Pneumologia | Casuística / Investigação

CO-031 - (23SPP-12976) - IMPACTO DOS MODULADORES DA CFTR NA EVOLUÇÃO CLÍNICA DE CRIANÇAS COM FIBROSE QUÍSTICA

Beatriz Andrade[1]; Mariana Nunes[1]; Carolina Constant[2,3]; Luísa Pereira[2,3]

1 - Serviço de Pediatria, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte; 2 - Unidade de Pneumologia Pediátrica, Centro de Referência de Fibrose Quística, Departamento de Pediatria, Hospital de Santa Maria, Centro Hospitalar Universitário Lisboa Norte; 3 - Clínica Universitária de Pediatria, Faculdade de Medicina, Universidade de Lisboa

Introdução e Objectivos

Dados nacionais da eficácia dos moduladores da CFTR (*cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*) são ainda escassos.

Objetivo: avaliar o efeito dos moduladores da CFTR [lumacaftor/ivacaftor (LUMA/IVA) e ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor (IVA/TEZA/ELEXA)] em outcomes clínicos de crianças com Fibrose Quística.

Metodologia

Colheita retrospetiva de dados [função pulmonar (FP), índice de massa corporal (IMC), nº internamentos] de crianças sob moduladores da CFTR do nosso centro. Reunidos dados antes do início da terapêutica, às 12-24 e 48 semanas de tratamento de três grupos: LUMA/IVA (grupo O), IVA/TEZA/ELEXA (grupo K) e IVA/TEZA/ELEXA após período sob LUMA/IVA (grupo OK).

Resultados

Identificámos 32 doentes; grupo O 11 crianças [idade média início (IMI) 6,7A], grupo K 8 crianças (IMI 12,4A), grupo OK 13 crianças (IMI 10,4A). Quanto à FP, a média de valor de FEV1(%p) basal/às 12-24sem/após 48sem foi: grupo O 101,7/96,5/94,4; grupo K 77/96,5/106; grupo OK pré-LUMA/IVA 76,5; pré-IVA/TEZA/ELEXA 78,6; às 12-24sem 98,8; após 48sem 99,8. Para o IMC (Kg/m2), valor basal/após 24-48sem, grupo O 15,4/15,9; grupo K 17,8/20,1; grupo OK 16,4/19,7. A média do nº de internamentos no ano anterior ao início da terapêutica foi: grupo O 0,18; grupo K 0,25; grupo OK pré-LUMA/IVA 0,54; pré-IVA/TEZA/ELEXA 0,23. Nenhum dos doentes foi internado no ano seguinte. Dois casos de aumento das transaminases e dois de *rash* autolimitado com LUMA/IVA, dois casos de elevação das transaminases e um de ansiedade e depressão que levou à interrupção do tratamento com IVA/ELEXA/TEZA.

Conclusões

Com o início dos moduladores da CFTR houve melhoria clínica global e ausência de internamentos. Os efeitos adversos foram *minor* e autolimitados.

Palavras-chave : Moduladores CFTR, Fibrose quística, função respiratória, índice de massa corporal, crianças