

B2 - Estudo clínico retrospectivo da alfatiglicerase no Hemorio

Vivian Rotman¹; Patrícia M. N. de Oliveira¹; Hugo Defendi¹; Tatiana Guimarães de Noronha¹; Deborah Araújo da Conceição¹; Janaína Reis Xavier¹; Maria de Lourdes de Sousa Maia¹; Renata de Souza Cravo².

1 - Bio-Manguinhos/FIOCRUZ;

2 - Instituto Estadual de Hematologia Arthur Siqueira Cavalcanti /Hemorio.

Introdução:

O Hemorio é a unidade de referência no tratamento de doença de Gaucher (DG) no Rio de Janeiro/Brasil. Bio-Manguinhos vem liderando processos de desenvolvimento conjunto de medicamentos biológicos, incluindo a transferência de tecnologia do biofármaco alfatiglicerase. A alfatiglicerase é uma terapia de reposição enzimática (TRE), produzida por um método novo, baseado na cultura de células vegetais (cenoura) e tem sido utilizado no Brasil desde outubro de 2010, no tratamento da DG.

Objetivo:

Avaliação dos parâmetros clínicos e laboratoriais de eficácia e de segurança da alfatiglicerase.

Metodologia:

Estudo retrospectivo, com base na avaliação de prontuários de pacientes com DG tipo 1, tratados com alfatiglicerase no Hemorio. Os parâmetros foram avaliados antes e durante a utilização de alfatiglicerase. Para análise de eficácia, os pacientes foram divididos em 2 grupos: grupo A (n=13), dos que iniciaram alfatiglicerase em 2010 e utilizam até hoje e grupo B (n=18), de pacientes que usaram a alfatiglicerase mas não utilizam atualmente. Para o grupo B a eficácia foi avaliada apenas para aqueles que utilizaram o medicamento por um período mínimo de 12 meses (n=9). Avaliação de segurança foi feita em conjunto (grupos A+B).

Resultados:

No grupo A, o tempo médio de uso da alfatiglicerase por participante foi de 3,6 ($\pm 0,05$) anos. O genótipo mais comum foi o L444P/N370S, presente em 46% dos pacientes. Ao comparar a evolução pareada do fígado e baço, observou-se que 46% dos participantes mantiveram os dois parâmetros estáveis. A

média da hemoglobina na avaliação de 1 ano antes do início da alfatiglicerose foi de 14 g/dl (+/- 1,5) e a média da medida mais recente (2013-2014) durante o uso da alfatiglicerose foi de 13,4 g/dl (+/- 2,2). Não houve variação significativa entre os valores médios de plaquetas, antes e durante o uso de alfatiglicerose. No grupo B, o tempo médio de uso da alfatiglicerose por participante foi de 3,6 (\pm 0,05) anos. O genótipo mais comum foi o N370S presente em 39% dos pacientes. Com relação ao fígado, nos 9 pacientes com esta avaliação, 6 (67%) mantiveram estável o volume hepático à palpação, 2 (22%) apresentaram aumento e em 1 (11%) houve diminuição. Em relação ao baço, 4 pacientes (44%) eram esplenectomizados. Entre os 5 em que foi analisado o volume esplênico, 2 (40%) mantiveram este parâmetro estável, em 1 (20%) houve aumento e em 2 (40%) diminuição. No que concerne medidas de Hb e plaquetas, não foram observadas alterações significativas nos valores antes e durante o uso de alfatiglicerose. Entre os eventos adversos esperados, os mais frequentes foram os musculoesqueléticos e de tecido conjuntivo. Em 3 pacientes (9,7%) houve necessidade de interrupção do tratamento por reação infusional.

Conclusão:

A alfatiglicerose apresentou perfis de eficácia e segurança favoráveis.

Palavras-Chave: Alfatiglicerose; Doença de Gaucher; Estudo clínico retrospectivo