



17º CONGRESSO BRASILEIRO DE
**Pneumologia
Pediátrica**

100% PRESENCIAL

3 a 6 de agosto de 2022
~ Rio de Janeiro | RJ ~
Hotel Windsor Barra

Trabalhos Científicos

Título: Uso De Modulador Da Cftr: Experiência Positiva Com Impacto Na Qualidade De Vida

Autores: MARTA CRISTINA DUARTE (UFJF), EMANUELLE FERREIRA XAVIER (UFJF), LUCÉLIA PAULA CABRAL SCHMIDT (UFJF), VITOR FERNANDES ALVIM (UFJF), PRICILA MARA NOVAIS DE OLIVEIRA (HU-UFJF), CÉLIO DE BARROS BARBOSA (UFJF)

Resumo: A Fibrose Cística (FC) é doença genética, com acometimento multissistêmico e sobrevida reduzida. Os moduladores da CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Regulator) são a esperança no tratamento dessa doença rara e letal. "Descrição do caso: Paciente, 18 anos, masculino, desde 3 meses de idade internado diversas vezes por pneumonia, broncoespasmo e invaginação intestinal cirúrgica. Aos 9 meses, diagnosticado FC pelo teste do suor. Análise genética: homozigose para a mutação F508del. Cultura de escarro: infecção pulmonar crônica por *S. aureus* e *P. aeruginosa*. Em 2019, piora expressiva do quadro respiratório (VEF1: 29%) e nutricional (IMC: 14,6), sendo submetido a gastrostomia e iniciado oxigenioterapia domiciliar. Indicado transplante pulmonar e recusado pelo paciente. Em 2022, realizou embolização de artérias brônquicas por hemoptise secundária a bronquiectasias difusas. Iniciado terapia com medicamento similar modulador da CFTR, TRIXACAR® (Elexacaftor, Tezacaftor, Ivacaftor) e queixou dor torácica. Após 7 dias, paciente evoluiu de forma surpreendente, saturação 95% em ar ambiente, redução significativa da secreção brônquica e melhora do estado de ânimo. Após 15 dias, a espirometria revela VEF1: 40%, saturação 96% em ar ambiente, realiza caminhadas, musculação e corrida ao ar livre. "Discussão: A eficácia clínica dos moduladores, restaurando a função da proteína CFTR foi rapidamente notada, com repercussão positiva na qualidade de vida em curto período de tempo. Não se observou efeitos colaterais agudos das drogas. "Comentários finais Foram verificados os efeitos imediatos da combinação tripla de drogas moduladoras de CFTR em pacientes FC homozigotos para a mutação F508del, com efeitos promissores."Agradecimento: A toda equipe multidisciplinar que trabalha com tanta dedicação no cuidado dos fibrocísticos