

## **Edição genética cura hemofilia em animais**

### **Biologia & Ciências**

Enviado por:

Postado em:28/06/2011

Cientistas estão editando genes em localizações precisas do DNA para reverter a hemofilia

Os cientistas têm feito inúmeras descobertas acerca da influência dos genes sobre as características do homem. Mas, quando se trata de medicina, o grande alvo das chamadas terapias gênicas é atuar sobre esses genes, revertendo ou evitando condições patológicas. É isto o que estão fazendo médicos do Hospital Infantil da Filadélfia, nos Estados Unidos. Edição do genoma A equipe está desenvolvendo uma técnica inovadora, chamada edição genômica - assim como se edita um texto no computador, eles estão "reescrevendo" localizações precisas do DNA. Eles acabam de usar a técnica para reverter a hemofilia, um distúrbio de coagulação do sangue. O experimento foi feito em animais de laboratório, usando camundongos hemofílicos. Esta é a primeira vez que a edição do genoma, que alveja e repara com precisão um "defeito" genético, foi usada em um animal vivo e alcançou resultados clinicamente significativos. Vírus do bem Os cientistas usaram duas versões de um vírus geneticamente modificado (vírus adeno-associado, ou AAV), uma levando enzimas que cortam o DNA em um ponto exato, e outra carregando um gene substituto para ser copiado na sequência do DNA. Tudo isso ocorreu nas células do fígado dos animais vivos. "Nossa pesquisa abre a possibilidade de que a edição de genoma seja usada para corrigir um defeito genético em um nível clinicamente significativo," disse a líder do estudo, Katherine High, que estuda as terapias gênicas para hemofilia há mais de uma década. O estudo foi publicado na revista Nature. Nucleases dedo de zinco Os pesquisadores usaram enzimas geneticamente modificadas, chamadas nucleases dedo de zinco (ZFNs: zinc finger nucleases), que atuam como processadores de texto moleculares, editando sequências mutacionadas de DNA. O grupo descobriu como fabricar ZFNs personalizadas, voltadas para um local genético específico. As ZFNs específicas para o gene do fator 9 (F9) foram concebidas e utilizadas em conjunto com uma sequência de DNA que restaurou a função do gene normal perdida na hemofilia. Hemofilia Alvejando com precisão um local específico em um cromossomo, as ZFNs têm uma vantagem sobre as técnicas convencionais de terapia genéticas, que podem colocar um gene de reposição aleatoriamente em um local não desejado, passando por cima dos componentes biológicos reguladores que controlam o gene em condições normais. Esse "errar o alvo" genético acarreta um risco de "mutagênese insercional", na qual o gene corretivo provoca uma alteração inesperada, como o surgimento da leucemia. Na hemofilia, uma mutação de um único gene herdada apenas por homens prejudica sua capacidade para produzir uma proteína de coagulação do sangue, criando episódios de sangramento espontâneo, algumas vezes com risco de vida. Esta notícia foi publicada em 28/06/2011 no sítio diariodasaude.com.br. Todas as informações nela contida são de responsabilidade do autor.