



**Jornada do paciente com
fibrose cística no Brasil:**
desafios e importância
do papel dos gestores
de saúde

Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira



Doctor Press Editora Científica Ltda.

www.doctorpress.com.br

Av. Brigadeiro Faria Lima, 3144, Cj. 31 - Jd.

Paulistano, São Paulo, SP - 01451-000

Tel.: +55-11-98326-1412

e-mail: jbes@jbes.com.br

Publisher: Osmar A. Silva

Produção: Maurício Domingues

Revisão: Glair Picolo Coimbra

Os anúncios veiculados nesta edição são de exclusiva responsabilidade dos anunciantes, assim como os conceitos emitidos nesta publicação são de exclusiva responsabilidade de seus autores, não refletindo necessariamente a opinião do JBES e da Doctor Press Editora Científica Ltda.

O conteúdo deste material foi elaborado exclusivamente pelo grupo de discussão, médicos, associações de pacientes e gestores de saúde sem nenhuma interferência do patrocinador.

Apoio: Vertex do Brasil.



STEPHEN STEFANI

Médico Oncologista. Coordenador do Núcleo de Avaliação de Tecnologias de Alto Custo (NATAC) da UNIMED Central RS. Professor de Economia da Saúde. Presidente do Capítulo Brasil da *The Professional Society for Health Economics and Outcomes Research* (ISPOR). Board da Americas Health Foundation.



VERÔNICA STASIAK BEDNARCZUK DE OLIVEIRA

Mestranda em Ciências Farmacêuticas pela Universidade Federal do Paraná (UFPR), com ênfase em Avaliação de Tecnologias de Saúde. Psicóloga. MBA em Políticas Públicas e Direitos Sociais. Especialista em Análise do Comportamento. Membro do Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística, fundadora e diretora executiva do Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística. Diagnosticada com fibrose cística aos 23 anos de idade.



CARMELA GRINDLER

Coordenadora Estadual do Programa Nacional de Triagem Neonatal de São Paulo. Coordenadora do Projeto de Implantação do Programa de Assistência Integral à Pessoa com Doença Rara do Estado de São Paulo. Assessora Técnica da Coordenadoria de Planejamento da Secretaria de Estado da Saúde de São Paulo. Membro do Grupo Técnico para Ações Estratégicas para Desenvolvimento de Programas da Saúde na Área da Atenção da Saúde da Criança Deficiente e Doenças Raras e Desenvolvimento de Políticas Públicas para a assistência nessas áreas.



CARLOS EDUARDO JOUAN GUIMARÃES

Pediatra. Especialização em Pneumopediatria pela Universidade Federal de São Paulo (Unifesp). Especialista em Cuidados Paliativos Pediátricos pela Associação Médica Brasileira (AMB). Membro do Comitê de Pediatria da Academia Nacional de Cuidados Paliativos (ANCP).



CRISTIANO MACHADO SILVEIRA

Biólogo, pai de um menino com fibrose cística. Presidente da Associação Carioca de Assistência a Mucoviscidose. Diretor de políticas públicas e advocacy do Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística.



MARIANE MARTYNYCHEN CANAN

Médica pneumologista responsável pelo Centro de Tratamento de pacientes adultos com Fibrose Cística do Complexo Hospital de Clínicas / UFPR. Preceptora da residência médica em Pneumologia neste mesmo hospital.



CLARICE PETRAMALE

Consultora independente em sistemas de saúde coletiva e tecnologias de saúde.

Jornada do paciente com fibrose cística no Brasil: desafios e importância do papel dos gestores de saúde

Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira

APRESENTAÇÃO

Há alguns anos, ao receber um diagnóstico, o paciente saía do consultório com um receituário e tentava assimilar sozinho o que acabara de ouvir. A angústia durava mais alguns dias (ou meses) até a próxima consulta, para, então, ele poder entender um pouco mais o que o acometia. Somente quando, com sorte, o paciente encontrava outra pessoa sofrendo do mesmo mal que ele, é que conseguia trocar experiências, sensações, informações.

Os anos passaram e o comportamento na saída do consultório mudou. Antes de mais nada, o paciente, agora, corre para o seu *smartphone*, acessa o buscador, pesquisa, estuda e lê. Tenta entender o que está acontecendo e o que pode vir a acontecer. Na teoria, isso se chama “educação em saúde” e tem papel fundamental no prognóstico das doenças – quando utilizada de forma adequada. Infelizmente, nem toda informação é correta, educativa e saudável. Há as famosas *fake news*, além dos sensacionalismos desenfreados que acentuam a ansiedade de quem já está sofrendo.

