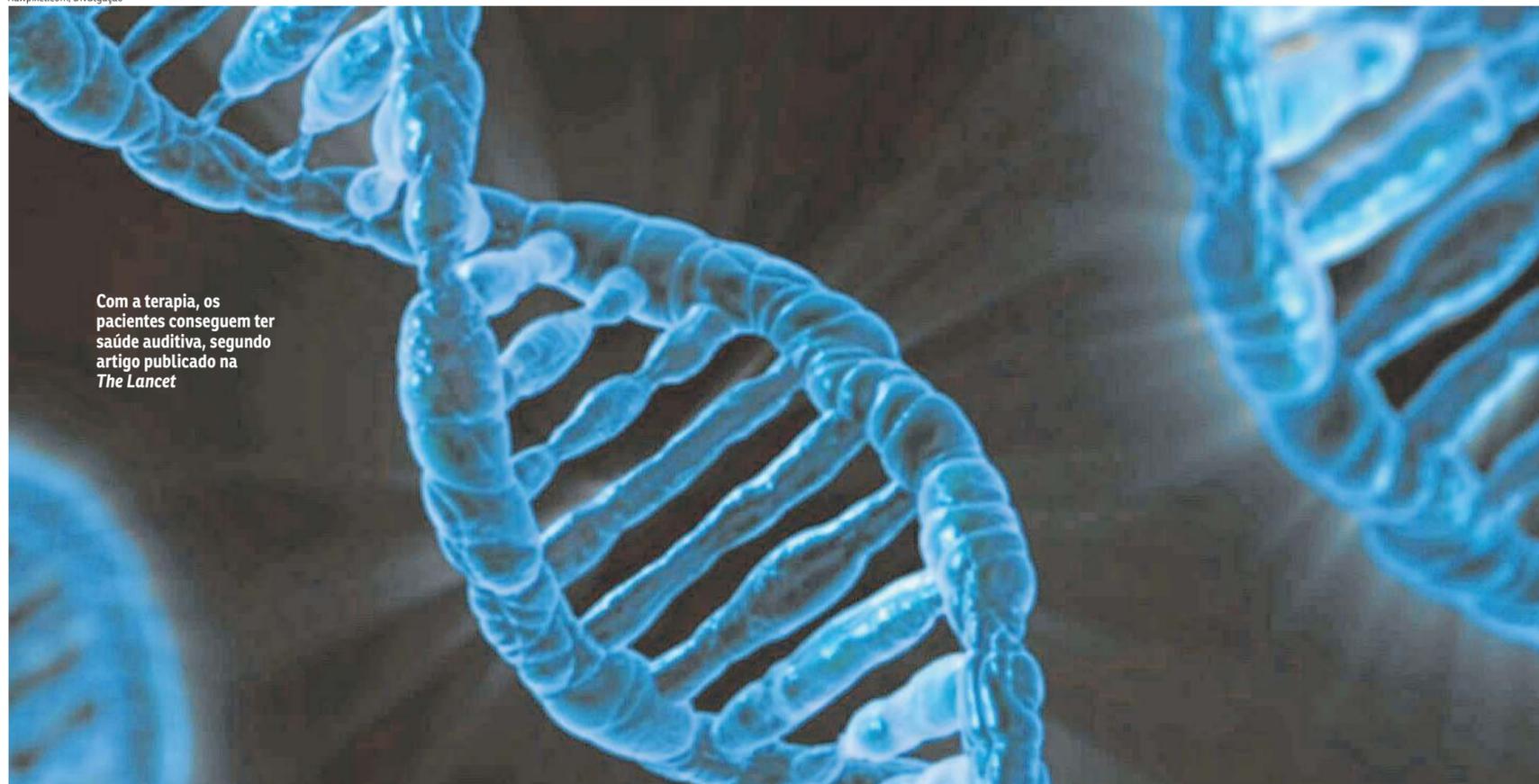


Tratamento inédito foi realizado na China com crianças, que sofrem de um tipo hereditário de perda auditiva, conhecida como DFNB9. Um adenovírus modificado transportou a proteína para o ouvido dos pacientes, recuperando a audição

