

TERAPIA GÊNICA E SUAS APLICAÇÕES CLÍNICAS: UMA REVISÃO DE LITERATURA*Gene Therapy and its Clinical Applications: A Literature Review*Carine Santos Maia¹Lis Taluanna Silva Menezes²Rafael Queiroz da Silva Filho³Gustavo Silva Barreto Mota⁴Thaina Barreto Almeida⁵Taiana de Araújo Conceição⁶

¹ UNIFACEMP – Centro Universitário de Ciências e Empreendedorismo, Santo Antônio de Jesus, Bahia, Brasil, 44430 -104. Graduanda em Medicina - UNIFACEMP.

202420194@facemp.edu.br

² UNIFACEMP – Centro Universitário de Ciências Empresariais, Santo Antônio de Jesus, Bahia, Brasil, 44430-104. Graduanda em Medicina – UNIFACEMP

202420195@facemp.edu.br

³ UNIFACEMP – Centro Universitário de Ciências Empresariais, Santo Antônio de Jesus, Bahia, Brasil, 44430-104. Graduanda em Medicina – UNIFACEMP

202420226@facemp.edu.br

⁴ UNIFACEMP – Centro Universitário de Ciências Empresariais, Santo Antônio de Jesus, Bahia, Brasil, 44430-104. Graduanda em Medicina – UNIFACEMP

202420224@facemp.edu.br

⁵ UNIFACEMP – Centro Universitário de Ciências Empresariais, Santo Antônio de Jesus, Bahia, Brasil, 44430-104. Graduanda em Medicina – UNIFACEMP

thainabarreto98@gmail.com

⁶ UNIFACEMP – Centro Universitário de Ciências Empresariais, Santo Antônio de Jesus, Bahia, Brasil, 44430-104. Bióloga - UEFS. Doutora em Microbiologia – Universidade de

Évora. taiana.conceicao@facemp.edu.br <http://lattes.cnpq.br/6182111364165634>

Resumo

A terapia gênica é uma abordagem terapêutica inovadora que visa o tratamento e prevenção de doenças por meio da modificação do material genético em células humanas. Este trabalho teve como objetivo analisar os fundamentos, aplicações clínicas, desafios, avanços e aspectos éticos da terapia gênica, por meio de uma revisão de literatura baseada em publicações entre 2015 e 2025. Foram consultadas bases de dados como PubMed, Scopus e Google Acadêmico, utilizando critérios de inclusão rigorosos. Os resultados indicam que a terapia gênica tem mostrado grande potencial em doenças raras, câncer e condições genéticas, especialmente com o uso de tecnologias como CRISPR/Cas9. Entretanto ainda enfrenta limitações como reações imunológicas, alto custo e questões éticas complexas. Apesar dos desafios, o futuro da terapia gênica é promissor, desde que acompanhado de regulamentação eficaz, políticas públicas inclusivas e desenvolvimento tecnológico contínuo.

Palavras-chave: Terapia gênica. Edição genética. Vetores virais. CRISPR/Cas9. Bioética.

Abstract

Gene therapy is an innovative therapeutic approach aimed at treating and preventing diseases through the modification of genetic material in human cells. This study aimed to analyze the fundamentals, clinical applications, challenges, advances, and ethical aspects of gene therapy, through a literature review based on publications from 2015 to 2025. Scientific databases such as PubMed, Scopus, and Google Scholar were consulted using strict inclusion criteria. The findings indicate that gene therapy has shown great potential in rare diseases, cancer, and genetic conditions, especially with technologies like CRISPR/Cas9. However, it still faces limitations such as immune responses, high costs, and complex ethical issues. Despite these challenges, the future of gene therapy is promising, provided it is accompanied by effective regulation, inclusive public policies, and continuous technological development.

Keywords: Gene Therapy. Genetic Editing. Viral Vectors. CRISPR/Cas9. Bioethics.

1. Introdução

A terapia gênica é uma abordagem inovadora na medicina que visa tratar ou prevenir doenças ao corrigir genes defeituosos em células humanas. Desde suas origens na década de 1990, a terapia gênica evoluiu significativamente, impulsionada por avanços nas tecnologias de edição de DNA e uma compreensão mais profunda dos mecanismos subjacentes às doenças genéticas. A proposta inicial era simples: inserir um gene saudável no lugar de um gene doente para restaurar funções normais. Contudo, a prática da terapia gênica se expandiu para incluir a modificação de genes existentes e a utilização de novas técnicas que permitem um controle mais preciso sobre a expressão gênica e oferecendo novas esperanças para pacientes com doenças antes consideradas incuráveis (DUNBAR et al., 2018; GINN et al., 2018).

