

Tratamento contra hemofilia tem êxito em testes, diz estudo



Cientistas anunciaram ter **tratado a hemofilia em cães** acertando um gene defeituoso, o que representou um avanço no tratamento desta disposição congênita em humanos também.

Uma equipe de cientistas chefiada por David Wilcox, da Escola Médica de Wisconsin, em Milwaukee, usou um vírus que funciona ao estilo "Cavalo de Troia" em testes com cães. Eles esconderam uma versão ativa de um gene chamado ITGA2B em um **vírus inofensivo**.

O vírus foi, então, usado para "infectar" três cães com hemofilia A, inserindo o gene sadio em células-tronco que fazem plaquetas ou minúsculos fragmentos de células que coagulam o sangue.

Dois dos cães que produziram os níveis mais elevados de Fator VIII depois do tratamento não apresentaram episódios de sangramento severo durante toda a duração do estudo, de dois anos e meio. Segundo o estudo, publicado na revista *Nature Communications*, nenhum dos três cães precisou de medicamentos para suprimir seu sistema imunológico após receberem o novo gene.

A **hemofilia A**, a forma mais disseminada da **doença sanguínea hereditária**, afeta um em cada 10 mil pessoas. Ela se dá na presença de um gene defeituoso, passado por linhagem materna, que causa deficiência em uma proteína coagulante denominada Fator VIII.

Atualmente não há cura. O sangramento sem controle é tratado com **injeção coagulante**, embora o sistema imunológico de alguns pacientes possa reagir a ela.

SUBSTITUIÇÃO DE GENES DEFEITUOSOS

A terapia genética se baseia na ideia de que doenças hereditárias podem ser combatidas encaixando-se genes funcionais para substituir defeituosos.

Ela estourou na cena médica no final dos anos 1990 e é uma das áreas mais promissoras da **biotecnologia**, teoricamente oferecendo a promessa de bloquear ou reverter as doenças hereditárias. Mas esta nova fronteira também tem sido alvo de alguns reveses, notavelmente uma resposta inesperada e incontrolável do sistema imunológico.

Até agora, os sucessos têm sido poucos, limitados a distúrbios em um único gene, ao contrário dos complexos distúrbios multigenéticos presentes nas doenças mais comuns. Em julho, cientistas na Itália disseram ter tratado seis crianças com leucodistrofia metacromática, uma doença do sistema nervoso que é causada por mutações do gene ARSA.

Os reveses também incluíram a morte de um voluntário americano de 18 anos, Jesse Gelsinger, em 1999,

PESQUISA

Postado em 21/11/2013

e o desenvolvimento de câncer em duas crianças francesas tratadas com uma síndrome provocada pela falta crônica de defesas imunológicas.

Fonte: France Presse