



Terapêutica de substituição com alfa 1 antitripsina – o fuel para caminhadas mais longas na deficiência severa?

Autor do comentário: Dra. Joana Gomes. *Pneumologia, ULS de Santo António.*

Alessandra Marchese, Annalisa Frizzelli, Alessandro De Simoni, Olha Bondarenko, Roberta Pisi, Agnese Aluia, Giovanna Pelà, Roberta Eufrazia Ledda, Gaetano Caramori, Alfredo Chetta, Marina Aiello.

Respir Care. 2026 May;71(5):496-500. doi: 10.1177/19433654251412331. Epub 2026 Jan 19.

O objetivo deste estudo realizado por um grupo de investigadores de Parma, Itália, foi verificar a eficácia clínica e funcional da terapêutica de substituição com alfa 1 antitripsina num grupo heterogéneo de doentes com deficiência de alfa 1 antitripsina (DAAT) severa caracterizada por genótipos raros e comuns, avaliando o seu efeito em termos de função pulmonar, número de exacerbações, dispneia e capacidade de caminhar após o mínimo de 12 meses de tratamento. Foram incluídos 7 indivíduos com DAAT severa com os genótipos comuns PIZZ e PiSZ, assim como genótipos raros (PiZY, PiZQ0_{Parma}, PiZI e Pi_{Mmaltom}M_{maltom}), com uma média de níveis de alfa 1 antitripsina de 35 ±22 mg/dL. Todos realizaram terapêutica semanalmente na dose de 60 mg/kg de alfa 1 proteinase purificada do plasma humano. Todos os doentes, exceto um, se encontravam sob terapêutica tripla para a DPOC. Nenhum doente se encontrava em programa de reabilitação respiratória.

Após um acompanhamento mínimo de um ano, os investigadores observaram melhorias estatisticamente significativas na capacidade de exercício, medida através da distância percorrida numa prova de marcha de seis minutos. Os resultados indicam também uma redução na frequência de exacerbações brônquicas e um alívio perceptível na sensação de dispneia, resultados estes com significado estatístico. Em relação à função pulmonar não se verificou uma alteração significativa após o período de tratamento dirigido. Os autores ressaltam que a pequena amostra do estudo requer cautela na generalização destas conclusões promissoras.

Apesar do reduzido número de participantes, este estudo contribui para reavivar a discussão acerca dos potenciais benefícios da terapêutica de substituição com alfa-1 antitripsina, particularmente no que respeita à melhoria da qualidade de vida e da capacidade funcional dos doentes. Pode argumentar-se que o contacto mais frequente destes indivíduos com os serviços de saúde, decorrente da própria administração da terapêutica, poderá ter influenciado alguns dos resultados observados. Adicionalmente, a ausência de um grupo de controlo impede uma avaliação mais rigorosa do impacto específico da intervenção. Assim, serão necessários estudos controlados, com maior dimensão amostral, para confirmar e clarificar estes resultados.