É inegável, porém, que quanto melhor se entende o que se tem, maiores as chances de adesão ao tratamento, melhor a navegação no sistema de saúde, além da compreensão de que precisamos exercer o controle social no Sistema Único de Saúde (SUS), prezando e buscando pela garantia dos direitos que nos são assegurados por lei.

Por vezes, a sensação dos pacientes crônicos, em suas rotinas insanas, e de seus representantes é de

que eles precisam investir um bom tempo para lutar por seus direitos. É assim na saúde, na educação, na cultura. Cada um precisa lutar pelo que é seu.

E no cenário da fibrose cística (FC) não é diferente. Uma das doenças raras mais comuns, a FC, como comumente é conhecida, embora tenha uma estrutura bem estabelecida no território brasileiro, com triagem garantida com o teste do pezinho, confirmação pelo teste do suor, exame genético assegurado até o momento em parceria privada, protocolo clínico e diretrizes terapêuticas recém-atualizado, ainda apresenta inúmeros problemas de diagnóstico precoce e de acesso a tratamento adequado, com ausência de profissionais multidisciplinares em centros de referência pelo Brasil e de acesso ao que há de mais inovador no tratamento em nível global.

Em 10 anos, tempo de existência do Unidos pela Vida e desde que eu fui tardiamente diagnosticada com FC, é inegável que muitos avanços foram presenciados no Brasil e no mundo. Mas ainda há uma longa jornada pela frente, e espero que nenhuma história se encerre cedo demais e nenhuma pessoa deixe de ser diagnosticada precocemente, considerando que as complicações graves podem ser evitadas, na atualidade, graças às inovações tecnológicas já disponíveis.

Precisamos, por fim, seguir em constante diálogo entre todos os atores: pacientes, familiares, associações, profissionais, empresas e governo, para que, juntos, somando esforços e pontos de vista, possamos seguir salvando vidas.

Jornada do paciente com fibrose cística em pauta: diálogos pela evolução da saúde

“Temos uma imensa resiliência, e precisamos manter nossa indignação o tempo todo, afinal, somos pessoas essencialmente indignadas. Nosso diferencial como ser humano, até mais do que como profissional, é nossa profunda indignação e luta para fazer com que as coisas no SUS deem certo.”

Dra. Carmela Grindler

É inquestionável: não há evolução sem diálogo, sem estudo e sem luta. Especialmente na área da saúde, não somente na era pós-COVID-19, mas em consequência de toda a evolução tecnológica que temos observado no que tange a novas formas diagnósticas e medicamentos de ponta, a atuação do profissional da saúde também precisa seguir em constante aperfeiçoamento.

E foi com esse propósito, visando aprofundar a discussão sobre a jornada do paciente com FC no Brasil, que especialistas em doenças pulmonares e avaliação de tecnologias em saúde e representantes de associações de pacientes se reuniram, no dia 24 de fevereiro de 2022, em evento *on-line* realizado pelo *Jornal Brasileiro de Economia da Saúde (JBES)*, com patrocínio da Vertex Pharmaceuticals. O JBES foi criado em 2009 com o objetivo de promover e disseminar o conhecimento nas áreas de Economia da Saúde, Farmacoeconomia e Avaliação de Tecnologias em Saúde. O conteúdo das edições é disponibilizado nos formatos impresso e eletrônico, com periodicidade quadrimestral, e tenta reunir informações com propósitos definidos para criar transformações na área da saúde e na jornada do paciente. No início do encontro, o Sr. Osmar Silva, diretor do JBES, disse aos presentes que, a partir do debate, seria criado este fascículo, o qual posteriormente seria amplamente divulgado para gestores de saúde pública e suplementar.

Com este material, espera-se que seja possível conhecer o ponto de vista desses profissionais com inegável bagagem em suas áreas de atuação, além de ter uma visão global sobre a fisiopatologia da doença, formas de diagnóstico e acesso ao tratamento, principalmente no contexto da saúde pública, contribuindo para que o gestor de saúde e demais profissionais sigam atuando e facilitando a jornada do paciente com FC no Brasil.

Por tratar-se de uma doença que afeta diferentes órgãos e ainda não tem cura – e que será aprofundada nos capítulos a seguir –, o olhar para o paciente que tem FC precisa ser multidisciplinar, sempre com

foco na melhora da sua qualidade de vida. A busca pelo diagnóstico precoce e pelo tratamento adequado de uma das doenças raras mais comuns precisa ser incessante e deve manter-se na agenda de vários profissionais da saúde, que formam uma rede, com nutricionistas, psicólogos, farmacêuticos, pneumologistas, geneticistas, fisioterapeutas, assistentes sociais, entre outros, além de associações de pacientes, membros da academia, legisladores e, obviamente, gestores de saúde.