Rawpixel.com/Divulgação



Com a terapia, os pacientes conseguem ter saúde auditiva, segundo artigo publicado na *The Lancet*

# Terapia com genes cura surdez

» PALOMA OLIVETO

A terapia gênica recuperou a audição de crianças chinesas com um tipo de surdez hereditária, conhecida como DFNB9. O estudo, da Universidade Fudan, em Xangai, na China, em parceria com pesquisadores do Hospital Mass General Brigham, nos Estados Unidos, foi realizado com seis pacientes que sofriam de uma forma específica de surdez recessiva, causada por mutações no gene OTOF. A perda auditiva afeta mais de 1,5 bilhão de pessoas em todo o mundo, sendo que a surdez congênita representa cerca de 26 milhões desses indivíduos. Em

crianças, mais de 60% dos casos decorrem de razões genéticas.

A pesquisa, publicada na revista *The Lancet*, representa o primeiro teste em humanos de uma terapia gênica para o tratamento desta condição. "Se as crianças não conseguem ouvir, os seus cérebros podem desenvolver-se de forma anormal sem uma intervenção", disse Zheng-Yi Chen, professor na Escola Médica de Harvard, em Boston.

O professor acrescentou ainda que "os resultados deste estudo são verdadeiramente notáveis". "Vimos a capacidade auditiva das crianças melhorar dramaticamente semana após semana, bem como a recuperação da fala", afirmou ele.

## Falha na transmissão

A DFNB9, por exemplo, é uma doença hereditária causada por mutações no gene OTOF e pela falha na produção da proteína otoferlina funcional, necessária para a transmissão dos sinais sonoros do ouvido para o cérebro. Atualmente não existem medicamentos para ajudar no tratamento da surdez hereditária, o que abriu a porta para novas soluções, como terapias genéticas.

Para testar o tratamento, seis crianças com DFNB9 foram observadas durante um período de 26 semanas no Hospital Universitário da Universidade de Fudan. Os colaboradores dos Estados Unidos utilizaram um vírus adenoassociado

(AAV) que transportou uma versão do gene OTOF humano e o introduziu no ouvido interno dos pacientes, em um procedimento cirúrgico especial. Foram utilizadas doses diferentes da injeção única do vetor viral.

Todas as seis crianças apresentavam surdez total, conforme indicado por um limiar médio de resposta auditiva do tronco encefálico de mais de 95 decibéis. Após 26 semanas, cinco pacientes demonstraram recuperação da audição, medida pelo mesmo teste, além de exibirem melhoras significativas na percepção da fala e na capacidade de conduzir uma conversa normal. No geral, não foi observada toxicidade na terapia.

Os resultados dos ensaios também serão apresentados em 3 de fevereiro, na Reunião Anual da Associação de Pesquisa em Otorrinolaringologia, em Brentwood, nos Estados Unidos. Segundo os autores, há evidências suficientes sobre a segurança e eficácia das terapias genéticas no tratamento do DFNB9, bem como seu potencial para outras formas de perda auditiva genética.

## Segurança

Além disso, os pesquisadores ressaltam que resultados contribuem para a compreensão da segurança da inserção do AAV no ouvido interno humano. No que diz respeito ao uso de AAVs, o sucesso de um vetor de duplo transportando duas partes do gene OTOF é notável, diz o artigo. "Normalmente, os AAVs têm um limite de tamanho de gene e, portanto, para um gene como o OTOF, que excede esse limite, a conquista com um vetor viral duplo abre a porta para o uso de AAV com outros genes que normalmente são grandes demais para o vetor."

