

## MODULADORES DEL CFTR EN FIBROSIS QUÍSTICA POSTRASPLANTE PULMONAR: ESTUDIO DE VIDA REAL

Modalidad: Trabajos de Investigación: Comunicación Oral

Unidad Temática: Trasplante Pulmonar

Unidad Temática 2: Fibrosis Quística

BEJARANO, Nadya | CALDERON SORIANO, Juan Carlos | IBAÑEZ, Teresa | AHUMADA, Rosalia | CANEVA, Jorge | FAVALORO, Roberto | OSSES, Juan Manuel

### HOSPITAL UNIVERSITARIO FUNDACIÓN FAVALORO (HUFF)

**Introducción y objetivo:** La fibrosis quística (FQ) es la tercera indicación más frecuente de trasplante pulmonar. La experiencia con fármacos moduladores del CFTR (tmCFTR) pos trasplante (PostTX) es escasa. Su empleo PostTX se ha vinculado con el control de comorbilidades extrapulmonares, tales como enfermedad rinosinusal, gastrointestinal, desnutrición y diabetes; mejorando la calidad de vida, influyendo indirectamente en el desarrollo de disfunción crónica del injerto, y supresión tumoral. Nuestro objetivo es describir el uso de tmCFTR en los pacientes trasplantados por FQ en un centro de referencia.

**Material y método:** Estudio observacional, descriptivo, de cohorte unicéntrico en Hospital Universitario Fundación Favaloro, en pacientes con FQ PostTX con al menos una mutación DF508, que recibieron elexacaftor/ ivacaftor/ tezacaftor desde el 2022. Recolectamos datos antropométricos, años PostTX, meses en tmCFTR, colonizaciones, inmunosupresión (IS), nivel sérico y ajuste de IS, cambios en GOT, GPT, FAL y bilirrubina total. Uso concomitante de antifúngicos. Usamos SPSS para análisis estadístico e inferenciales no paramétricos.

**Resultados:** 9 pacientes recibieron tmCFTR (n=1 trasplante pulmonar). El 55.6% fueron hombres, la mediana de edad fue 36 años (RIQ 25-37), la mediana PostTX fue de 10 años (RIQ 7-14), el IMC 18,9 (RIQ18-20). El 77.8% tenía diabetes mellitus, y 66.8% colonización con Pseudomona aeruginosa. La mediana de tratamiento fue 11 meses (RIQ 10-16). 66.7% recibía tacrolimus (FK), 44,4% sirolimus (Sr), y 11,1% everolimus. El 66% estaba en tratamiento con antifúngicos. Durante el tmCFTR se observó una tendencia en ganancia de peso y leve incremento en los niveles de FK y Sr no significativo.

**Discusión y conclusiones:** El tmCFTR PostTX no se asoció con interacciones medicamentosas importantes, ni alteración en transaminasas. En dos pacientes tratados con FK y un paciente con Sr se realizó ajuste de dosis por aumento en niveles séricos. Uno de los pacientes presentó rash cutáneo, requiriendo suspender el tratamiento de manera transitoria. Parte de los pacientes incluidos cursaban infecciones fúngicas y/o disfunción crónica del injerto, situaciones que influyen en la calidad de vida y estado nutricional, limitando los efectos del tmCFTR. Destacamos la ganancia de peso observada en los casos que no presentaban dichas comorbilidades. En nuestra experiencia el tmCFTR PostTX mostro un perfil de seguridad y tolerancia aceptables.

	Previo a Tratamiento	Posterior a Tratamiento	Wilcoxon
	Mediana (rango IQ)	Mediana (rango IQ)	Valor p
Peso (Kg)	51 (46 - 58)	50 (47,2 - 60)	0,932
IMC	18,9 (16,1 - 20,8)	18,3 (17,8 - 21,8)	0,684
GOT U/L	21 (16 - 25,5)	19 (13,5 - 37,5)	0,953
GPT U/L	19 (13,5 - 23,5)	17 (11 - 29,5)	0,258
Bilirrubina Total mg/dl	0,4 (0,3 - 0,55)	0,4 (0,4 - 0,5)	0,470
Tacrolimús (dosaje)	9,1 (5,8 - 11,7)	10,2 (4,2 - 14,1)	0,753
Sirolimús (dosaje)	6,1 (3,4 - 7,3)	6,1 (5,0 - 12,5)	0,109
Everolimús (dosaje)	6 (-)	9 (-)	1,000