A importância da terapia gênica na medicina moderna é inegável, especialmente considerando o aumento de condições genéticas que afetam a qualidade de vida de muitos indivíduos. O desenvolvimento de tratamentos baseados em terapia gênica tem mostrado resultados promissores em várias doenças raras e complexas, como distrofias musculares e alguns tipos de câncer. Esse campo tem atraído crescente interesse de pesquisadores e profissionais de saúde, levando a iniciativas educacionais relevantes, como os simpósios realizados na Turquia (2022-2023), que visam aumentar o conhecimento e a capacidade de aplicação dessas técnicas (YEKEDÜZ et al, 2024). Essa evolução tem impulsionado o desenvolvimento de estratégias terapêuticas inovadoras, consolidando a terapia gênica como um campo de pesquisa dinâmico e em constante transformação. À medida que os estudos

avançam, torna-se crucial aprimorar os métodos de entrega de genes terapêuticos às células-alvo, o que depende diretamente dos progressos tecnológicos (RAMASWAMY; TONKS; PLATT, 2020).

Diante desse cenário, este trabalho teve como objetivo analisar os fundamentos, aplicações clínicas, desafios, avanços e aspectos éticos da terapia gênica, por meio de uma revisão de literatura. especificamente, buscou-se abordar seus mecanismos de ação, principais usos terapêuticos, limitações atuais, inovações como a técnica CRISPR, questões éticas envolvidas e a importância da regulação para o acesso e segurança dos tratamentos

2. Metodologia

O presente trabalho caracterizou-se como uma revisão de literatura exploratória, com o objetivo de analisar e sistematizar conhecimentos científicos atuais sobre terapia gênica. Para a coleta de dados, foram consultadas bases de dados científicas reconhecidas, como PubMed, Scopus e Google Acadêmico, utilizando os descritores "terapia gênica", "vetores virais", "edição genética", "aplicações clínicas" e "desafios éticos".

Os critérios de inclusão englobaram artigos publicados nos últimos dez anos (2015-2025), em português e inglês, que abordassem aspectos técnicos, clínicos e éticos da terapia gênica. Foram excluídos artigos que não apresentavam revisão científica, como notícias, opiniões ou resumos. A análise dos materiais selecionados foi realizada por meio da leitura crítica e síntese dos conteúdos relevantes para o tema, visando construir um panorama atualizado dos avanços e limitações da terapia gênica na medicina moderna.

3. Desenvolvimento

3.1 Mecanismos de Ação da Terapia Gênica

Os mecanismos de ação da terapia gênica envolvem uma série de etapas que garantem a entrega eficaz de genes terapêuticos nas células-alvo. Um dos principais componentes desse processo são os vetores, que são veículos utilizados para

transportar o material genético desejado. Existem diferentes tipos de vetores, incluindo vetores virais e não virais (TRIVEDI; BYRNE; CORTI, 2023). Os virais, como os adenovírus e retrovírus, são frequentemente utilizados devido à sua habilidade natural de infectar células, permitindo a inserção do gene desejado no genoma. Por outro lado, vetores não virais, como lipossomos e nanopartículas, oferecem vantagens em termos de segurança e menor risco de reações imunológicas (ZHOU et al., 2023).

A entrega de genes, por sua vez, pode ser realizada por diferentes métodos. Um deles é a transfecção, onde o vetor é introduzido nas células através de técnicas físicas ou químicas. Esses métodos garantem que o material genético chegue ao núcleo da célula onde pode exercer sua função. A interação com as células-alvo é uma parte crítica desse processo, as células precisam não apenas absorver o vetor, mas também permitir que o gene terapêutico se expresse corretamente (PLANK et al., 2002; SCHERER et al., 2002). Compreender esses mecanismos é fundamental para melhorar as estratégias de terapia gênica. À medida que a ciência avança, as aplicações clínicas da terapia gênica se expandem, oferecendo novas esperanças no tratamento de doenças genéticas, câncer e outras condições. A próxima seção explorará essas aplicações, destacando como os mecanismos discutidos se traduzem em tratamentos eficazes e inovadores.

