Ciências da Saúde); Scielo (*Scientific Electronic Library Online*); e Google Acadêmico.

A pesquisa nos bancos de dados foi realizada entre maio e junho de 2023 e com o tema central: “novas tecnologias genéticas aplicadas na saúde”. Os termos-chave utilizados para a busca incluíram: “tecnologias genéticas avançadas”, “edição genética”, “*CRISPR*”, “*CRISPR-Cas*”, “*CRISPR-Cas9*”, “terapia gênica”, “medicina personalizada”, “medicina de precisão”, “biomédico” e “saúde”. Essas palavras-chave foram combinadas com termos relevantes, como aplicação clínica, diagnóstico molecular, tratamento de doenças genéticas, genômica, proteômica e bioinformática, a fim de obter uma compreensão abrangente das novas tecnologias genéticas aplicadas na área da saúde e sua relação com o campo biomédico. Os artigos tiveram como base descritores criados pela Biblioteca Virtual em Saúde desenvolvido (<http://decs.bvs.br/homepage.htm>) a partir do MeSH - *Medical Subject Headings da U.S. National Library of Medicine* (NLM), que permite a terminologia em comum em português, inglês e espanhol.

Os preceitos de inserção dos artigos escolhidos para o desenvolvimento da pesquisa foram: Artigos publicados em revistas ordenadas nos elementos citados anteriormente, artigos publicados no dialeto inglês, português e espanhol, e artigos publicados no período de 2019 a 2023. Foram rejeitados artigos que não eram relevantes aos descritores do tema predeterminado e que não abordassem genética na saúde, novas tecnologias na genética.

DESENVOLVIMENTO

As novas tecnologias de tratamento de doenças genéticas têm trazido esperança para milhões de pacientes e familiares afetados por essas condições. As abordagens terapêuticas têm se tornado cada vez mais precisas e eficazes, incluindo desde terapia gênica até edição genômica e terapias baseadas em células. Dentre os estudos analisados, foram selecionados 9 para mostrar a relação entre essas novas tecnologias de tratamento, diagnóstico e tratamento de doenças genéticas. O Quadro 1 mostra as conclusões de todos os trabalhos analisados.

Quadro 1 - Dados relacionados aos estudos dos artigos selecionados.

Artigos (autor e título)	Objetivo do trabalho	Intervenção (resultado e discussão)	Conclusão
<p data-bbox="209 636 408 703">Cring & Sheffield, 2022</p> <p data-bbox="209 763 408 992">Gene therapy and gene correction: targets, progress, and challenges for treating human diseases</p>	<p data-bbox="430 412 695 640">Apresentou detalhes sobre a terapia gênica, trazendo a sua evolução e os desafios encontrados ao tratar doenças genéticas.</p>	<p data-bbox="718 412 1131 1223">Os autores buscaram doenças genéticas dominantes como resultado de haploinsuficiência, mutações de ganho de função dominante ou mutações dominantes negativas. Doenças causadas por ganho de função dominante ou mutações dominantes negativas requerem knockdown da proteína mutante. Um método comum de knockdown é a interferência de RNA (RNAi), muitas vezes usando pequenas moléculas de RNA interferentes (siRNA). Existem vários genes As terapias que estão sendo buscadas para essas doenças, incluindo perda auditiva não sindrômica autossômica dominante causada por mutações em Tmc1, esclerose lateral amiotrófica e distrofia muscular dominante tipo 1A.</p>	<p data-bbox="1153 412 1527 1223">Os autores concluíram que é necessário novas buscas científicas, em especial no que diz respeito ao desenvolvimento de vetores e métodos de entrega seguros e eficazes, antes que a terapia genética e a correção genética possam se tornar a primeira linha escolhas de terapias para pacientes com doenças genéticas. No entanto, acreditamos que esses tipos de terapias se tornou um grampo em tratamentos personalizados no relativamente futuro próximo e terá tremendos efeitos positivos sobre o vida de pacientes com doenças genéticas e suas famílias.</p>
<p data-bbox="209 1464 408 1491">Zhang <i>et al.</i>, 2020</p> <p data-bbox="209 1552 408 1780">Strategies in the delivery of Cas9 ribonucleoprotein for CRISPR/Cas9 genome editing</p>	<p data-bbox="430 1240 695 1514">Forneceu uma revisão abrangente sobre o design racional de materiais e técnicas para entrega de Cas9 RNP e edição de genoma.</p>	<p data-bbox="718 1240 1131 2007">Os autores realizaram buscas a respeito da proteína Cas9, é uma proteína altamente catiônica e de tamanho grande que é recalcitrante para ser complexada pelos transportadores via interação eletrostática. A pré-montagem de RNP carregado negativamente com sgRNA ou modificação adicional de Cas9 com GFP carregado negativamente ou tags de glutamato permite que Cas9 forme nanopartículas mais estáveis com materiais catiônicos. Em virtude de interações eletrostáticas, interações hidrofóbicas, ligações de hidrogênio, encapsulamento físico e ligação coordenada, Cas9 RNP pode formar partículas com uma variedade de transportadores sintéticos.</p>	<p data-bbox="1153 1240 1527 1921">Os autores concluíram que devido ao desenvolvimento explosivo do sistema de edição do genoma baseado em RNP e ao requisito clínico da terapia genética, os esforços futuros podem se concentrar no design racional de vetores de entrega para dotar os sistemas de entrega de RNP com capacidade de resposta a estímulos e maior eficiência na premissa de segurança. Acreditamos que o rápido desenvolvimento do sistema CRISPR/Cas9 trará oportunidades sem precedentes para o tratamento de doenças.</p>

