

AVALIAÇÃO DA SEGURANÇA E EFICÁCIA DO TRATAMENTO COM IGF-1 SUBCUTÂNEO NAS ATAXIAS ESPINOCEREBELARES: UM ENSAIO CLÍNICO ABERTO

JONAS ALEX MORALES SAUTE; IRENE SANZ-GALLEGO, JOSMARLIN MEDINA-BÁEZ, LUIS VALMOR CRUZ PORTELA, LAURA BANNACH JARDIM, IGNACIO TORRES-ALEMAN, JAVIER ARPA

As ataxias espinocerebelares (SCAs) são um grupo de doenças neurodegenerativas autossômicas dominantes com curso letal e sem tratamento. O fator de crescimento semelhante à insulina tipo I (IGF-1) desempenha importante função neuromoduladora no sistema nervoso central, tendo sido demonstrado efeito neuroprotetor do tratamento com IGF-1 em modelos neurotóxicos e transgênicos de ataxia. Em humanos, o uso de IGF-1 já foi testado para diabetes mellitus tipo I e II e osteoporose, sem efeitos adversos significativos. Objetivo: Avaliar a segurança e eficácia do tratamento com IGF-1 subcutâneo em pacientes SCAs. Métodos: Realizamos um ensaio clínico aberto não-controlado prospectivo com o uso de IGF-1 s.c. (Increlex) 0.05mg/kg de 12/12h em pacientes com SCA3 e SCA7 provenientes do Hospital Universitario La Paz, Madrid, Espanha com duração de 2 anos. O desfecho primário era a mudança no escore de ataxia SARA nas avaliações que ocorriam de 4/4 meses em relação ao escore basal e a avaliação de segurança. Resultados: Foram avaliados 7 pacientes com SCA3 e 6 com SCA7. Um paciente com SCA7 morreu após 8 meses de avaliação por pneumonia. Houve redução no escore SARA nos pacientes com SCA3 ($p=0.0061$), sendo significativo apenas após 8 meses de tratamento (IC 95% 0.12-5.15, $p<0.05$). Não houve mudança no escore SARA dos pacientes com SCA7. Não foi observado efeito adverso significativo durante o estudo. Discussão: O tratamento com IGF-1 s.c. mostrou melhora no escore SARA em pacientes com SCA3 após 8 meses de tratamento, tendo estabilizado a progressão desta doença e da SCA7 no período de avaliação. Este estudo sugere que o tratamento com IGF-1 possa ser eficaz e seguro como tratamento de SCA3 e SCA7, devendo ser testado em ensaios clínicos randomizados com grandes amostras de pacientes.