

POWER STUDY (PORFIRIA WORLDWIDE PATIENT EXPERIENCE RESEARCH):

**IMPACTO DO TRATAMENTO PROFILÁTICO NO QUADRO CLÍNICO E NA
QUALIDADE DE VIDA DE PACIENTES COM PORFIRIA HEPÁTICA AGUDA**

AZEVEDO, Fernanda¹; DICKEY, Amy²; WILLIAMS, Edrin³; BURRELL, Sue⁴;
FALCHETTO, Rocco⁵; BARMAN-AKSÔZEN, Jasmin^{5,6}; DECONGELIO, Marc⁷;
MENINGER, Stephen⁸; LOMBARDELLI, Stephen⁸; NANCE, Danielle⁹.

¹ Alnylam 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; ⁸Alnylam Pharmaceuticals, Cambridge, MA, USA;

⁹Banner Health, Gilbert, AZ, USA

RESUMO

Introdução e objetivos: A porfiria hepática aguda (PHA) é um grupo de doenças genéticas raras da biossíntese heme que resulta em ataques neuroviscerais graves e complicações que afetam negativamente a qualidade de vida. Este estudo avaliou o impacto do tratamento profilático e não profilático nos desfechos relatados pelos pacientes.

Métodos: Pacientes adultos (EUA, Itália, Espanha, Austrália, México e Brasil) com PHA com >1 ataque de porfiria nos últimos 2 anos ou recebendo tratamento profilático (hemina intravenosa e/ou glicose) para prevenção de ataques completaram uma

pesquisa on-line entre 19 de janeiro e 26 de abril de 2021. Foram realizadas análises descritivas de dados demográficos, características de saúde e desfechos utilizando as escalas *Generalized Anxiety Disorder-7 [GAD-7; 0–21]* e *Patient Health Questionnaire [PHQ-8; scale, 0–24]* , Os pacientes recebendo givosirana foram excluídos.

Resultados: Noventa e dois pacientes com PHA completaram a pesquisa (idade média 41,1 anos; 90,2% sexo feminino). O tratamento profilático foi utilizado por 38,0% dos pacientes. Os participantes que receberam e não receberam tratamento profilático relataram sua saúde física atual (88,6% e 71,9%), emocional (68,6% e 73,7%), cognitiva (54,3% e 52,6%), financeira (74,3% e 68,4%) e social (62,9% e 49,1%) como ruim ou regular, respectivamente. As pontuações médias de GAD-7 e PHQ-8 para os pacientes que receberam profilaxia foram de 10,3 e 12,4, respectivamente, e para aqueles que não receberam profilaxia foram de 10,3 e 11,8, respectivamente.

Conclusões: Independentemente da abordagem de tratamento atual, a PHA tem impacto importante na diminuição da qualidade de vida dos pacientes.

Palavras-chaves: Porfirias Hepáticas. Desfechos. Tratamento.

Financiamento: Este estudo foi financiado pela Alnylam Pharmaceuticals.

Detalhes de contato do autor apresentador

Fernanda Reis de Azevedo, PhD

Email: fdazevedo@alnylam.com

Alnylam Pharmaceuticals Brazil