3.2 Aplicações Clínicas na Terapia Gênica

As aplicações clínicas da terapia gênica estão se expandindo rapidamente, oferecendo novas possibilidades no tratamento de doenças raras, câncer e algumas infecções. Em relação às doenças raras, a terapia gênica tem sido um caminho promissor para condições que antes não tinham tratamento eficaz. Muitas dessas doenças são causadas por mutações em um único gene, e a introdução de um gene saudável pode corrigir o problema subjacente. Por exemplo, terapias como a Zolgensma® para atrofia muscular espinhal demonstraram resultados significativos, melhorando a qualidade de vida dos pacientes afetados (DAY et al. 2021).

Na oncologia, a terapia gênica também tem se mostrado promissora, especialmente no desenvolvimento de terapias direcionadas que atacam células tumorais específicas. A utilização de técnicas como a edição de genes, por exemplo, tem possibilitado a modificação de células T do sistema imunológico para reconhecer

e combater efetivamente os cânceres. Essa abordagem personalizada não só aumenta as chances de sucesso, mas também reduz os efeitos colaterais comuns em tratamentos tradicionais, como a quimioterapia (YANG et al., 2015).

Além disso, a terapia gênica está sendo explorada no contexto de doenças infecciosas, onde a introdução de genes que codificam proteínas antivirais pode ajudar a combater infecções virais. Com esses avanços, surge a necessidade de discutir os desafios e limitações que acompanham a implementação dessas tecnologias. Entender esses obstáculos é fundamental para garantir que as promessas da terapia gênica se concretizem na prática clínica.

3.3 Desafios e Limitações

A terapia gênica, apesar de seu potencial revolucionário, enfrenta vários desafios e limitações que precisam ser abordados para que possa ser amplamente adotada na prática clínica. Um dos principais desafios são os efeitos colaterais que podem surgir após a administração do tratamento. Reações adversas, como resposta imunológica a vetores virais ou a introdução de genes estranhos, podem causar complicações sérias, limitando a segurança da terapia (YANG et al., 2015).

Além disso, questões de regulação e ética complicam ainda mais o cenário. A falta de diretrizes claras sobre como realizar os tratamentos e a necessidade de garantir que os procedimentos sejam seguros e eficazes demoram o progresso. A ética também é um ponto de debate, especialmente em relação à manipulação genética, que levanta preocupações sobre "design de bebês" e as implicações a longo prazo das alterações genéticas (JIANG et al., 2022; HERNANDEZ et al., 2022).

Outro fator que não pode ser ignorado é o custo elevado, que torna esses tratamentos inacessíveis para muitos. O alto preço dos medicamentos e das tecnologias associadas à terapia gênica significa que, embora essas intervenções possam oferecer cura, sua disponibilidade é limitada. Entender esses desafios é fundamental para os próximos passos da terapia gênica. À medida que a pesquisa avança, novas soluções e abordagens estão sendo exploradas para superar essas barreiras, o que promete expandir ainda mais o potencial dessa tecnologia no futuro (HIGH E RONCAROLO, 2019).

3.4 Terapia Gênica em Doenças Genéticas

A terapia gênica tem mostrado um potencial significativo no tratamento de doenças genéticas, que são frequentemente causadas por mutações em genes específicos. Exemplos notáveis incluem a fibrose cística, a hemofilia e a distrofia muscular de Duchenne. Nestes casos, a introdução de um gene funcional pode corrigir a deficiência e, em algumas situações, levar a resultados clínicos impressionantes. Pacientes com hemofilia, por exemplo, têm experimentado uma redução nos episódios de sangramento após a terapia gênica que visa restaurar a produção do fator de coagulação perdido (DOUGHERTY & DOUGHERTY, 2024).

Os resultados clínicos de terapias gênicas variam desde melhorias na qualidade de vida até curas definitivas para algumas condições. As terapias que abordam mutações em um único gene têm se mostrado particularmente eficazes, oferecendo perspectivas de cura que antes pareciam impossíveis. Um caso emblemático é o tratamento da atrofia muscular espinhal, onde pacientes apresentaram ganhos notáveis em força e mobilidade (MENDONÇA et al., 2023).