O produtivo debate contou com a participação de renomados profissionais da área, que, em suas apresentações, já compartilharam importantes informações acerca das suas atuações voltadas para a FC e a estruturação de programas e centros de tratamento.

Iniciando as apresentações, a Dra. Clarice Petramale, médica infectologista, compartilhou sua atuação como a primeira presidente da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec), que, segundo seu relato, se iniciou por conta da quantidade de ações judiciais na época, especialmente relacionadas a doenças raras. A demanda de criar a Conitec deu-se também pela necessidade de criar novos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras, como a FC.

Na sequência, a Dra. Carmela Grindler, médica pediatra e professora universitária, compartilhou que está há 12 anos na Secretaria de Saúde do Estado de São Paulo, atuando com planejamento de programas de tratamento e triagem neonatal, além de coordenar a implantação do projeto de doenças raras no estado de São Paulo. Em sua fala, a Dra. Carmela disse, com entusiasmo, que o programa de assistência para FC já está bem estabelecido no estado de São Paulo e que é motivo de orgulho para todos. Com o trabalho em conjunto realizado pelos profissionais e secretaria, hoje os pacientes contam com um centro de tratamento para adultos com FC, diagnóstico por meio do programa de triagem neonatal e acesso a medicamentos, exames e tratamento. Segundo ela, o modelo de atendimento para a FC em São Paulo é um exemplo para a estruturação de novas redes organizadas e hierarquizadas, visando ao melhor acesso ao tratamento.

O evento também contou com a perspectiva do paciente, representada pela Sra. Verônica Stasiak Bednarczuk de Oliveira, que é psicóloga, mestrande em avaliação de tecnologias em saúde pela Universidade Federal do Paraná e fundadora e atual diretora-executiva do Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística. Verônica compartilhou que, embora apresentasse graves problemas de saúde desde seu nascimento – em média quatro pneumonias por ano, necessitando fazer a retirada de dois lobos do pulmão direito em decorrência de quadro

acentuado de bronquiectasias, entre outras complicações severas –, foi diagnosticada com FC apenas aos 23 anos de idade. Hoje, com 35 anos, Verônica lidera uma das principais organizações sociais para a FC do Brasil, fundada por ela com o propósito de tornar a FC conhecida no país, contribuindo pela busca de diagnóstico precoce, tratamento adequado e melhora na qualidade de vida. Hoje, o Unidos pela Vida tem como missão defender que todas as pessoas com FC do país tenham conhecimento sobre sua saúde e seus direitos e equidade no acesso ao diagnóstico precoce e aos melhores tratamentos.

Ao lado dela, no Instituto Unidos pela Vida, está o Sr. Cristiano Silveira, que também participou deste evento. Ele é biólogo, diretor de Políticas Públicas e Advocacy do Instituto e também presidente da Associação Carioca de Assistência à Mucoviscidose (ACAM). Cristiano compartilhou que sua atuação pela FC se deu tão logo seu filho, hoje com 17 anos de idade, recebeu seu diagnóstico ainda muito novo. Contou que também já foi membro da diretoria da Associação Gaúcha de Assistência à Mucoviscidose (AGAM), que as associações de assistência à FC no Brasil existem há mais de 40 anos e que, desde então, trabalham por todas as etapas necessárias na vida de quem tem FC: acesso ao diagnóstico, tratamento, centros de referência etc.

Segundo ele, ainda existem pessoas que vêm de outras cidades para tratamento nos centros em que inicialmente foram diagnosticadas: *“Embora estejamos em um novo momento na FC, a gente segue lidando com antigos desafios”*, afirmou Cristiano, que revelou ainda encontrar problemas relativos a diagnóstico, teste do pezinho e acesso aos medicamentos básicos não apenas na sua cidade atual, Rio de Janeiro, como também em inúmeras outras cidades do país. E prosseguiu: *“Os novos desafios estão ligados ao acesso a novos tratamentos, à chegada à fase adulta, à constituição de famílias etc.”*.

Mas ele afirma que a FC é um grande modelo de estruturação: *“Na FC temos o Registro Brasileiro de Fibrose Cística, organizado pelo Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística, que nos apresenta dados epidemiológicos, além dos centros de referência, das mais de 25 associações de assistência regionais, simpósios e congressos que prezam pela educação continuada de profissionais da saúde”*, completou.

