



19º 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 Da Terapia Com Moduladores Cftr Em Pacientes Com Fibrose Cística: Um Estudo De Coorte Retrospectivo No Sul Do Brasil

**Autores:** LAURA MENESTRINO PRESTES (ESCOLA DE MEDICINA, PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DO RIO GRANDE DO SUL (PUCRS)), MARIA FERNANDA GONÇALVES MEIRELLES FERNANDES (ESCOLA DE MEDICINA, PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DO RIO GRANDE DO SUL (PUCRS)), LAURA DE CASTRO E GARCIA (ESCOLA DE MEDICINA, PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DO RIO GRANDE DO SUL (PUCRS)), LUCAS MONTIEL PETRY (ESCOLA DE MEDICINA, PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DO RIO GRANDE DO SUL (PUCRS)), MARCOS OTÁVIO BRUM ANTUNES (ESCOLA DE MEDICINA, PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DO RIO GRANDE DO SUL (PUCRS)), LEONARDO ARAÚJO PINTO (ESCOLA DE MEDICINA, PONTIFÍCIA UNIVERSIDADE CATÓLICA DO RIO GRANDE DO SUL (PUCRS))

**Resumo:** A fibrose cística (FC) é uma doença genética autossômica recessiva caracterizada pela disfunção do regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR), levando ao acúmulo de secreções viscosa nas vias aéreas, com conseqüente declínio progressivo da função pulmonar e complicações respiratórias crônicas. Embora os efeitos da terapia com moduladores do CFTR tenham sido amplamente documentados em países de alta renda, a literatura proveniente de contextos de países de renda média é limitada. O objetivo deste estudo foi avaliar o impacto da terapia tripla com Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor na função pulmonar e nas alterações radiológicas nas tomografias de tórax em pacientes com FC tratados em um país de renda média. "Avaliar o efeito da terapia tripla com Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor sobre a função pulmonar, quantificada pelo Volume Expiratório Forçado no primeiro segundo (FEV1), e as alterações radiológicas observadas nas tomografias de tórax em pacientes com FC tratados em um centro pediátrico no Sul do Brasil." Trata-se de um estudo de coorte retrospectivo, envolvendo pacientes com diagnóstico de FC, com idade superior ou igual a seis anos, portadores da mutação F508del ou outras mutações do CFTR aprovadas pela Administração de Alimentos e Medicamentos dos Estados Unidos (FDA) para o uso da terapia tripla. Os pacientes foram tratados com moduladores do CFTR por meio do Sistema Único de Saúde (SUS). Foram coletados dados sobre a função pulmonar, por meio da espirometria com FEV1, e imagens de tomografia de tórax, entre 3 e 12 meses após o início da terapia. A análise estatística foi realizada utilizando-se testes t pareados e estimativas de tamanho de efeito. "O estudo incluiu 31 pacientes atendidos em um centro pediátrico especializado em FC no sul do Brasil. A média do FEV1 antes do tratamento era de 90,61% ( $\pm 19,75$ ), aumentando para 105,26% ( $\pm 19,06$ ) após o início da terapia tripla ( $p < 0,01$ ). A melhoria média no FEV1 foi de 14,65%, com alguns pacientes apresentando aumentos superiores a 40%. Além disso, três pacientes com tomografias de tórax realizadas após 12 meses de acompanhamento mostraram melhorias significativas nos escores de Brody e nas bronquiectasias, sugerindo uma melhora nas alterações estruturais pulmonares." Os resultados deste estudo indicam melhorias substanciais na função pulmonar e nas lesões pulmonares avaliadas pelas tomografias de tórax após a introdução da terapia tripla com Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor. No entanto, observou-se uma variabilidade significativa na resposta ao tratamento entre os pacientes, o que ressalta a importância de identificar os fatores que influenciam essa diferença, visando personalizar a abordagem terapêutica. Além disso, embora os efeitos da terapia tripla sobre a obstrução das vias aéreas na FC sejam promissores, sua eficácia pode variar consideravelmente entre os indivíduos.