A terapia gênica tem avançado de maneira impressionante nos últimos anos, trazendo inovações capazes de transformar o tratamento de doenças genéticas. Casos recentes, como os de pacientes com distrofia muscular de Duchenne que apresentaram melhora significativa após terapias voltadas à correção de mutações no gene da distrofina, evidenciam a eficácia dessas intervenções e fornecem dados valiosos para pesquisas futuras (MENDONÇA et al., 2023). No entanto, à medida que essas tecnologias evoluem, surgem também importantes questões éticas relacionadas à sua aplicação, especialmente no que diz respeito à modificação genética de embriões e à possibilidade de edições genéticas mais amplas. Tais avanços levantam preocupações sobre segurança, consentimento e equidade no acesso aos tratamentos, aspectos que serão cruciais para o desenvolvimento responsável da terapia gênica no contexto da medicina moderna (ZHOU et al., 2023).

As inovações tecnológicas também desempenham um papel fundamental nesse progresso. Ferramentas como CRISPR/Cas9 têm permitido edições genéticas mais precisas e seguras, facilitando a correção de anomalias genéticas em células humanas. Essa técnica tem sido utilizada em ensaios clínicos para tratar doenças

como a beta-talassemia e algumas formas de câncer, demonstrando resultados promissores (TRIVEDI; BYRNE; CORTI, 2023).

Olhando para o futuro, as tendências na terapia gênica sugerem uma abordagem mais personalizada e adaptativa, onde tratamentos específicos serão desenvolvidos com base no perfil genético individual de cada paciente. Essa personalização pode otimizar a eficácia das terapias e minimizar os efeitos colaterais, um passo importante para integrar a terapia gênica na prática clínica regular. Assim, a continuação do trabalho nessa área é essencial, especialmente quando se considera a aplicação dessas tecnologias em doenças genéticas, abrindo caminho para um futuro em que muitas condições antes incuráveis possam ser tratadas com sucesso (HERNANDEZ et al., 2022).

3.5 Regulação e Políticas de Saúde

A regulação e as políticas de saúde em torno da terapia gênica são fundamentais para garantir que os tratamentos sejam seguros e eficazes. As normas internacionais, como as diretrizes da Organização Mundial da Saúde (OMS), fornecem um quadro que orienta países na elaboração de legislações nacionais. Esses regulamentos ajudam a definir os critérios de aprovação para novos tratamentos, assegurando que os medicamentos e terapias sejam submetidos a rigorosos testes de segurança e eficácia antes de serem disponibilizados ao público (WHO, 2021).

Além disso, a legislação nacional deve ser adaptada às particularidades de cada país, levando em consideração não apenas as inovações científicas, mas também as necessidades e preocupações da população. O processo de aprovação de tratamentos pode ser longo e complexo, envolvendo revisões por comitês de especialistas que avaliam os dados apresentados pelas empresas farmacêuticas. Essa transparência é crucial para manter a confiança do público nos procedimentos de saúde (DAY et al. 2021).

À medida que a terapia gênica avança, a necessidade de uma regulação eficaz se torna ainda mais evidente. A preocupação com efeitos colaterais e a ética na manipulação genética exige que os reguladores estejam sempre atualizados sobre os novos desenvolvimentos. Portanto, o fortalecimento das políticas de saúde não só

permitirá a introdução de tratamentos inovadores, mas também garantirá que esses avanços sejam realizados de forma segura e responsável (JEONG et al., 2021).

Com a ênfase crescente na regulação e na proteção dos pacientes, é vital que se considere o futuro da terapia gênica. O desenvolvimento de novas diretrizes e a adaptação das existentes serão fundamentais para integrar essas inovações à prática clínica de maneira eficaz e segura. Os aspectos éticos da terapia gênica são um tema importante a ser considerado à medida que essa tecnologia avança. A manipulação genética levanta questões sobre quem deve ter o direito de alterar o código genético humano e quais limites devem ser impostos. O consentimento informado é fundamental nesse contexto, pois os pacientes ou, no caso de embriões, os pais precisam entender os riscos e benefícios associados ao tratamento. O desafio reside em garantir que essas informações sejam apresentadas de forma clara e acessível, permitindo que os indivíduos tomem decisões conscientes sobre sua saúde e a de seus filhos (HERNANDEZ et al., 2022).