Na sequência da apresentação de Cristiano, o Dr. Carlos Eduardo, pediatra especialista em cuidados paliativos e que também atende pessoas com FC na cidade de São Paulo, disse que existe grande necessidade de educação continuada para quem trabalha com FC. *“Precisamos, enquanto profissionais da saúde, prover qualidade de vida através do fornecimento*

de tratamento individualizado, buscando sempre que o paciente tenha uma vida digna. Os centros de tratamento, por sua vez, são fundamentais, e precisa existir sempre uma interlocução entre o SUS e a saúde suplementar”, completou.

Como representante do atendimento médico para adultos com FC, o debate contou com a participação da Dra. Mariane Martynychen Canan, médica pneumologista, especialista no cuidado de pacientes adultos com FC e responsável pelo ambulatório de FC do Hospital de Clínicas do Paraná. *“Caí de paraquedas na FC, mas sou muito feliz nesta área e acredito que nada é por acaso”*, comentou.

É sabido que, assim como ela, poucos profissionais da saúde saem das universidades tendo na bagagem aulas profundas sobre a patologia. *“Não tive aula sobre a FC na graduação de Medicina. Somente uma breve explanação na pediatria. Me formei em 2002 e na época ainda não se ensinava FC na disciplina de adultos. Agora, quem dá esta aula de FC na disciplina de pneumologia para adultos sou eu”*, contou.

Com muita garra e determinação, embora tenha encontrado muita resistência e dificuldade na aceitação dessa ideia, hoje relata com orgulho e emoção que ela iniciou totalmente sozinha o Centro de Atendimento para Fibrose Cística, e hoje, 15 anos depois, os pacientes podem usufruir de um Centro mais estruturado e estabelecido. *“Hoje eu também ensino os alunos e residentes. Atendemos em torno de 100 pessoas com a doença no Paraná. Os pacientes internam bastante, então os estudantes têm bastante contato com a doença”*, comentou. E, segundo ela, *“se os médicos não souberem o que estão procurando, nunca farão um diagnóstico, e assim seguiremos vivenciando situações como a da Verônica”*.

Finalizando o primeiro bloco de apresentações de modo muito reflexivo e importante, a Dra. Mariane reforçou que *“o conhecimento sobre a FC precisa estar dentro da escola, dentro das secretarias, dentro do universo dos profissionais da saúde”*.

Conhecer para agir: contextualizando a fibrose cística

Embora a FC seja considerada como uma das doenças raras mais comuns, não é tão raro, inclusive nos dias atuais, conhecer pessoas que nunca ouviram falar sobre essa patologia. Mesmo entre os profissionais da saúde, há quem conheça pouco ou que a definam como sendo “uma doença no pulmão” ou “uma doença do pâncreas”, como é possível encontrar na literatura mais antiga.

Também conhecida como mucoviscidose (doença do muco mais espesso) ou doença do beijo salgado

(pelo suor mais salgado sentido ao beijar a pele de quem tem a doença), a FC é uma doença genética, autossômica, recessiva, progressiva, multissistêmica e ainda sem cura. É caracterizada pela disfunção do gene *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator (CFTR)*, que codifica a proteína CFTR, responsável pelo transporte do cloro na membrana das células.

De modo geral, o muco (secreção) do organismo de quem tem a doença tende a ser mais espesso que o normal. Esse muco pegajoso e mais denso, por sua vez, acumula-se nos aparelhos digestório e reprodutivo, prejudicando seu funcionamento normal, dificultando sua função exócrina e desencadeando sintomas como infecções pulmonares de repetição de repetição, tosse crônica, dificuldade para ganhar peso e estatura, diarreia, entre outros.

A FC, que antigamente era identificada como uma doença da infância, ficou conhecida somente no século XX. Foi relatada pela primeira vez em 1936 pelo pediatra suíço Guido Fanconi. Havia também um ditado da Alemanha do século XVIII que dizia “*Pobre criança cuja testa ao beijo é salgada; Está enfeitada e logo morrerá*”, o que significava que crianças com FC, por ausência de diagnóstico correto e tratamento adequado, dificilmente conseguiriam sobreviver à primeira fase da vida¹.

Em 1938, a doença foi nomeada como “fibrose cística do pâncreas”, depois que a patologista Dorothy Hansine Andersen identificou cistos e tecido fibroso no pâncreas de alguns pacientes, e em 1943 ela foi descrita pela primeira vez como mucoviscidose pelo pediatra Sidney Farber, que concluiu que o dano causado ao tecido pulmonar dependia da obstrução provocada por um muco viscoso – muco + viscido (pegajoso, viscoso) + ose (doença).

