



Terapia Gênica

Por terapia gênica se entende a transferência de material genético com o propósito de prevenir ou curar uma enfermidade qualquer. No caso de enfermidades genéticas, nas quais um gene está defeituoso ou ausente, a terapia gênica consiste em transferir a versão funcional do gene para o organismo portador da doença, de modo a reparar o defeito. Se trata de uma idéia muito simples, mas como veremos sua realização prática apresenta vários obstáculos.

Primeira etapa: o isolamento do gene.

Um gene é uma porção de DNA que contém a informação necessária para sintetizar uma proteína. Transferir um gene é transferir um pedaço particular de DNA. Portanto, é necessário antes de tudo, possuir “em mãos” o pedaço correto.

As enfermidades genéticas conhecidas estão ao redor de 5000, cada uma causada por uma alteração genética diferente. O primeiro passo para a terapia gênica é identificar o gene responsável pela enfermidade. Subsequentemente, pelas técnicas de biologia molecular é possível adquirir um pedaço de DNA que contém este gene. Esta primeira etapa é chamada de isolamento ou clonagem do gene.

Qualquer enfermidade é candidata a terapia gênica, desde que o gene esteja isolado para a transferência.

Graças ao progresso da biologia molecular esta primeira etapa é relativamente simples em comparação a alguns anos atrás. Tem sido possível isolar numerosos genes causadores de doenças genéticas e, se descobrem outros a cada semana.