<p>Paschon <i>et al.</i>, 2019</p> <p>Diversifying the structure of zinc finger nucleases for high-precision genome editing</p>	<p>A edição do genoma para aplicações terapêuticas que geralmente requer clivagem dentro de uma estreita janela de sequência. E para permitir o direcionamento de alta precisão com nucleases de dedo de zinco (ZFNs), desenvolveram um conjunto expandido de arquiteturas que aumentam coletivamente opções de configuração disponíveis para projeto por um fator chamado 64</p>	<p>Os autores buscaram as novas arquiteturas pesquisadas apresentam a ligação funcional do domínio de clivagem FokI ao terminal amino de um ou ambas as proteínas dedo de zinco (ZFPs) no dímero ZFN, bem como a opção de pular bases entre os trigêmeos alvo de dedos adjacentes em cada matriz de dedos de zinco. E usando as novas arquiteturas, demonstramos o direcionamento de um locus genômico de 28 pb escolhido arbitrariamente em uma densidade que se aproxima de 1,0 (ou seja, ZFNs eficientes disponíveis para direcionar quase todos os passos básicos).</p>	<p>Os autores concluíram que essas novas arquiteturas podem ser usadas para atingir locais de significado terapêutico com alto grau de precisão, eficiência e especificidade.</p>
<p>Sayed <i>et al.</i>, 2022</p> <p>Gene therapy: Comprehensive overview and therapeutic applications</p>	<p>Identificam um grupo de citocinas circulantes que se correlacionam com o declínio da saúde no envelhecimento, particularmente a quimiocina CXCL9.</p>	<p>Sayed <i>et al.</i> trazem como as perspectivas sobre o envelhecimento bem-sucedido são diversas e complexas. E como pretendemos alcançar a longevidade de alta qualidade, com biomarcadores validados e outras métricas para avaliar o envelhecimento saudável que se tornam ferramentas extremamente valiosas</p>	<p>Os autores concluíram que as descobertas oferecem uma nova compreensão de como o bem-estar e a resiliência biológica são independentes da idade cronológica.</p>
<p>Hartl, 2022</p> <p>Gregor Johann Mendel: From peasant to priest, pedagogue, and prelate</p>	<p>Trouxe o objetivo de informar, detalhadamente, sobre a vida e feitos de Gregor Johann Mendel</p>	<p>Daniel L. Hartl, traz dados sobre a vida escolar e acadêmica de Gregor Johann Mendel, assim como seus anos de declínio.</p>	<p>O autor concluiu que o trabalho de Mendel se tornou amplamente conhecido e começou a ser apreciado, Ittis resolveu reunir informações para registrar sua vida e honrar sua memória.</p>
<p>Li <i>et al.</i>, 2019</p> <p>CRISPR-Cpf1-mediated genome editing and gene regulation in human cells</p>	<p>Uma revisão abrangente das características do sistema CRISPR-Cpf1 e suas aplicações na edição e regulação de genes. Além disso, suas aplicações em</p>	<p>Li <i>et al.</i> buscaram a proteína dCpf1 cataliticamente inativa combinada com crRNA modificado tem ofereceu uma plataforma modular e flexível para o controle multidimensional do genoma humano. No entanto, a rede de regulação transcricional em células humanas é complexa. A maioria dos</p>	<p>Conclusivamente, os sistemas CRISPR-Cpf1 projetados serão adições importantes ao kit de ferramentas de engenharia do genoma para expandir os recursos de direcionamento, aumentando a eficiência no alvo e a especificidade.</p>