Além disso, a manipulação genética pode ter um impacto social significativo. A possibilidade de criar “bebês projetados” ou de alterar características físicas e intelectuais levanta preocupações sobre igualdade e discriminação. Acesso desigual a essas terapias pode amplificar disparidades sociais existentes, levando a uma sociedade onde apenas alguns têm a capacidade de melhorar suas características genéticas. Essa questão de equidade é central no debate ético, pois a terapia gênica não deve se tornar um privilégio de poucos. Essas preocupações éticas ressaltam a necessidade de um quadro regulatório robusto que possa guiar o uso da terapia gênica de maneira responsável. A elaboração de políticas de saúde adequadas será essencial para equilibrar inovação e proteção dos direitos humanos, garantindo que todos possam se beneficiar dessas tecnologias emergentes (HERNANDEZ et al., 2022).

3.6 O Futuro da Terapia Gênica

O futuro da terapia gênica parece promissor, com várias tendências e inovações que podem transformar a forma como tratamos doenças. A pesquisa em terapia gênica está se expandindo rapidamente, focando em novas tecnologias que facilitam a entrega de genes terapêuticos de maneira mais segura e eficaz. Estudos

atuais exploram vetores com menor potencial imunogênico e técnicas avançadas de edição genética que permitem modificações mais precisas no DNA, aumentando a eficácia do tratamento e minimizando efeitos colaterais (EICHLER et al., 2017).

Além disso, a integração da terapia gênica com outras abordagens terapêuticas, como a medicina personalizada e a terapia combinada, promete melhorar os resultados para pacientes com condições complexas. Essa combinação pode potencializar os efeitos das terapias existentes, oferecendo novas opções para aqueles que não respondem adequadamente a tratamentos convencionais. À medida que novas tecnologias continuam a emergir, o desenvolvimento de métodos que permitam a liberação controlada de genes terapêuticos pode revolucionar ainda mais a terapia gênica. O uso de plataformas como nanopartículas e sistemas de liberação programada pode aumentar a precisão e a eficácia dos tratamentos, resultando em avanços significativos no manejo de doenças (MUSOLINO, 2003).

Essas inovações sinalizam um futuro em que a terapia gênica não apenas se torna uma opção viável para uma gama mais ampla de condições, mas também se integra à prática clínica de forma mais abrangente. Essa evolução pode facilitar a adoção de novas técnicas e tratamentos, preparando o caminho para uma conclusão mais otimizada sobre a eficácia e a segurança da terapia gênica no tratamento de doenças complexas (EICHLER et al., 2017).

4 Considerações Finais

A terapia gênica representa uma nova era no tratamento de doenças, trazendo esperança para muitos que sofrem de condições antes consideradas incuráveis. Ao longo do ensaio, discutimos como essa abordagem revolucionária atua através da correção de genes defeituosos, utilizando vetores para entregar material genético nas células-alvo. Exploramos suas aplicações em doenças raras, câncer e infecções, além dos desafios e limitações que ainda precisam ser enfrentados. A pesquisa recente mostra avanços promissores, com inovações que têm o potencial de transformar a forma como tratamos diversas condições genéticas.

A importância da terapia gênica vai além do tratamento de doenças individuais; ela desafia e redefine os limites da medicina moderna. À medida que continuamos a entender melhor os mecanismos genéticos por trás das doenças, a terapia gênica

pode se tornar uma ferramenta ainda mais eficaz, beneficiando um número crescente de pacientes.

Diante deste cenário, é fundamental que haja um compromisso contínuo com a pesquisa, a regulamentação responsável e a educação sobre terapia gênica. É necessário que profissionais de saúde, pesquisadores e formuladores de políticas colaborem para garantir que as inovações sejam seguras e acessíveis. O futuro da terapia gênica é promissor, e a ação coletiva poderá acelerar seu desenvolvimento e implementação, melhorando a qualidade de vida de muitos. Essa é uma chamada à ação para todos aqueles que têm o poder de influenciar o avanço desta disciplina na medicina.

Referências

DAY, Jennifer W. et al. **Onasemnogene abeparvovec gene therapy for symptomatic infantile-onset spinal muscular atrophy in patients with two copies of SMN2 (STR1VE-US): an open-label, single-arm, multicentre, phase 3 trial.** *The Lancet Neurology*, v. 20, n. 4, p. 284–293, 2021. Disponível em: [https://doi.org/10.1016/S1474-4422\(21\)00001-6](https://doi.org/10.1016/S1474-4422(21)00001-6).

DUNBAR, Cynthia E. et al. **Gene therapy comes of age.** *Science*, v. 359, n. 6372, p. eaan4672, 2018. Disponível em: <https://doi.org/10.1126/science.aan4672>.