No ano de 1953, depois de uma onda de calor ocorrida em Nova York, o médico Paul Di Sant’Agnese registrou que o suor produzido por seis crianças com FC era anormalmente salgado. E foi somente em setembro de 1989 que a descoberta do gene causador da doença, o *CFTR*, foi publicada na revista *Science*, alterando todo o cenário de pesquisa e tratamento da doença nos anos seguintes.

Athanazio *et al.* (2017)² afirmam que defeitos nessa regulação acarretam o comprometimento do *clearance* mucociliar no epitélio pulmonar, podendo provocar danos irreversíveis aos pulmões, sendo esse desfecho a primeira causa de morbimortalidade da doença.

No Brasil, segundo o Registro Brasileiro de Fibrose Cística – REBRAFC (2019)³, publicado pelo Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística (GBEFC), há 5.773 pessoas com FC registradas e em tratamento.

Considerando que alguns dos sintomas da FC são também os mesmos listados entre as principais causas de mortalidade infantil (como a infecção pulmonar e a diarreia, por exemplo) e que ela é uma das doenças já identificadas por meio do teste do pezinho, é extremamente necessário que os gestores e demais profissionais da saúde a conheçam, saibam identificá-la e consigam apresentar ao paciente e seus familiares a estrutura existente no sistema de saúde para atender e tratar essas pessoas, conforme afirmou a Dra. Mariane: “*nem todos precisam saber tratar a FC, mas precisam saber identificar os sinais e sintomas para poder encaminhar aos centros de referência especializados, que darão sequência no melhor tratamento possível*”.

Conhecer para tratar: diagnóstico precoce e tratamento adequado para uma vida com mais qualidade

Não há como falar de FC sem enfatizar a importância do diagnóstico precoce. Embora ainda exista muito a se fazer pelos que ainda sofrem com a falta de recursos diagnósticos e terapêuticos em várias regiões do país, a Dra. Carmela reforçou que “*nosso país é um continente, extremamente plural, com particularidades geográficas, mas nós não podemos colocar o chapéu de um determinado território em outro, porque quem precisa ser atendido mora em determinado lugar e precisa ser atendido lá*”.

Em linha nessa discussão, Verônica concordou e afirmou “*que infelizmente há uma discrepância de realidades no que tange a tratamento, diagnóstico, e que é preciso muito trabalho em conjunto para garantir que o direito à saúde seja assegurado*”.

Segundo o REBRAFC (2019), o diagnóstico da FC nem sempre é fácil. Usualmente, ele decorre de suspeita clínica (teste de triagem neonatal [teste do pezinho], antecedentes familiares ou sintomas clínicos característicos), associada ao teste de suor alterado (considerado o teste padrão-ouro para o diagnóstico) e/ou identificação de duas variantes patogênicas no gene *CFTR* (por meio do exame genético).

A necessidade de confirmar o diagnóstico por meio do teste do suor (após a alteração identificada no teste do pezinho) também é reforçada nas Diretri-

1 Oliveira, V. G. S. B. **História da Fibrose Cística – Programa Fibrose Cística nas Universidades**. <https://unidospelavida.org.br/programas-e-projetos/programa-de-educacao-e-pesquisa/>

2 Athanazio, R. A. *et al.* **Diretrizes brasileiras de diagnóstico e tratamento da fibrose cística**. ARTIGO ESPECIAL. J. Bras. Pneumol. v. 43, n. 3, May-Jun 2017. <https://doi.org/10.1590/S1806-37562017000000006>

3 Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC). **Registro Brasileiro de Fibrose Cística**. 2019. http://www.gbefc.org.br/ckfinder/userfiles/files/REBRAFC_2019.pdf

zes Brasileiras de Diagnóstico e Tratamento da Fibrose Cística⁴. Segundo Athanazio *et al.* (2017), a triagem neonatal para FC identifica os recém-nascidos com risco de ter a doença, mas não confirma o diagnóstico. O índice de testes falso-positivos pelo algoritmo baseado na quantificação de tripsinogênio imunorreativo é bastante alto. Por outro lado, a triagem neonatal negativa não exclui o diagnóstico e, nesses casos, a clínica é sempre soberana.

A contribuição da triagem neonatal foi bastante significativa nos últimos anos. O Ministério da Saúde⁵ afirma que o diagnóstico precoce, o tratamento adequado e o acompanhamento médico de algumas doenças podem evitar a morte e deficiências e proporcionar melhor qualidade de vida aos recém-nascidos acometidos de uma população.