	terapia gênica clínica foram prospectadas.	genes expressões são controladas por fatores de transcrição ativadores e repressores, mesmo epigenéticos modificadores. Coletivamente, a regulação gênica multiplex de Cpf1 será capaz de regular com precisão a rede gênica em células humanas	
Hoang <i>et al.</i> , 2022 Stem cell-based therapy for human diseases	Este artigo forneceu uma atualização sobre aplicações clínicas recentes usando <i>Human pluripotent stem cells</i> (hPSCs) ou <i>Mesenchymal Stem Cells</i> (MSCs) derivados da medula óssea (BM), tecido adiposo (AT) ou cordão umbilical (UC) para o tratamento de humanos, incluindo distúrbios neurológicos, disfunções pulmonares, doenças metabólicas/endócrinas, distúrbios reprodutivos, queimaduras na pele e condições cardiovasculares.	Os autores trouxeram uma discussão sobre experiências de ensaio clínico, em terapias direcionadas usando MSCs em um ambiente clínico, e propomos e discutimos o conceito de origem tecidual das MSC e como a origem das MSC pode contribuir para o papel da MSCs em aplicações <i>downstream</i> , com o objetivo final de facilitar a pesquisa translacional em medicina regenerativa em aplicações clínicas.	Os autores concluíram que os mecanismos discutidos aqui suportam a hipótese proposta de que BM-MSCs são potencialmente bons candidatos para tratamento de lesões cerebrais e da medula espinhal, AT-MSCs são potencialmente bons candidatos para tratamento de distúrbios reprodutivos e regeneração da pele, e UC-MSCs são potencialmente bons candidatos para doença pulmonar e dificuldade respiratória aguda como tratamento da síndrome.
Behboudi <i>et al.</i> , 2022 Transcription activator-like effector nuclease (TALEN) as a promising diagnostic approach for COVID-19	O exposto trouxe como objetivo apontar tecnologias recentes da engenharia genética usadas no diagnóstico promissor do Covid-19	Os autores pesquisaram sobre abordagens diagnósticas oportunas e precisas são etapas cruciais no controle de doenças infecciosas. o curso A pandemia da doença de coronavírus 2019 (COVID-19) provou a importância de desenvolver novos testes eficazes e fazer disponíveis para análise e diagnóstico rápidos.	Foi concluído pelos autores que embora o PCR em tempo real (RT-PCR) seja crítico para a atual gestão da COVID-19, o desenvolvimento de novos métodos inovadores serão úteis e bem-vindos. De fato, com as ameaças globais de fusão e ressurgimento de vírus, o desenvolvimento de novas abordagens como CRISPR ou TALEN será útil para diagnósticos rápidos, específicos e no local trabalho de tique.

Danylova & Komisarenko, 2020	Trouxe como abordagem o DNA e suas descobertas, com uma listagem de nomes importantes no assunto e suas pesquisas.	Danylova & Komisarenko buscaram a respeito da história do DNA, ela mostra que todas as grandes descobertas científicas as capas não são feitas do zero. O imenso número de pessoas que contribuíram para o desenvolvimento de ciência e literalmente todo pesquisador está sobre os ombros de gigantes, enquanto a própria ideia está no ar. O descoberta da estrutura do DNA tornou-se uma pedra angular para o novo paradigma científico – a biologia adquiriu um base molecular e bioquímica.	Foi concluído pelos autores que esta descoberta fundamental mudou e deu à nossa vida muitas novidades aspectos. Começou uma tempestade desenvolvimento da genética e da biologia molecular, que continua até hoje, e a dupla hélice do DNA tornou-se um símbolo da ciência da vida.
------------------------------	--	--	---

É possível constatar que todos os artigos inclusos nesta pesquisa abordam as promessas terapêuticas advindas do desenvolvimento das técnicas celulares e de edição genômica no âmbito da saúde, trazendo benefícios a diversas áreas, que vão desde a oncologia, hematologia, hepatologia, dermatologia, oftalmologia e neurologia, até o transplante de órgãos. Sobretudo, destaca-se o impacto positivo no tratamento de doenças de origem genética que anteriormente careciam de protocolos eficazes.

As técnicas de terapia genética têm passado por um desenvolvimento acelerado desde a utilização do primeiro protocolo autorizado na década de 90. Nos trabalhos de Zhang et al., 2020, foram empregados vetores retrovirais expressantes de adenosina desaminase (ADA) em pacientes que apresentavam um quadro severo de imunodepressão induzida pela deficiência dessa molécula. Observou-se um resultado promissor em um dos pacientes, com a persistência da atividade da ADA após os tratamentos (Cring & Sheffield, 2022).

