

## Trabalhos Científicos

**Título:** Resposta Antropométrica Ao Final Do Primeiro Ano De Terapia Com Vosorotida Em Uma Série De Casos De Pacientes Com Acondroplasia: Estudo De Mundo Real

**Autores:** Introdução: A vosoritida, um análogo do peptídeo natriurético tipo C, é atualmente a única terapia-alvo aprovada para o tratamento de crianças e adolescentes com acondroplasia e com placa de crescimento aberta. No Brasil, seu uso é autorizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária a partir de seis meses de vida, e mantida enquanto as placas de crescimento estiverem abertas. Objetivos: Avaliar a resposta antropométrica após um ano de uso de vosoritida em uma coorte de crianças e adolescentes com acondroplasia acompanhadas em um hospital terciário. Metodologia: Estudo longitudinal retrospectivo envolvendo sete pacientes com acondroplasia (três do sexo feminino), em uso contínuo de vosoritida por, no mínimo, 12 meses. A dose foi ajustada conforme o peso do paciente e a concentração da medicação. Foram analisados o peso, comprimento/estatura e índice de massa corporal (IMC) no momento basal (T1) e ao final do primeiro ano de tratamento (T2), expressos em Z-escores (desvio-padrão – DP). A velocidade de crescimento anualizada (VC) foi avaliada pela variação percentual entre o período pré-tratamento (VC1) e após um ano de terapia (VC2). Avaliou-se também a frequência de eventos adversos. Devido ao pequeno tamanho amostral, utilizou-se a mediana como medida de tendência central. Resultados: A mediana de idade no início de tratamento foi 8,3 anos (0,8 a 13,8). Todos os pacientes apresentavam estenose de forame magno à ressonância magnética, sendo necessária a intervenção neurocirúrgica em um caso. As medianas dos Z-escores das variáveis antropométricas basais (Z-1) e ao final do primeiro ano (Z-2) foram, respectivamente: peso, Z-peso1 -1,5 DP (-2,5 a +0,4), Z-peso2: -1,2 DP (-3,9 a 0,7), p =0,95, comprimento/estatura, Z-comp1: -4,8 DP (-5,6 a -3,9), Z-comp2: -4,4 DP (-5,9 a -3,7), p=0,6, IMC, Z-IMC1: 1,8 DP (0,1 a 4,9), Z-IMC2: 1,6 DP (0 a 2,9) p=0,37. A mediana do ganho de Z-escore de comprimento/estatura foi de 0,3 DP. A mediana do ganho percentual da VC anualizada de 68,5% (variação: -54,4 a 94,1%). O evento adverso mais frequente foi dor transitória no local da aplicação (5/7), seguido de hirsutismo (3/7), sem relatos de eventos graves ou de descontinuidade da terapia. Conclusão: Após 12 meses de tratamento com vosoritida, observou-se melhora modesta (não significativa) no Z-escore de estatura e no percentual de ganho da VC anualizada, com ganhos comparáveis aos reportados em estudos clínicos controlados nesse primeiro ano, apesar da pequena amostra e da heterogeneidade etária e clínica dessa série de casos. O perfil de segurança foi favorável, com boa tolerabilidade e ausência de efeitos adversos graves. Esses resultados reforçam os benefícios da vosoritida no contexto da prática clínica real e a importância da continuidade do seguimento longitudinal estruturado para monitorar a efetividade e segurança da terapia em pacientes com acondroplasia

**Resumo:** ANDREZA ANDRADE BARBOSA (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA ), FERNANDA SOUSA CARDOSO LOPES (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), ISABELA ANIZ GOMES DE OLIVEIRA (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), MILENA VITÓRIA MACHADO MOREIRA (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), BEATRIZ DE ARAÚJO NUNES GOMES (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), VITÓRIA ANDRESS ZUCHETTI SOARES (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), EDUARDO JOSÉ FERREIRA SALES (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), RENATA OLIVEIRA SANTAREM (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA), LUIZ CLÁUDIO GONÇALVES DE CASTRO (HOSPITAL UNIVERSITÁRIO DE BRASÍLIA)