

PERSPECTIVAS E NOVOS ALVOS FARMACOLÓGICOS PARA O TRATAMENTO DA DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE: UMA REVISÃO SISTEMÁTICA (APOIO UNIP)

Aluna: Kadígea Kaziemirski Cantizani

Orientador: Prof. Dr. Luiz Domingues de Almeida Junior

Curso: Biomedicina

Campus: Bauru

A Distrofia Muscular de Duchenne (DMD) é uma doença relacionada à fraqueza muscular progressiva, que leva os pacientes a perderem a capacidade de marcha a partir dos oito anos de idade. A DMD é uma doença incapacitante e fatal e que ainda não apresenta perspectivas reais de cura, mantendo uma perspectiva de vida por volta da segunda e terceira década de vida. A patologia é caracterizada por mutações no gene codificante para a distrofina, localizado no cromossomo X (Xp21), composto por 79 éxons e com uma extensão de 2,3 Mb. Dessas mutações, 72% são deleções extensas, que mudam o quadro de leitura do gene (*frameshift*) gerando proteínas gravemente truncadas, que são rapidamente destruídas pelas células. Os tratamentos da DMD têm como estratégia a diminuição do acometimento muscular por estratégias farmacológicas. Existem alguns tratamentos que podem amenizar os sintomas, melhorando a qualidade de vida, diminuindo a alta morbidade e o óbito precoce dos afetados. O objetivo deste trabalho é fazer uma revisão sistemática dos novos alvos farmacológicos e suas perspectivas com a finalidade de entender as principais barreiras que impedem uma terapia curativa.