A triagem neonatal, garantida pela Portaria nº 822, de 6 de junho de 2001⁶, identifica algumas dessas condições, tal qual a FC, cujos pacientes, após apresentarem dois resultados positivos, devem realizar teste do suor para confirmar a suspeita diagnóstica, além de poderem fazer o teste genético, que identifica qual é a mutação genética. Atualmente, há um projeto de parceria privada com o GBEFC que permite a realização de sequenciamento genético em todas as pessoas com FC com diagnóstico confirmado no país.

Complementando a discussão, o Dr. Carlos Eduardo, usando o caso da Verônica, disse que *“a triagem neonatal é fundamental, porque ainda tem muitos pacientes que, assim como ela, tiveram uma grande perda de função pulmonar e complicações graves que poderiam ter sido evitadas se tivesse tido diagnóstico precoce”*.

“Isso deve começar na faculdade”, continuou o Dr. Carlos. *“E aqui não estou preocupado somente se você vai ser pediatra, mas que um dia você também vai ter um sobrinho, um filho, um amigo que se tornou pai e alguém vai te ligar perguntando o que fazer quando houver um teste do pezinho alterado.”*

Considerando que o diagnóstico precoce é importante, Verônica reforçou aos profissionais da saúde que a comunicação adequada desse fato também é crucial: *“o momento de compartilhar um novo diagnóstico para uma família é extremamente delicado. O profissional precisa ser empático e cuidadoso com as*

palavras, pois um novo mundo se abrirá para aquela família. Novas dificuldades, expectativas frustradas, angústia e medo do desconhecido. Há que ser cuidadoso e ter delicadeza ao compartilhar uma notícia como esta, para qualquer paciente, de qualquer doença, a qualquer tempo da vida”.

Ainda sobre o teste do pezinho, Cristiano compartilhou que também faz parte do Conselho Estadual de Saúde do Rio de Janeiro, onde atua no Grupo de Trabalho de Triagem Neonatal. Segundo ele, o programa demorou mais de 10 anos para ser implementado e outro longo período para então começar de fato. Mesmo assim, segundo Cristiano, após grande demora, agora conseguiram encadear a execução do Programa, que se encontra em um patamar mais aceitável. Ele relembrou também que, enquanto sistema de saúde, não podemos nos esquecer de que o *“programa de triagem neonatal não é somente contratar laboratório: é comunicar a importância da sua realização no período exato (entre o 3º e 7º dia de vida do bebê), é falar sobre este teste para todas as famílias, no pré-natal e na maternidade, é fazer busca ativa etc. Precisamos garantir sua realização muito mais do que somente contratar laboratório”*.

Nessa linha de raciocínio, Verônica lembrou que *“é fundamental também a conscientização da doença a qualquer tempo, pensando nos pacientes que podem não ter sido contemplados pela verificação no teste do pezinho, por terem nascido antes da sua implementação”*. Nesses termos, ela ainda disse que *“a clínica é sempre soberana. Recebeu um paciente com sintomas? Solicite o teste do suor, independente se o teste do pezinho tenha dado negativo. Não podemos esquecer que ainda existem casos de falso-positivo e falso-negativo, e para isso o teste do suor também pode contribuir pela confirmação ou descarte da suspeita diagnóstica”*, finalizou.

Exemplificando sua realidade em São Paulo, a Dra. Carmela enfatizou mais uma vez que *“a educação em fibrose cística é fundamental”*. Segundo ela, é indispensável a atualização constante dos profissionais da saúde e o contato com demais áreas e instituições. Em São Paulo, ela descreveu que *“assim que um novo diagnóstico acontece via triagem neonatal, o pediatra recebe uma espécie de cartilha com informações sobre a doença. Quando existem casos de íleo meconial, por exemplo, também tenho uma interlocução direta entre a secretaria de saúde e os cirurgiões. Eles ligam diretamente no momento em que há uma identificação de íleo meconial para saber o que é necessário fazer”*.

O Dr. Carlos também disse que vivencia uma realidade parecida, embora atue diretamente na saúde suplementar. Ele revelou que conhece os responsá-

4 Athanazio, R. A. et al. **Diretrizes brasileiras de diagnóstico e tratamento da fibrose cística**. ARTIGO ESPECIAL. J. Bras. Pneumol. v. 43, n. 3, May-Jun 2017. <https://doi.org/10.1590/S1806-37562017000000065>

5 Brasil. Ministério da Saúde. **Programa Nacional de Triagem Neonatal**. <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/saes/sangue/programa-nacional-da-triagem-neonatal>

6 Portaria nº 822, de 6 de junho de 2001. **Programa Nacional de Triagem Neonatal – PNTN**. https://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2001/prt0822_06_06_2001.html