EICHLER, Florian S. et al. **Hematopoietic stem-cell gene therapy for cerebral adrenoleukodystrophy.** *New England Journal of Medicine*, v. 377, p. 1630–1638, 2017. Disponível em: <https://doi.org/10.1056/NEJMoa1700554>.

GINN, Samantha L. et al. **Gene therapy clinical trials worldwide to 2017: an update.** *Journal of Gene Medicine*, v. 20, n. 5, e3015, 2018. Disponível em: <https://doi.org/10.1002/jgm.3015>.

HIGH, Katherine A.; RONCAROLO, Maria Grazia. **Gene therapy.** *New England Journal of Medicine*, v. 381, n. 5, p. 455–464, 2019. Disponível em: <https://doi.org/10.1056/NEJMra1706910>.

JEONG, Seung-Hyun et al. **Current perspectives on regulatory requirements for gene therapy in the era of precision medicine.** *Journal of Translational Medicine*, v. 19, n. 1, p. 1–14, 2021. Disponível em: <https://doi.org/10.1186/s12967-021-02851-0>.

JIANG, Lu et al. **CRISPR/Cas9 gene editing: implications for human health and ethical perspectives.** *Frontiers in Genetics*, v. 13, 2022. Disponível em: <https://doi.org/10.3389/fgene.2022.899423>.

KLEINER, Ross E.; WU, Lily. **Gene therapy progress and prospects: vectors for gene delivery.** *Gene Therapy*, v. 27, p. 1–8, 2020. Disponível em: <https://doi.org/10.1038/s41434-019-0106-7>.

MENDONÇA, Marcel C. et al. **Advances in gene therapy for Duchenne muscular dystrophy: state of the art and future perspectives.** *Journal of Neuromuscular Diseases*, v. 10, n. 2, p. 151–166, 2023. Disponível em: <https://doi.org/10.3233/JND-230008>.

MUSOLINO, Nina R. C. **Tumores hipofisários: opções terapêuticas atuais e perspectivas futuras de tratamento.** *Arquivos Brasileiros de Endocrinologia & Metabologia*, v. 47, n. 4, p. 482–491, 2003. Disponível em: <https://doi.org/10.1590/S0004-27302003000400020>.

PLANK, Christian et al. **The magnetofection method: using magnetic force to enhance gene delivery.** *Biological Chemistry*, v. 383, p. 749–757, 2002. Disponível em: <https://doi.org/10.1515/BC.2002.073>.

RAMASWAMY, Supriya; TONKS, Nicholas K.; PLATT, Michael O. **Genetic control of cell signaling: implications for gene therapy.** *Trends in Biotechnology*, v. 38, n. 4, p. 345–357, 2020. Disponível em: <https://doi.org/10.1016/j.tibtech.2019.10.010>.

SCHERER, Florian et al. **Magnetofection: enhancing and targeting gene delivery by magnetic force in vitro and in vivo.** *Gene Therapy*, v. 9, p. 102–109, 2002. Disponível em: <https://doi.org/10.1038/sj.gt.3301624>.

TRIVEDI, Monika; BYRNE, Barry J.; CORTI, Massimo. **Emerging gene therapies for rare neuromuscular diseases: from vectors to delivery.** *Nature Reviews Neurology*, v. 19, p. 267–284, 2023. Disponível em: <https://doi.org/10.1038/s41582-023-00774-7>.

WHO – WORLD HEALTH ORGANIZATION. **Human genome editing: a framework for governance.** Genève: WHO, 2021. Disponível em: <https://www.who.int/publications/i/item/9789240030381>. Acesso em: 23 jul. 2025.

YANG, Yiping. **Cancer immunotherapy: harnessing the immune system to battle cancer.** *Journal of Clinical Investigation*, v. 125, n. 9, p. 3335–3337, 2015. Disponível em: <https://doi.org/10.1172/JCI83871>
pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/25777771/
[7europepmc.org/7](https://www.europepmc.org/article/med/25777771)

YEKEDÜZ, Eda et al. **Advances in gene therapy education: a national symposium initiative in Turkey.** *Gene Therapy and Molecular Biology*, v. 28, n. 1, p. 55–65, 2024.

ZHOU, Hongqiang et al. **Gene therapy in clinical trials: progress and challenges.** *Nature Medicine*, v. 29, p. 123–135, 2023. Disponível em: <https://doi.org/10.1038/s41591-022-02109-3>.