



DESFECHOS DE 1 ANO DO USO DE DELANDISTROGENE MOXEPARVOVEC EM PACIENTES PEDIÁTRICOS COM DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE: UMA REVISÃO SISTEMÁTICA E META-ANÁLISE

Breno Bopp Antonello (brenobopp@gmail.com); Anna Luiza Braga Albuquerque; Giovanna Giovacchini dos Santos; Laura Grespan Dill; Sara Hadj Sadok; Fábio Cargnelutti Fontoura; Paulo Victor Zattar Ribeiro

Universidade Franciscana; Universidade Federal de Minas Gerais; Faculdade de Medicina do ABC; Universidade Federal de Santa Maria; Hospital Universitário Joan XXIII; Universidade de São Paulo

INTRODUÇÃO

A distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma doença neuromuscular progressiva causada por mutações no gene DMD, que levam à deficiência de distrofina, degeneração muscular, perda da deambulação, insuficiência respiratória e redução da expectativa de vida. Os tratamentos atuais, como o uso de corticosteroides e cuidados de suporte, oferecem benefícios limitados a longo prazo. O delandistrogene moxeparvovec é uma terapia gênica promissora desenvolvida para restaurar a expressão de distrofina e fornecer microdistrofina aos músculos esqueléticos e cardíacos.

OBJETIVO

Avaliar a eficácia clínica do delandistrogene moxeparvovec em crianças do sexo masculino com DMD, ambulatoriais e com idades entre 4 e 8 anos, por meio de uma revisão sistemática e meta-análise de estudos controlados.

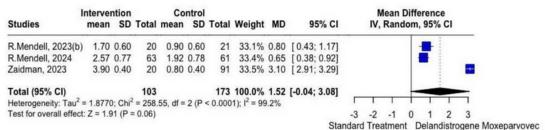
METODOLOGIA

Foi realizada uma busca sistemática nas bases Cochrane, PubMed e Embase para identificar ensaios clínicos randomizados (ECRs) e estudos de coorte que investigaram o uso do delandistrogene moxeparvovec em meninos ambulatoriais com DMD (≥4 a <8 anos). Os desfechos primários incluíram: **alterações no escore da NSAA** (North Star Ambulatory Assessment), **teste de caminhada/corrida de 10 metros (10MWR), tempo para levantar-se do chão (TTR)** e **expressão de distrofina muscular**. A seleção dos estudos seguiu as diretrizes PRISMA, e as análises estatísticas foram conduzidas no software R. O estudo foi registrado no PROSPERO (CRD42025635605).

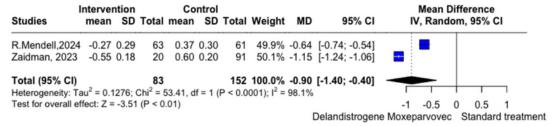
RESULTADOS E DISCUSSÃO

Foram incluídos 302 pacientes de quatro estudos (dois ECRs). O tempo de seguimento variou de 48 semanas a 5 anos. O delandistrogene moxeparvovec foi administrado a 107 pacientes, enquanto 195 compuseram o grupo controle.

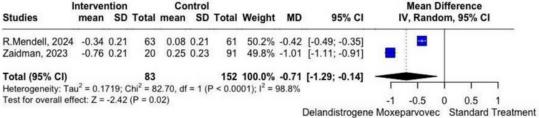
• NSAA \rightarrow melhora significativa (diferença média [DM] = 2,48; p = 0,04):



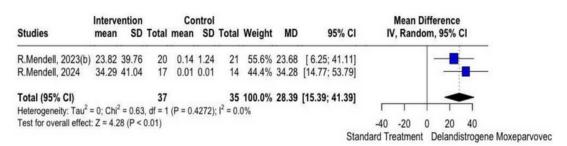
• TTR \rightarrow melhora significativa (DM = -0,85; p < 0,01):



• 10MWR \rightarrow redução estatisticamente significativa no tempo ((DM = -0,71; p = 0,02):



expressão de distrofina → aumento significativo (MD: 28,39, 95% CI: 15,39 a 41,39, I² = 0,0%, P < 0,01):



CONCLUSÃO

O delandistrogene moxeparvovec demonstrou **melhora nos desfechos funcionais de pacientes pediátricos ambulatoriais com DMD**. No entanto, são necessários estudos adicionais, incluindo ECRs com seguimento prolongado para confirmar sua segurança e eficácia a longo prazo.

REFERÊNCIAS



AGRADECIMENTOS