



18º CONGRESSO BRASILEIRO DE
**Pneumologia
Pediátrica**
Porto Alegre - RS

**10, 11 E 12 DE
ABRIL DE 2025**

Centro de Eventos da PUCRS
Av. Ipiranga, 6681 - Partenon, Porto Alegre - RS



Trabalhos Científicos

Título: Impacto Do Uso De Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor Na Qualidade De Vida De Pacientes Pediátricos Com Fibrose Cística Em Um Centro Especializado Do Rio Grande Do Sul

Autores: LAISSA HARUMI FURUKAWA (PUCRS), JULIA GIFFONI KREY (PUCRS), MIGUEL ÂNGELO UFLACKER LUTZ DE CASTRO (PUCRS), MARIA PAULA DE CARLI HANEL (PUCRS), LEONARDO ARAUJO PINTO (PUCRS)

Resumo: A fibrose cística (FC) é uma doença genética autossômica recessiva, com acometimento multissistêmico, causada pela mutação do gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR). Os moduladores do gene CFTR, como o elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor (ETI) tem mostrado grande potencial em diminuir os sintomas e exacerbações da FC, aumentando, portanto, a sobrevida e qualidade de vida desses pacientes. "O objetivo deste estudo foi, portanto, coletar as perspectivas desses pacientes e familiares, após o início do tratamento com ETI, a fim de obter uma melhor compreensão das mudanças percebidas em sintomas respiratórios e impacto geral na qualidade de vida. "Trata-se de um estudo observacional analítico transversal. Foram coletados dados dos pacientes, por meio de um questionário on-line contendo 15 itens (incluindo 14 perguntas fechadas e 1 aberta) desenvolvido por pesquisadores da associação francesa "Vaincre la Mucoviscidose" (MARTIN C. Respir. Med. and Res., 2021) e traduzido por membros do grupo. O questionário foi enviado aos pais e responsáveis dos pacientes que foram tratados com elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor. As respostas fechadas foram analisadas quantitativamente, por meio de histograma, a questão aberta foi analisada por meio de abordagem da teoria fundamentada."Participaram do estudo 14 pacientes. A amostra foi composta por indivíduos de 8 a 18 anos de idade, sendo destes 8 do sexo masculino e 7 do sexo feminino. A maioria dos pacientes possui mutação f580del em ambos os alelos (61,5%) e o tempo médio de uso do ETI foi de 7 meses. Foi relatado um impacto perceptível na melhora do bem-estar geral (100%), diminuição de sintomas respiratórios (100%) e diminuição no uso de tratamento sintomático (fisioterapia torácica, nebulização, antibióticos e outros medicamentos orais) e número de exacerbações (92,3%). "Após o início do tratamento com ETI, os pacientes pediátricos com FC relataram consideráveis efeitos positivos em importantes esferas da vida, como: saúde física, mental e relacionamentos interpessoais. Dessa forma, há um otimismo relacionado às perspectivas futuras e à qualidade de vida desses pacientes, os quais tiveram seus sintomas respiratórios reduzidos com o tratamento.