Atualmente, nos Estados Unidos, estão em andamento cerca de 896 ensaios clínicos de terapia genética, sendo um dos principais países com focos de desenvolvimento de estudos nessa área. No entanto, apenas quatro desses ensaios receberam a aprovação dos órgãos reguladores (Cring & Sheffield, 2022). A abordagem da terapia genética é ampla e engloba a possibilidade de tratamento de diversas doenças, incluindo condições causadas por desordens genéticas recessivas, como fibrose cística, hemofilia, distrofia muscular e anemia falciforme, além de câncer, doenças genéticas adquiridas e condições independentes de mutação genética, como infecções virais, como

o vírus HIV, e doenças cardiovasculares sem ligação genética, como a insuficiência cardíaca causada por estresse oxidativo de espécies reativas de oxigênio (Gonçalves & Paiva, 2017).

A terapia genética emergiu como uma área promissora da medicina, com o potencial de curar doenças genéticas e adquiridas, ao corrigir ou substituir genes defeituosos. Nesse ponto, avanços tecnológicos significativos têm sido alcançados nas últimas décadas, permitindo abordagens terapêuticas mais precisas e eficientes. Desta, temos a edição de genes usando CRISPR (Li et al., 2019) que segundo a literatura, a principal é a tecnologia CRISPR-Cas9 (Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats), que permite "recortar" genes defeituosos e substituí-los por versões corrigidas. Outra tecnologia atual é a de Vetores Virais Aprimorados (Zhang et al., 2020), que são vetores virais utilizados como veículos para entregar o material genético corrigido ao organismo do paciente; ou até mesmo a Terapia Gênica em Células-Tronco (Donald B. Kohn et al., 1995; Hoang et al., 2022), que permite a manipulação genética de células-tronco, abrindo novas possibilidades para tratamentos regenerativos e cura de doenças degenerativas.

O biomédico desempenha um papel crucial na pesquisa, desenvolvimento e aplicação clínica dessas novas tecnologias em terapia genética, pois este profissional participa de pesquisas e desenvolvimento de novas tecnologias, no aconselhamento genético, na administração de clínicas e centros de estudo e pesquisa, além de ser promotor de educação em ciência, através da divulgação para a comunidade científica, médica e público em geral (CONSELHO FEDERAL DE BIOMEDICINA, 2002, 2021)

CONSIDERAÇÕES FINAIS

As novas tecnologias em terapia genética têm o potencial de revolucionar a medicina, oferecendo esperança para o tratamento de doenças genéticas e adquiridas. Neste trabalho, tendo literatura científica como base, foi observado que terapia genética emergiu como uma área promissora da saúde e medicina, com o potencial de curar doenças genéticas e adquiridas, ao corrigir ou substituir genes defeituosos, beneficiando toda a sociedade. O biomédico desempenha um papel fundamental nesse cenário, conduzindo pesquisas, aplicando terapias e oferecendo aconselhamento para garantir que essas abordagens terapêuticas sejam seguras e eficazes. À medida que a ciência avança, a colaboração entre biomédicos e outros especialistas será essencial para traduzir essas tecnologias inovadoras em tratamentos clinicamente viáveis. Assim, pode-

se concluir que é essencial o acesso a informações científicas de qualidade, de maneira acessível e clara, para auxiliar tanto a comunidade científica quanto os profissionais da saúde.

AGRADECIMENTOS

Os autores agradecem à UNIFIO.

REFERÊNCIAS

ANTHONY J. F. GRIFFITHS; JOHN DOEBLEY; CATHERINE PEICHEL; DAVID A. WASSARMAN. (2022). *Introdução à Genética* (12^o).

BEHBOUDI, E., ZEYNALI, P., HAMIDI-SOFIANI, V., NAKSTAD, B., & TAHAMTAN, A. (2022). Transcription activator-like effector nuclease (TALEN) as a promising diagnostic approach for COVID-19. Em *Expert Review of Molecular Diagnostics*, v. 22, n. 4, p. 395–397. Taylor and Francis Ltd. <https://doi.org/10.1080/14737159.2022.2065194>

CONSELHO FEDERAL DE BIOMEDICINA. (2002). *Resolução Nº 078, DE 29 DE ABRIL DE 2002*. <https://cfbm.gov.br/resolucao-n-78-de-29-de-abril-de-2002/>

CONSELHO FEDERAL DE BIOMEDICINA. (2021). *Resolução CFBM Nº 341, DE 01 DE NOVEMBRO DE 2021* (RESOLUÇÃO CFBM Nº 341). <https://www.crbm3.gov.br/image/s/RESOLU%C3%87%C3%83O-N%C2%BA-341.pdf>

CONSELHO FEDERAL DE BIOMEDICINA - CFBM. (2002). *SERVIÇO PÚBLICO FEDERAL CONSELHO FEDERAL DE BIOMEDICINA-CFBM*.

