



## XXXV SALÃO de INICIAÇÃO CIENTÍFICA

6 a 10 de novembro

<b>Evento</b>	Salão UFRGS 2023: SIC - XXXV SALÃO DE INICIAÇÃO CIENTÍFICA DA UFRGS
<b>Ano</b>	2023
<b>Local</b>	Campus Centro - UFRGS
<b>Título</b>	Desenvolvimento e caracterização físico-química de lipossomas para vetorizar o sistema CRISPR para fins de edição gênica
<b>Autor</b>	LARISSA CRISTINA BARBOSA FLORES
<b>Orientador</b>	ROSELENA SILVESTRI SCHUH

A Mucopolissacaridose tipo I (MPS I) é uma desordem multissistêmica causada pela deficiência da enzima alfa-L-iduronidase (IDUA), que leva ao acúmulo lisossomal dos glicosaminoglicanos sulfato de heparano e sulfato de dermatano. A terapia gênica é uma potencial alternativa aos tratamentos atuais, sendo os lipossomas eficientes carreadores de ácidos nucleicos para esse fim. Entretanto, a literatura carece de investigação aprofundada das características físico-químicas desses sistemas quando complexados aos ácidos nucleicos. Nesse contexto, o presente projeto visa à caracterização físico-química e investigação da estabilidade desses sistemas com vistas à sua utilização como vetores não-virais para edição gênica administrados através da via intra-articular. O objetivo principal é desenvolver lipossomas e avaliar suas propriedades físico-químicas para posterior complexação com ácidos nucleicos da formulação otimizada. Para isso, lipossomas compostos por DOPE, DSPE-PEG e DOTAP foram preparados pela técnica de formação de filme, seguida de microfluidização. Diferentes concentrações dos componentes foram testados, resultando na melhor formulação otimizada. Para a caracterização físico-química das formulações, determinou-se o diâmetro médio, o índice de polidispersão e o potencial zeta das vesículas. A determinação do diâmetro da vesícula foi realizada pelo método de espectroscopia a laser de correlação de fótons (PCS), observando o espalhamento a 90° após diluição das amostras em água purificada, previamente filtrada em membrana 0,2 µm (Millipore). Para a determinação do potencial zeta, a metodologia empregada foi a migração eletroforética das gotículas, com diluição prévia das amostras em solução de NaCl (1mM). Quanto ao diâmetro médio das formulações, os lipossomas apresentaram 90 nm. O índice de polidispersão foi de 0,19 e o potencial zeta foi positivo de aproximadamente +42 mV. A partir dos resultados obtidos, conclui-se que as formulações desenvolvidas podem ser eficientes vetores não virais de ácidos nucleicos e outros ensaios serão realizados para demonstrar sua efetividade.