



Trabalhos Científicos

Título: Segurança Do Tratamento Com Terapia Enzimática Via Intraventricular Para Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2

Autores: LUDMILA PERES GARGANO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), CAROLINA ZAMPIROLI DIAS (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), CAROLINA MARIA FONTES FERREIRA NADER (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM SAÚDE DA CRIANÇA E DO ADOLESCENTE, UFMG), FRANCISCO DE ASSIS ACURCIO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), JULIANA ALVARES-TEODORO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), AUGUSTO AFONSO GUERRA JUNIOR (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG)

Resumo: Introdução: A lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2 (CLN2) é uma doença autossômica, recessiva e neurodegenerativa. Acomete crianças de 2 a 4 anos e caracteriza-se por perda progressiva da visão, epilepsia e declínio das funções cognitivas e motoras. Objetivo: Avaliar a evidência da segurança da alfacerliponase (uma enzima humana recombinante por via intraventricular cerebral), que foi recentemente aprovada pelas principais agências reguladora para o tratamento medicamentoso da CLN2. Métodos: Foi realizada uma busca sistemática de evidência da literatura nas bases de dados Pubmed e Cochrane sobre a alfacerliponase para o tratamento da CLN2. De seis artigos recuperados, apenas um relatava os resultados de segurança da alfacerliponase. Resultados: Um estudo open-label, sem comparador, multicêntrico avaliou a eficácia e segurança da alfacerliponase em 24 pacientes. Todos os pacientes que receberam o tratamento apresentaram pelo menos um evento adverso (EA). Os EA mais comuns foram: convulsões (96), febre (71), vômitos (63), reações de hipersensibilidade (63), infecção do trato respiratório superior (54), nasofaringite (42) e rinite (42). 20 pacientes (83) relataram um total de 55 eventos adversos sérios, sendo que 11 destes foram considerados pelos avaliadores como sendo relacionados ao medicamento do estudo ou ao dispositivo intraventricular (reservatório Ommaya). Doze pacientes (50) apresentaram 34 eventos adversos relacionados ao dispositivo intraventricular, incluindo infecções relacionadas ao dispositivo detectadas no líquido cefalorraquidiano em dois pacientes, cultura de uma amostra de um paciente com Staphylococcus epidermidis, e dois episódios de infecção por Propionibacterium acnes por outro paciente. Conclusão: Apesar da aprovação das principais agências reguladoras pelos resultados iniciais favoráveis quanto à eficácia, o estudo avaliado relata problemas quanto à segurança do medicamento, no que concerne a administração do medicamento via cateter intraventricular cerebral, a alta frequência de eventos adversos e a ocorrência de eventos adversos graves.