DEBATE 
Complexo

Teia 
ASSISTENCIAL


PCDT

 INCORPORA
ANTIBIÓTICO

PACIENTE MIGRA público ↔ privado

DOENÇA pouco
debatida



HOJE A DOENÇA TEM
 maior visibilidade
PARA A SOCIEDADE

GRANDE GRUPO
DE ADVOCACY 

ORGANIZA
FIBROSE

CENTROS DE
REFERÊNCIA 

Estado de São Paulo

 PROGRAMA DE ASSISTÊNCIA
DE EXCELÊNCIA

MAIOR CONSCIENTIZAÇÃO

EXISTE JUDICIALIZAÇÃO
EM ALGUNS CASOS

Novo centro
no Estado do
Maranhão

FORA DO ESTADO
A SITUAÇÃO É DIFERENTE

não há processo de
judicialização
apenas na suplementação
pois não é considerada tratamento

FALTAM RECURSOS
PARA DIAGNÓSTICO
E TRATAMENTO

SUS DesIGUAL

NOS ESTADOS E CIDADES

FALTA DE PROFISSIONAIS
ESPECIALIZADOS E PEDIATRAS

JORNA

PACIEN

FIBROS

NO B

TER NÚCLEOS DE ESPECIALIDADES

MESMO EM SP, NAS
PERIFERIAS, FALTAM PEDIATRAS

COMO TER UM
PROGRAMA JUSTO
PARA TODOS?



Call for Action



PROMOVER 
DEBATES

CANAL DE COMUNICAÇÃO
MAIS ALINHADO

Awareness 



CONSIDERAR A
SUPLEMENTAÇÃO
como parte do
tratamento

MAIS Ações Cívicas
Públicas

PARA COBRAR
COISAS QUE JÁ
EXISTE

com ajuda
do advocacy



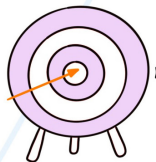
ALGUNS PROCEDIMENTOS DE FISIOTERAPIA

CIÇÃO DA CÍSTICA

TRIAGEM NEONATAL

ADA DO ITE COM E CÍSTICA BRASIL

Tratamento



OBJETIVO DE INDIVIDUALIZAR O TRATAMENTO

Personalização

PROJETO TERAPÊUTICO SINGULAR



NECESSIDADE DE EQUIPE MULTIDISCIPLINAR

Educação Contínua



ALINHAR A LINGUAGEM

TRABALHO CONJUNTO!

INTEGRAR público - privado

Cuidar de ADULTOS JOVENS E ADOLESCENTES



20 anos Média de idade de óbito ESTÁ CAINDO!

Ensino Médico



IMPORTE CONHECER SOBRE A DOENÇA NA FORMAÇÃO

NÃO PRECISA SABER TRATAR, E SIM *desconfiar*



PARA O DIAGNÓSTICO PRECOCE

A QUESTÃO É PROMOVER UMA VIDA PRODUTIVA PARA O PACIENTE

autonomia autocuidado

NO SUS NÃO TEMOS O TESTE DO SUOR APÓS 2 ANOS DE IDADE!

DEIXAR MAIS CLARO OS CRITÉRIOS DE

INCORPORAÇÃO
DESINCORPORAÇÃO



Facilitação do Contato

ENTRE O PÚBLICO E O PRIVADO

PROCESSO MAIS

I.N.T.E.G.R.A.D.O

Olhar para o paciente
OUVIR A HISTÓRIA

ALFABETIZAÇÃO SANITÁRIA

DAR voz PARA OS PACIENTES

lemedicina

ESPECIALISTAS
ACESSAR LOCAIS COM MENOS ACESSO



Diálogo aberto

ENTRE O PROFISSIONAL DA SAÚDE E PACIENTE

DISCREPÂNCIA DE REALIDADE

TRIAGEM NEONATAL

QUEBRA DE PARADIGMA

AVANÇO TECNOLÓGICO NÃO ESTÁ ACONTECENDO

FALAR DE ATENÇÃO BÁSICA!

É na soma dos múltiplos olhares que se enxerga o todo

veis pelos centros de referência de todo o estado em que atua (São Paulo) e que, assim que recebe um novo diagnóstico na saúde suplementar, consegue ter contato com os centros de referência de FC, e, na sua opinião, “o melhor lugar para o paciente com FC estar é no serviço público, no SUS”, e na saúde suplementar é possível complementar o tratamento. O Dr. Carlos ainda indagou que “deve haver uma facilitação nesse contato entre a rede privada e a rede pública, para haver esta simbiose com o objetivo de cuidar melhor desse paciente”.

