**APLICAÇÕES DA TERAPIA GÊNICA NO TRATAMENTO DE DOENÇAS HEREDITÁRIAS E ADQUIRIDAS**

Brenda Thaysa ¹, Élen Jamily ¹, Guilherme Kauã ²

1. Centro Universitário Maurício de Nassau, Curso de Biomedicina, Caruaru, PE, Brasil.

2. Orientador(a), Professor Dr. Danilo Gustavo.

\*e-mail do responsável: brendathaysa9@gmail.com

**INTRODUÇÃO:** A terapia gênica é um procedimento médico que tem por finalidade o melhoramento genético através das modificações dos genes das células, como a correção de genes alterados, a fim de auxiliar no tratamento terapêutico. Esta terapia é empregada de algumas técnicas moleculares, como a técnica de Car-T Cell, utilizada no tratamento de linfoma. Tal ciência ainda se encontra no seu estágio experimental, sendo grande parte apenas estudos teóricos. Porém pesquisas já evidenciam a sua importância na medicina, após portadores de Amaurose Congênita de Leber (ACL) voltaram a enxergar, após serem inseridas cópias do gene RPE65 (Proteína 65 kDa do epitélio pigmentar da retina, que se mostra em avanços de doenças progressivas da retina) e um promotor no vírus adeno-associado (AAV).Resultando em avanços biotecnológicos, oferecendo uma nova perspectiva de cura e controle de doenças hereditárias e adquiridas. **OBJETIVOS:** Este resumo tem por objetivo abordar sobre a terapia gênica e a sua utilização em tratamentos terapêuticos, através de modificações de genes celulares. Ressaltando a sua importância no meio científico e apresentando algumas das suas aplicações em tratamentos médicos. **MÉTODO:** O presente estudo é uma revisão de literatura através da pesquisa de artigos científicos presente nas bases de dados, scielo, e google acadêmico, analisando casos de pacientes e a utilização da mesma em tratamentos terapêuticos. **RESULTADO E DISCUSSÃO:** A terapia gênica é uma área promissora na medicina moderna, devido aos grandes benefícios que ela pode proporcionar, principalmente relacionados a doenças hereditárias, por possuírem apenas um único gene defeituoso. Assim como também é muito utilizada no tratamento de doenças adquiridas, como o câncer. Porém esta ciência ainda apresenta muitas dificuldades, como a pouca eficiência e limitações relacionadas ao direcionamento celular. Questões como a utilização de vírus proporcionam debates quanto ao seu potencial imunogênico e fatores éticos também são discutidos quanto à realização de ensaios clínicos durante o desenvolvimento fetal ou até mesmo em células germinativas. **CONCLUSÃO:** Com o avanço das tecnologias e as novas pesquisas quanto às modificações de genes, espera-se que a terapia gênica se torne mais eficiente e acessível a todos. Proporcionando um tratamento mais amplo para diversas condições, além da personalização das terapias adaptada ao perfil de cada paciente, resultando em melhorias clínicas significativas.

**Palavras-chave:** Amaurose Congênita de Leber (ACL); Adeno-associado (AAV) RPE65; Avanços biotecnológicos.