CO-055 - (20SPP-9676) - TRATAMENTO COM LUMACAFITOR/ IVACAFITOR NA PEDIATRIA – EXPERIÊNCIA DO CENTRO DE REFERÊNCIA DE FIBROSE QUÍSTICA DO CHUP

Rita Gomes¹; Beatriz Teixeira¹; Ana Ramos¹; Telma Barbosa¹

1 - Centro Materno Infantil do Norte, Centro Hospitalar Universitário do Porto

Introdução e Objectivos

Os fármacos moduladores do *CFTR* representaram uma mudança de paradigma na abordagem da fibrose quística (FQ). Destes, o lumacaftor/ ivacaftor (*Orkambi*®) exhibe benefícios significativos: diminuição das exacerbações pulmonares, do número de internamentos e do cloreto no suor (-24,8 mmol/L); melhoria do FEV₁(+2,4%), do IMC e da qualidade de vida. Em Portugal, este fármaco foi implementado através de um programa de acesso precoce, que obedece a critérios específicos e inclui doentes com maior gravidade clínica. O objetivo dos autores foi avaliar a eficácia e segurança deste fármaco numa amostra pediátrica.

Metodologia

Estudo observacional prospetivo ao longo de 2 anos e 7 meses. Dados demográficos, clínicos e laboratoriais consultados através do Processo Clínico Eletrónico. Análise estatística realizada no *SPSS Statistics*, versão 25.

Resultados

Foram estudados 5 adolescentes, idade média 14,8 anos, a maioria do sexo feminino (4:1), todos com mutação deltaF508 em homozigotia. A duração média do tratamento foi 20,82 meses (9,49 a 26,41 meses). Dos parâmetros analisados, salienta-se, após início de terapêutica: redução do número de internamentos em 3 doentes; aumento médio de 2,6 mg/cm² do IMC e de 0,98 do z-score; diminuição de 38,8 mmol/L do cloreto no suor; diminuição média do FEV₁ de 5,52% (-17 a +5,3%). Não ocorreram efeitos laterais significativos, verificando-se diminuição média do CPK de 12,2 U/L.

Conclusões

Os resultados obtidos corroboram a literatura, destacando-se a diminuição do número de internamentos e do cloreto no suor e o aumento do IMC/z-score. Apesar do FEV₁ ter, em média, diminuído, verificou-se um aumento de 5,3% num doente e as reduções mais significativas corresponderam a casos de maior gravidade clínica.

Palavras-chave : Fibrose Quística, Orkambi