




Perguntas e respostas

ENTENDENDO A TERAPIA GÊNICA



Aqui você encontrará conceitos gerais sobre uma nova forma de tratamento: a **Terapia Gênica**.

 O que são genes, a terapia gênica e doenças raras;

 Como a terapia gênica pode ajudar pessoas que vivem com doenças genéticas.

A Pfizer tem em andamento diversos programas de Terapia Gênica, em diferentes áreas terapêuticas. Os achados de novos estudos animam e a Terapia Gênica apresenta perspectivas positivas para o tratamento de diversas doenças genéticas.



O que são Genes?

São parte de cada célula e carregam características que cada pessoa obtém ou herda de seus pais.

O que são doenças genéticas?

São problemas de saúde que ocorrem quando genes não funcionam como foram concebidos. Algumas são muito graves, dependendo de qual gene é afetado.

Como se pega uma doença genética?

As pessoas nascem com doenças genéticas. Porém, em algumas ocasiões, os genes podem mudar ou sofrer mutação ao longo de uma vida inteira.

O que é a Terapia Gênica?

É a introdução, remoção ou mudança de um material genético nas células de um paciente para tratar uma doença. Esse material pode ser inserido nas células de um paciente em laboratório e retornadas ao paciente (técnica ex vivo) ou pode ser inserido nas células através de um vetor injetado no paciente (técnica in vivo). Os vetores, essencialmente, são veículos projetados para entregar genes saudáveis diretamente em uma célula. Frequentemente, esses vetores são criados a partir de partes de um vírus. O vírus é alterado para que uma pessoa não fique doente.

Normalmente, a Terapia Gênica é administrada por meio de uma injeção ou uma infusão intravenosa (diretamente na corrente sanguínea). Isso vai depender do tipo de Terapia Gênica, específico para cada doença, podendo também ser administrada diretamente no órgão-alvo.

Quais são os benefícios potenciais da Terapia Gênica?

A terapia gênica não é utilizada para tratar apenas os sintomas de uma determinada doença, mas para interromper ou retardar a evolução dessa doença causada por um gene mal funcionante.

Pode fornecer um benefício de tratamento a longo prazo e requerer apenas uma dose, tendo a possibilidade de controle da doença sem a necessidade do uso repetido de medicações.

Quais são os riscos ou limitações potenciais da Terapia Gênica?

Existem riscos associados ao tratamento como, por exemplo, o desenvolvimento de uma resposta imunológica após o recebimento da terapia. Quando isso acontece, o corpo do paciente impede que o gene saudável o ajude. Além disso, pesquisas continuam sendo desenvolvidas para determinar se a terapia gênica pode aumentar potencialmente o risco de qualquer complicação.

Quanto tempo dura a Terapia Gênica?

Os ensaios clínicos estão ajudando a entender melhor, incluindo, por quanto tempo os benefícios podem durar. Até agora, as pesquisas sugerem que a Terapia Gênica pode durar até muitos anos.

O período de tempo pode variar dependendo do tipo de doença genética, da terapia gênica específica e também das características do paciente.



Quem pode receber o tratamento?

Pessoas que possuem doenças genéticas devem falar com seus médicos sobre as opções de tratamento. Existem muitos motivos pelos quais alguém pode não ser habilitado a receber a terapia. Dois motivos comuns incluem: idade e anticorpos previamente formados contra os vetores virais.

O médico precisará verificar se a pessoa tem anticorpos para os vetores antes de administrar a terapia e, uma vez que isso seja confirmado, ela pode não ser habilitada a fazer esse tipo de tratamento.

Referências Bibliográficas

1. Salzman R, et al. *Mol Ther*. 2018;26(12):2717-2726
2. VandenDriessche T, et al. *Hum Gene Ther*. 2017;28(11):1013-1023.
3. Finegold DN. *Genes and chromosomes*. Merck Manual Consumer Version. Last revised Jul 2021. <https://www.merckmanuals.com/home/fundamentals/-genetics/genes-and-chromosomes>. Accessed November 22,2021.
4. Jackson M, et al. *Essays Biochem*. 018;62(5):643-723.
5. Help Me Understand Genetics. MedlinePlus (US National Library of Medicine) website. <https://medlineplus.gov/download/genetics/understanding/primer.pdf>. Accessed November 22,2021.
6. Wang D, et al. *Nat Rev Drug Discov*. 2019;18(5):358-378.
7. Qin S-Y. *J Transl Genet Genom*. 2019;3:10 DOI:10.20517/jtgg.2019.05.
8. Nidetz NF, et al. *Pharmacol Ther*. 2020;207:107453. doi: 10.1016/j.pharmthera.2019.107453.
9. Perrin GQ, et al. *Blood*. 2019;133(5):407-414.
10. Anguela XM, et al. *Annu Rev Med*. 2019;70:273-288.
11. Shahryari A, et al. *Front Genet*. 2019;10:868. doi: 10.3389/fgene.2019.00868.
12. Understanding gene therapy: the screening process. Parent Project Muscular Dystrophy website. December 13, 2017. <https://www.parentprojectmd.org/understanding-gene-therapy-the-screening-process/>. Accessed November 22,2021.
13. Hacker UT, et al. *Cancers*. 2020,12,1889;doi:10.3390/cancers12071889



. Material destinado para associações de pacientes, imprensa e público leigo.
PP-PFE-BRA-3992 - Dezembro/2021

