



Evento	Salão UFRGS 2013: SIC - XXV SALÃO DE INICIAÇÃO CIENTÍFICA DA UFRGS
Ano	2013
Local	Porto Alegre - RS
Título	Alvos Terapêuticos Hematopoiéticos na Doença de Gaucher: Avaliação da Coorte de Pacientes do Centro de Referência do Rio Grande do Sul
Autor	MATHEUS BRUNSTEIN CAMARGO
Orientador	IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ
Instituição	Universidade Federal do Rio Grande do Sul

INTRODUÇÃO: A avaliação da eficácia do tratamento de pacientes com Doença de Gaucher (DG) tem como foco os alvos terapêuticos e o conceito de doença residual mínima, os quais, por sua vez, levam em consideração os sistemas afetados pela doença e que são passíveis de melhora com o tratamento específico (terapia de reposição enzimática - TRE ou de redução de substrato - TRS), entre eles os níveis de hemoglobina e plaquetas.

OBJETIVOS: Avaliar a evolução dos níveis de hemoglobina e plaquetas dos pacientes com Doença de Gaucher em acompanhamento no Centro de Referência de Doença de Gaucher do Rio Grande do Sul (CRDG-RS) e que não foram submetidos à esplenectomia antes do início da TRE/TRS.

MATERIAIS E MÉTODOS: Estudo retrospectivo, longitudinal, com amostragem por conveniência. Em relação à hemoglobina, tomou-se como alvo o valor ≥ 12 g/dL em indivíduos do sexo masculino, e ≥ 11 em mulheres e crianças, e o tempo para que este nível seja atingido (até 2 anos de tratamento). Quanto às plaquetas, o alvo foi, para pacientes com trombocitopenia moderada, a concentração ≥ 120.000 U/ μ L após 2 anos de tratamento, ou o seu aumento em 1,5 vezes em 1 ano; para pacientes com trombocitopenia grave, considerou-se como alvo o aumento da concentração em 1,5 vezes após 1 ano de tratamento, ou em 2 vezes após 2 anos (*Pastores et al, Semin Hematol. 2004 Oct e Weinreb et al, Am J Hematol. 2008*).

RESULTADOS: Entre os 40 pacientes acompanhados pelo CRDG-RS e que estão em tratamento com Terapia de Reposição Enzimática ou Terapia de Redução de Substrato, seis são esplenectomizados, dois apresentavam níveis normais de hemoglobina e plaquetas quando do início do tratamento, quatro possuíam tempo de tratamento inferior a um ano, e dois não iniciaram tratamento, sendo, portanto excluídos da análise. A amostra, portanto, foi composta por 26 pacientes (DG tipo I= 25, tipo III = 1; sexo masculino= 14), com idade atual entre 15 e 65 anos, todos em TRE ou TRS (mediana de tempo de tratamento= 10 anos e 1 mês). Inicialmente, os pacientes foram tratados com Imiglucerase, mas atualmente seis utilizam Alfataliglicerase, um utiliza Alfavelaglicerase, um utiliza Eliglustate e os demais, Imiglucerase. A dose de início de tratamento foi 15UI/kg/inf para 7 (30,4%) pacientes; nos demais, a dose foi ≥ 30 UI/kg/inf. Catorze pacientes apresentavam anemia ao início do tratamento: nesse grupo, todos os pacientes iniciaram TRE com dose ≥ 30 UI/kg/inf; onze (78,6%) atingiram o alvo terapêutico em uma mediana de tempo de 12 meses; entre os pacientes que não atingiram o alvo, 2 são do sexo feminino, e todos iniciaram tratamento com doses ≥ 30 UI/kg/inf. Uma das pacientes apresenta baixa adesão ao tratamento, enquanto a outra apresenta esplenomegalia severa.

Vinte e dois pacientes apresentavam trombocitopenia ao início do tratamento: quinze (68,2%) começaram o tratamento com dose ≥ 30 UI/kg/inf; nove (40,9%) atingiram o alvo em uma mediana de tempo de 12 meses (mediana de dose de início de tratamento = 30UI/kg/inf); entre os pacientes que não atingiram o alvo, 9/12 (75%) utilizaram dose ≥ 30 UI/kg/inf.

CONCLUSÃO: Nossos dados estão de acordo com a literatura. Apesar de a trombocitopenia ser mais frequente na Doença de Gaucher que a anemia, a concentração de plaquetas no sangue segue como um alvo mais difícil de ser alcançado, e sua melhora, na nossa amostra, não parece ter relação direta com a dose de enzima utilizada pelo paciente.