

IMPACTOS DA TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA EM CRIANÇAS COM MUCOPOLISSACARIDOSE DO TIPO IV A

Autor(a): Gabriella Parente Sampaio¹

Coautor(a): Karla Karine Freitas Félix¹

¹ Discente da Universidade Estadual do Ceará; Fortaleza - CE

Introdução: A mucopolissacaridose do tipo IV A (MPS IV A) é uma doença autossômica recessiva de armazenamento lisossômico causada pela deficiência na produção da enzima GALNS. O diagnóstico precoce da MPS IV A em crianças possibilita um melhor prognóstico mediante a Terapia de Reposição Enzimática (TRE). Dessa forma, sendo a MPS IV A uma doença heterogênea, progressiva e multissistêmica, a justificativa deste trabalho fundamenta-se em demonstrar como a TRE pode modificar a qualidade de vida do paciente. **Objetivos:** Analisar como o tratamento com TRE impacta as funções sistêmicas de crianças com MPS IV A, de forma a auxiliar na redução da morbimortalidade. **Métodos:** Trata-se de pesquisa bibliográfica conduzida nas bases de dados EMBASE, MEDLINE e LILACS, com a utilização dos descritores "enzyme replacement", "child" e "mucopolysaccharidosis IV", combinados por meio do operador booleano "AND". Os critérios de inclusão foram artigos publicados no período de 2018 a 2023, gratuitos e que se adequaram aos objetivos pretendidos. Foram excluídas revisões. Após a triagem por meio dos critérios definidos, a amostra final foi composta por 5 artigos. **Resultados:** Observou-se que o início da TRE ocorre de forma tardia, com uma média de idade de 9,8 anos. Essa conjuntura está relacionada, em parte, à dificuldade no diagnóstico e no acesso ao tratamento. Nos estudos analisados, identificou-se um padrão em que todos os pacientes possuíam alguma anomalia esquelética ou articular e que, quando submetidos à TRE, apresentaram melhoras na mobilidade articular, mas não tiveram alterações significativas nas curvas de crescimento, exceto quando as crianças recebiam tratamento precocemente, no qual poderiam manifestar algum benefício. Outros parâmetros, como função cardiorrespiratória, apresentaram melhoras ou se mantiveram estáveis, com destaque para a manutenção da fração de ejeção ventricular e melhora no Teste de Caminhada de 6 Minutos (TCM6). Por fim, destaca-se que a descontinuidade da TRE, demonstrada em um estudo, levou ao aumento de dor, fadiga, sugestão de cirurgias

Realização:



Patrocínios:



e alterações esqueléticas, bem como verificou que a retomada ao tratamento não é capaz de reverter os danos causados pela sua interrupção. **Conclusão:** Os dados confirmaram que o diagnóstico precoce ocasiona uma melhor ação da TRE na MPS IV A. Ressalta-se também a necessidade de se realizarem mais estudos que possibilitem uma melhor compreensão do impacto da TRE, a curto e a longo prazo, nas crianças.