Trabalhos Científicos

Título: Uso Dos Moduladores De Cftr (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor) Em Crianças Com Fibrose Cística: Experiência De Um Hospital Público Universitário.

Autores: GUILHERME DA SILVA MARTINS (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), GABRIELA SPESSATO (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), MAITÊ MILAGRES SAAB (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), TAYNA PADILHA MIRANDA (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), JULIANA GOLÇALVES PRIMON (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), THALITA GONÇALVES PICCIANI (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), ANGÉLICA FONSECA NORIEGA (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), LARISSA MACHADO CARVALHO (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), TARCIS MURILO SARTOR (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), ROBERTA CORRÊA DA CUNHA (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), NELSON AUGUSTO ROSÁRIO FILHO (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), CARLOS ANTÔNIO RIEDI (UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), LAURA MARIA LACERDA ARAÚJO (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), CARLOS ROBERTO LEBARBENCHON MASSIGNAN (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ), DÉBORA CARLA CHONG-SILVA (HOSPITAL DE CLINICAS DA UNIVERSIDADE FEDERAL DO PARANÁ)

Resumo: A fibrose cística é uma doença genética que afeta a proteína CFTR e consequentemente diminuição na secreção de cloretos, tornando as secreções mais espessas. Os moduladores de CFTR agem corrigindo a estrutura da proteína e potencializando seu efeito, com perspectiva de alterar o curso da doença e da sobrevida de pacientes adultos e pediátricos com fibrose cística (FC). É uma classe de medicamentos desenvolvidos recentemente e nosso objetivo é compartilhar a experiência adquirida. "Objetivo: Avaliar os resultados clínicos dos pacientes em uso da combinação tripla Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor, de um ambulatório de fibrose cística pediátrico, avaliando ganho de peso, cloro no suor, culturas de orofaringe e escarro, número de exacerbações, número de hospitalizações, provas de função hepática e eventos adversos da medicação. "Relato de casos de crianças com FC, acompanhadas em um serviço especializado, em uso da combinação Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor (ETI). Avaliaram-se desfechos clínicos, laboratoriais e funcionais, em alguns casos, buscando observar eficácia e segurança do modulador. "Trinta e duas crianças em uso de ETI foram avaliadas. Notou-se substancial redução dos níveis de cloretos no suor, redução das exacerbações, redução das hospitalizações, menos necessidade de medicações inalatórias e incremento no ganho ponderal. Sete pacientes apresentaram eventos adversos leves, sendo necessário em 1 caso, a interrupção e em outro a redução da dose do modulador. Houve 1 óbito entre as crianças acompanhadas, mas não foi constatada relação com o uso do modulador. "A combinação tríplice de moduladores ETI, por agir de forma abrangente no defeito da CFTR, tem mostrado desfechos clínicos e laboratoriais nunca observados, até o momento, com outros fármacos utilizados para o manejo da FC. Foi bem aceito e apresentou eventos adversos leves na população pediátrica. Um acompanhamento de longo prazo, com monitorização adequada é necessário, para que se possa consolidar o ETI como a intervenção medicamentosa que mudará a história da FC no mundo.