"Somos os primeiros a iniciar o ensaio

## » Vírus como veículo

A terapia gênica é uma técnica que modifica os genes de uma pessoa para tratar ou curar doenças. No caso do estudo relatado na *The Lancet*, a abordagem foi com transporte por vetor viral. Os vírus têm uma capacidade natural de entregar material genético às células e, portanto, alguns produtos de terapia gênica são derivados desses microrganismos. Antes de inseri-los no organismo do paciente, os vírus são modificados para remover a capacidade de causar doenças infecciosas. Portanto, eles agem apenas como veículo do gene que será usado no tratamento.

clínico da terapia genética OTOF. É emocionante que nossa equipe tenha traduzido o trabalho da pesquisa básica em modelo animal de DFNB9 para a restauração auditiva em crianças", disse o principal autor do estudo, Yilai Shu, de Xangai. Shu atuou anteriormente como pós-doutorado no laboratório de Chen no Mass Eye and Ear, em Boston. "Estou realmente entusiasmado com nosso trabalho futuro em outras formas de perda auditiva genética para levar tratamentos a mais pacientes."

Os pesquisadores planejam expandir o ensaio para um tamanho de amostra maior, bem como acompanhar os resultados ao longo de um cronograma mais longo. "Desde que os implantes cocleares foram inventados, há 60 anos, não houve um tratamento eficaz para a surdez", disse Chen. "Este é um grande marco que simboliza uma nova era na luta contra todos os tipos de perda auditiva."

## » Tubo de ensaio | Fatos científicos da semana

### SEGUNDA-FEIRA, 22

#### NADA DE SALADA NO ESPAÇO

Na Terra, elas são saudáveis, mas, no espaço, vegetais folhosos podem não ser uma boa escolha, mostra um estudo publicado na *Scientific Reports*. Os cientistas, da Universidade de Delaware, cultivaram alface em condições que imitavam o ambiente sem gravidade a bordo da Estação Espacial Internacional (ISS). Eles descobriram que a planta é mais suscetível a infecções bacterianas. Os pesquisadores afirmaram não saber, ainda, como resolver o problema. Por enquanto, salada no espaço só em pó.

THOMAS GAULKIN/BULLETIN OF THE ATOMIC SCIENTISTS/Divulgação



### TERÇA-FEIRA, 23

#### A 90 SEGUNDOS DO APOCALIPSE

O simbólico Relógio do Juízo Final (foto) se manteve em 90 segundos para a 0h, refletindo as ameaças existenciais à humanidade decorrentes de uma possível escalada nuclear do conflito entre Ucrânia e Rússia e dos impactos múltiplos da crise climática após o ano mais quente já registrado na Terra. Estabelecido pelos principais cientistas e especialistas em segurança, o indicador continua no mesmo lugar do ano passado, o ponto mais próximo do fim, em mais de 75 anos de história do relógio. Antes disso, o mais longe que a humanidade já esteve de seu ponto mais crítico foi após o fim da Guerra Fria, em 1991, quando parou em 17 minutos.

### QUARTA-FEIRA, 24

#### ÁGUA GELADA NA MENOPAUSA

Mulheres na menopausa que nadam regularmente em água fria relatam melhorias significativas nos seus sintomas físicos e mentais, segundo um estudo liderado por pesquisadores da Universidade College London. A pesquisa, publicada na *Post Reproductive Health*, entrevistou 1.114 mulheres. Os resultados mostraram que as participantes notaram melhoras na ansiedade (46,9%), alterações de humor (34,5%), no mau-humor (31,1%) e calores súbitos (30,3%) como resultado da natação em água fria. "Ainda são necessárias mais pesquisas sobre a frequência, duração, temperatura e exposição para provocar uma redução dos sintomas", escreveram os autores.

### QUINTA-FEIRA, 25

#### MISSÃO CUMPRIDA

O helicóptero Ingenuity (foto), da Nasa, fez seu último voo em Marte após um dano substancial em uma ou mais pás de seu rotor, informou a agência espacial. Em 19 de abril de 2019, a aeronave fez história ao realizar o primeiro voo controlado e motorizado em outro planeta. O último de seus 72 voos ocorreu em 18 de janeiro, segundo um comunicado. Inicialmente concebido para provar que voar era possível na ultrafina atmosfera marciana por meio de cinco testes, o Ingenuity acabou realizando 72, atuando como um auxiliar aéreo de seu companheiro em solo, o robô Perseverance.

