

**ENSAIO CLÍNICO, DUPLO-CEGO, PLACEBO-CONTROLADO, PARA DETERMINAR A SEGURANÇA E A EFICÁCIA DO TRATAMENTO COM CARBONATO DE LÍTIO EM PACIENTES COM A DOENÇA DE MACHADO-JOSEPH (DMJ)**

Rui D'Ávila, Jonas Alex Morales Saute, Gabriele Nunes Souza, Aline Dutra Russo, Thais Lampert Monte, Raphael Machado de Castilhos, Artur Francisco Schumacher Schuh, Karina Carvalho Donis, Tailise Conte Gheno, Gabriel Vasata Furtado, Diogo Onofre Gomes de Souza, Maria Luiza Saraiva Pereira, Luiz Valmor Cruz Portela, Carlos Roberto de Mello Rieder, Laura Bannach Jardim

Introdução: A DMJ é uma doença autossômica dominante que leva a degeneração dos sistemas que controlam a coordenação motora, não havendo tratamento que mude sua progressão. Há evidências pré-clínicas de eficácia em modelos de ataxias espinocerebelares com o tratamento com Carbonato de Lítio (Lítio). Objetivos e Métodos: Estamos realizando um ensaio clínico randomizado fase IIb, duplo-cego, controlado por placebo, paralelo, para avaliar a segurança e eficácia do tratamento com Lítio (0,5-0,8 mEq/L) em pacientes com DMJ. O estudo tem duração prevista de 1 ano. O desfecho primário de 6 meses é a comparação entre o N total de eventos adversos por grupo (segurança) e, de 12 meses, a diferença entre a variação da escala NESSCA no período de estudo entre os grupos (eficácia). Outras escalas de ataxia, de depressão e de qualidade de vida; e marcadores bioquímicos serão utilizados como desfechos secundários. Registro no ClinicalTrials.gov, NCT01096082. Resultados: Foram recrutados 62 indivíduos em acordo com critérios de inclusão/exclusão. Na análise interina de segurança de 3 meses não houve diferença entre o N de eventos adversos entre os grupos ( $p > 0.05$ ). 5 pacientes pararam a medicação até o momento (<10% de perdas). Conclusão: Nossos resultados preliminares dão subsídios sobre a segurança do tratamento com Lítio na DMJ, sendo as análises de 6 e 12 meses necessárias para confirmar a segurança e avaliar a eficácia do fármaco sobre a progressão desta grave doença neurogenética.