CRING, M. R., & SHEFFIELD, V. C. (2022). Gene therapy and gene correction: targets, progress, and challenges for treating human diseases. *Gene Therapy*, v. 29, n. 1–2, p. 3–12). Springer Nature. <https://doi.org/10.1038/s41434-020-00197-8>.

Danylova, T. V., & Komisarenko, S. V. (2020). Standing on the shoulders of giants: James watson, francis crick, maurice wilkins, rosalind franklin and the birth of molecular biology. *Ukrainian Biochemical Journal*, v. 92, n. 4, p. 154–165. <https://doi.org/10.15407/ubj92.04.154>

DONALD B. KOHN, KENNETH I. WEINBERG, JAN A. NOLTA, LINDA N. HEISS, CARL LENARSKY, GAY M. CROOKS, MARY E. HANLEY, GERALYN ANNETT, JUDITH S. BROOKS, ANTHONY EL-KHOUREIY, KIM LAWRENCE, SUSIE WELLS, ROBERT C. MOEN, JOHN BASTIAN, DEBORA E. WILLIAMS-HERMAN, MELISSA ELDER, DIANE WARA, THOMAS BOWEN, MICHAEL S. HERSHFIELD, ... ROBERTSON PARKMAN. (1995). **Engraftment of gene–modified umbilical cord blood cells in neonates with adenosine deaminase deficiency.**

GONÇALVES, G. A. R., & PAIVA, R. DE M. A. (2017). Gene therapy: advances, challenges and perspectives. *Einstein (Sao Paulo, Brazil)*, v. 15, n. 3, p. 369–375). <https://doi.org/10.1590/S1679-45082017RB4024>

HARTL, D. L. (2022). Gregor Johann Mendel: From peasant to priest, pedagogue, and prelate. *Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America*, 119(30). <https://doi.org/10.1073/pnas.2121953119>

HOANG, D. M., PHAM, P. T., BACH, T. Q., NGO, A. T. L., NGUYEN, Q. T., PHAN, T. T. K., NGUYEN, G. H., LE, P. T. T., HOANG, V. T., FORSYTH, N. R., HEKE, M., & NGUYEN, L. T. (2022). Stem cell-based therapy for human diseases. *Signal Transduction and Targeted Therapy*, v. 7, n. 1). Springer Nature. <https://doi.org/10.1038/s41392-022-01134-4>

LI, T., ZHU, L., XIAO, B., GONG, Z., LIAO, Q., & GUO, J. (2019). CRISPR-Cpf1-mediated genome editing and gene regulation in human cells. *Biotechnology Advances* v. 37, n. 1, p. 21–27). Elsevier Inc. <https://doi.org/10.1016/j.biotechadv.2018.10.013>

Maria Regina Lucena Borges-Osório; Wanyce Miriam Robinson. (2013). *Genética Humana* (3^o).

PASCHON, D. E., LUSSIER, S., WANGZOR, T., XIA, D. F., LI, P. W., HINKLEY, S. J., SCARLOTT, N. A., LAM, S. C., WAITE, A. J., TRUONG, L. N., GANDHI, N., KADAM, B. N., PATIL, D. P., SHIVAK, D. A., LEE, G. K., HOLMES, M. C., ZHANG, L., MILLER, J. C., & REBAR, E. J. Diversifying the structure of zinc finger nucleases for high-precision genome editing. *Nature Communications*, v. 10, n.1, 2019. <https://doi.org/10.1038/s41467-019-08867-x>

SAYED, N., ALLAWADHI, P., KHURANA, A., SINGH, V., NAVIK, U., PASUMARTHI, S. K., KHURANA, I., BANOTHU, A. K., WEISKIRCHEN, R., & BHARANI, K. K. Gene therapy: Comprehensive overview and therapeutic applications. *Life Sciences*, v. 294, p. 120375, 2022. <https://doi.org/10.1016/J.LFS.2022.120375>

ZHANG, S., SHEN, J., LI, D., & CHENG, Y. (2020). Strategies in the delivery of Cas9 ribonucleoprotein for CRISPR/Cas9 genome editing. *Theranostics*, v.11, n. 2, p. 614–648). Ivyspring International Publisher. <https://doi.org/10.7150/thno.47007>