

**A EXPERIÊNCIA DO CENTRO DE REFERÊNCIA DO RIO GRANDE DO SUL COM A ENZIMA TALIGLUCERASE ALFA PARA PACIENTES ADULTOS COM DOENÇA DE GAUCHER TIPO I**

SUZANA DONEDA MITTELSTADT; ALÍCIA D. DORNELLES; DIVAIR DONEDA; FILIPPO VAIRO; TACIANE ALEGRA; TATIÉLE NALIN; TATIANE VIEIRA; LISIANE LEAL; BÁRBARA KRUG; PAULO D. PICON; CRISTINA B NETTO; IDA V. D. SCHWARTZ

A Doença de Gaucher (DG) caracteriza-se pela heterogeneidade clínica. O tratamento inclui a terapia de reposição enzimática (TRE). A primeira enzima utilizada foi a alglucerase. Ela foi substituída pela imiglucerase (imi), mas, graças à falta dessa no mercado, o Ministério da Saúde (MS) adquiriu, no final de 2010, outra enzima similar: taliglucerase alfa (tali- $\alpha$ ). OBJETIVOS: Avaliar a experiência do Centro de Referência do Rio Grande do Sul (CRDG) no tratamento de DG tipo I com tali- $\alpha$ . MÉTODOS: Relato de 12 casos de pacientes (sexo masculino=6, média de idade=40,8 anos) que iniciaram TRE com tali- $\alpha$  após tratamento prévio com imi. A dose prescrita de tali- $\alpha$  foi semelhante a de imi (média: 21,6 UI/kg/inf). Todas as infusões ocorreram com filtro de 0,2 micra. Utilizou-se difenidramina como pré-medicação em 9 pacientes. RESULTADOS: Durante as 10 semanas de utilização da tali- $\alpha$  (mediana do número de infusões/paciente=3), 5 pacientes (41,6%) apresentaram reações à infusão: dor epigástrica, náusea e vômito (n=4, todos do sexo feminino em uso de anticoncepção hormonal); e hiperemia e prurido generalizado (n=1). De acordo com a intensidade da reação, alguns retomaram o uso da TRE logo após, outros interromperam naquele dia. Observou-se floculação nos frascos de infusão dos pacientes, sem relação com as reações; foi comunicado às agências competentes e interrompidas as infusões com tali- $\alpha$ , já que, ainda, não foi esclarecido o motivo da ocorrência de floculação. DISCUSSÃO/CONCLUSÃO: Embora não tenha ocorrido reações graves, o número foi superior ao apresentado pelos pacientes quando em uso de imi. Isso pode ser explicado pelas características farmacológicas da tali- $\alpha$  per se, ou por reação imunológica desencadeada pela troca de medicamento. Estudos adicionais são necessários.