

IMPACTO DA FREQUÊNCIA DE ATAQUES DE PORFIRIA HEPÁTICA AGUDA NOS DESFECHOS RELATADOS PELO PACIENTE: RESULTADOS DO ESTUDO *PORPHYRIA WORLDWIDE PATIENT EXPERIENCE RESEARCH (POWER)*

AZEVEDO, Fernanda¹; DICKEY, Amy², WHEEDEN, Kristen³; BURRELL, Sue⁴; FALCHETTO, Rocco⁵; BARMAN-AKSOZEN, Jasmin^{5,6}; BULKLEY, Alison⁷; MENINGER, Stephen⁸; LOMBARDELLI, Stephen⁹; NANCE, Danielle¹⁰

FILIAÇÕES: ¹Anylam Pharmaceuticals Brazil, ²Massachusetts General Hospital, Boston, MA, USA; ³American Porphyria Foundation, Bethesda, MD, USA; ⁴Global Porphyria Advocacy Coalition, Durham City, UK; ⁵Swiss Society for Porphyria, Zurich, Switzerland; ⁶Stadtspital Waid and Triemli, Institute of Laboratory Medicine, Zurich, Switzerland; ⁷Kantar Health, New York, NY, USA; ⁸Anylam Pharmaceuticals, Cambridge, MA, USA; ⁹Anylam Pharmaceuticals, Maidenhead, UK; ¹⁰Banner Health, Gilbert, AZ, USA

RESUMO

Introdução: A porfiria hepática aguda (PHA) é um grupo de doenças genéticas raras da biossíntese do heme, caracterizada por ataques de dor neurovisceral.

Objetivos: Avaliar seu impacto nos desfechos relatados pelo paciente com ataques esporádicos ou recorrentes.

Métodos: Pacientes adultos com >1 ataque de PHA nos últimos 2 anos ou em tratamento profilático, sem uso de givosirana, participaram de uma pesquisa on-line para avaliar a presença de sintomas crônicos, ansiedade e depressão em dois subgrupos, ataques esporádicos (taxa de ataque anualizada [TAA], < 6 nos últimos 2 anos) e ataques recorrentes (TAA, >= 6)

Resultados: Dos 92 pacientes que completaram a pesquisa, 55 (60%; idade média, 40,3 anos) relataram ataques esporádicos e 37 (40%; idade média, 42,3 anos) ataques recorrentes. A maioria dos pacientes era do sexo feminino (esporádico, 92,7%; recorrente, 86,5%). Em relação a saúde mental, 52,7% dos pacientes com ataques esporádicos apresentaram pontuação PHQ-8 >=10, indicando depressão moderada a grave, versus 67,6% do grupo recorrente; e 43,6% e 56,8% dos pacientes nos grupos esporádico e recorrente, relataram uma pontuação GAD-7 >=10, indicando ansiedade moderada a grave. A dor foi um dos principais sintomas crônicos relatados nos grupos esporádico (50,9%) e recorrente (59,5%). A fraqueza muscular foi mencionada como um dos 3 sintomas crônicos com impacto moderado a intenso ao limitar atividades diárias em, 83,3% daqueles no grupo esporádico e 90,6% no grupo recorrente.

Conclusões: A PHA demonstrou impacto substancial na qualidade de vida em ambos os grupos, porém este parece ter sido maior para os pacientes com ataques recorrentes.