Trabalhos Científicos

Título: Eficácia Da Alfa-Asfotase Na Hipofosfatasia De Início Pediátrico

Autores: CAROLINA MARIA FONTES FERREIRA NADER (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM SAÚDE DA CRIANÇA E DO ADOLESCENTE, UFMG), LUCAS LIMA TÔRRES (CCATES/ FACULDADE DE FARMÁCIA UFMG), PÂMELA SANTOS AZEVEDO (CCATES/ FACULDADE DE FARMÁCIA UFMG), CAROLINA ZAMPIROLLI DIAS (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), ISABELLA FIGUEIREDO ZUPPO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), NATÁLIA DIAS BRANDÃO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), LUDMILA PERES GARGANO (CCATES/ PROGRAMA DE PÓS-GRADUAÇÃO EM MEDICAMENTOS E ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA, UFMG), NÉLIO GOMES RIBEIRO JÚNIOR (CCATES), FRANCISCO DE ASSIS ACÚRCIO (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 JR. (CCATES)

Resumo: Introdução: A terapia com alfa-asfotase (uma fosfatase alcalina humana recombinante), foi desenvolvida para tratar hipofosfatasia, que cursa com alterações ósseas, raquitismo, osteomalácia, disfunção respiratória, podendo ser letal em formas graves, de início perinatal/lactente. Objetivo: A alfa-asfotase é eficaz para o tratamento das manifestações ósseas e suas consequências em pacientes com hipofosfatasia de início pediátrico? Métodos: Foi realizada busca sistematizada da literatura nas bases de dados PubMed e Cochrane, visando responder ao objetivo da pesquisa. Foram utilizados os descritores ´asfotase alfa´ [Supplementary Concept] AND ´Hypophosphatasia´[Mesh], e seus sinônimos indexados. Resultados: A maior parte dos artigos recuperados consistiram em ensaios clínicos de fase II. Selecionou-se dois artigos que possuíam melhores evidências: 1- ensaio clínico de fase III realizado em 12 crianças de 6-12 anos com lesões provenientes da hipofosfatasia com cinco anos de seguimento, 2- ensaio clínico multicêntrico de fase IV em 11 hospitais, com 13 pacientes apresentando hipofosfatasia de início pediátrico realizado por 24 meses. Os ensaios clínicos avaliaram a eficácia do tratamento com alfa-asfotase em pacientes com hipofosfatasia de início pediátrico. Os resultados mostraram melhora radiográfica da mineralização óssea, com diminuição da média do escore de gravidade do raquitismo, do início do tratamento para 12 e 24 semanas, de -3,4 ± 3,4 (p=0,016) e -5,4 ± 2,7 (p=0,002), respectivamente. Houve melhora do desenvolvimento motor global (p=0,003), do status respiratório e da taxa de sobrevivência, sendo 100, na hipofosfatasia grave perinatal. As alterações esqueléticas melhoraram após seis meses do tratamento iniciado em crianças de 6-12 anos (p=0,001), e persistiu por até cinco anos. Conclusão: Os ensaios clínicos encontrados demonstraram a eficácia no uso da alfa-asfotase, porém como a amostra era limitada e heterogênea, são necessários mais estudos com amostra maior e mais homogênea para determinar os grupos beneficiados