A colocação do Dr. Carlos é também enfatizada nas Diretrizes Brasileiras de Diagnóstico e Tratamento para Fibrose Cística⁷, nas quais os autores descrevem que, considerando a complexidade da FC e as peculiaridades do seu tratamento, existem evidências de que o tratamento em centros de referência especializados, que dispõem de equipe multidisciplinar, apresenta melhores resultados clínicos, com impacto no prognóstico.

A Dra. Mariane, que chefia o ambulatório de FC para adultos no Hospital de Clínicas, em Curitiba, concorda com a importância do encaminhamento das pessoas com FC para centros de referência estabelecidos no SUS. Ela reforça que o importante não é saber tratar a FC, mas, sim, saber identificar e saber para quem encaminhar. “Diagnosticou alguém com a FC? Entre em contato imediatamente com o Instituto Unidos pela Vida, com as associações de assistência, com os centros de referência e encaminhe esse paciente. Ele precisa estar inserido no centro de referência pelo SUS, que é por onde conseguirá ser atendido de modo multidisciplinar.”

Ela também disse que, no Centro onde ela trabalha, o paciente é atendido pela equipe de pneumologia e, depois, na mesma manhã da consulta, pelo fisioterapeuta, educador físico e nutricionista.

Uma fase que demanda atenção, segundo os debatedores, é o início da transição para a fase adulta, que, ainda segundo a Dra. Mariane, no Centro em que ela atua, se inicia aos 14 anos de idade. É um momento delicado por causa do que foi vivido até então na pediatria – em que os atendimentos eram sempre realizados com acompanhamento dos pais. A questão, hoje, dos profissionais que atuam na FC, nas suas palavras, “é conseguir contribuir para que esses pacientes tenham uma vida com sonhos, realizações, autocuidado e autonomia. Precisamos estimular que eles venham sozinhos às consultas, que aprendam a lidar com questões de sua saúde, que se insiram na vida, no mercado de trabalho, nos relacionamentos”.

Ela compartilhou ainda que, certa vez, “um paciente comentou que a família não o deixava fazer as coisas sozinho, tomar suas próprias decisões ou assumir maiores responsabilidades, porque seu objetivo principal era “sobreviver”. E revelou que esse paciente está hoje com quase 40 anos de idade, seguindo com a percepção de que deve apenas sobreviver, e que ela vem trabalhando para que ele perceba sua realidade de forma diferente. Ela convidou todos para uma reflexão sobre o fato de que pessoas com FC precisam viver com qualidade, com sonhos e com motivações, e que isso precisa ser trabalhado com o paciente desde a infância, e não apenas com 40 anos de idade. “acolher o paciente, adaptar o tratamento. A FC é uma doença que judia muito do paciente – não tem dia do perdão, o tratamento é diário, em alguns momentos é necessário internamento, puncionar veia, tomar dezenas de medicamentos, coletar exames de sangue, fazer muita inalação etc. Precisamos cuidar dessas pessoas com empatia.”

Concordando veementemente, Cristiano apresentou o triste dado de que no Rio de Janeiro menos de um terço dos pacientes são adultos, enquanto, segundo ele, mais de 50% dos pacientes nos EUA são maiores de idade. “Infelizmente, no Brasil ainda vemos questões complexas relacionadas a óbito em crianças com fibrose cística (metade dos óbitos de FC no Rio de Janeiro no ano passado foi de crianças), o que é inadmissível em outros países.” Com muita razão e histórico de luta, Cristiano enfatizou: “Não queremos pena, queremos trabalho e mudanças! É inadmissível ainda termos pacientes pediátricos falecendo com fibrose cística. Infelizmente, embora exista tanto avanço tecnológico, de medicamentos e diagnóstico, ainda não podemos falar para os pacientes ficarem tranquilos – ainda não temos todos os meios para isto”.

A fala do Cristiano remete ao que existe hoje para tratamento da FC no Brasil. Recentemente atualizado, o PCDT⁸ – antes separado em dois documentos: um para manifestações pulmonares e outro para manifestações pancreáticas – foi unificado e trouxe novidades em seu texto, como a questão do teste genético, detalhamento sobre diagnóstico por meio do teste do suor e teste do pezinho, manifestações clínicas e casos especiais. Como tratamento, o protocolo apresenta os critérios para o tratamento com alfadornase, tobramicina, pancreatina e ivacaftor, o primeiro modulador da proteína aprovado pelo Food and Drug Administration (FDA) em 2012 e recomendado para incorporação ao SUS em 2020, após consulta pública na

7 Athanazio, R. A. et al. **Diretrizes brasileiras de diagnóstico e tratamento da fibrose cística.** ARTIGO ESPECIAL. J. Bras. Pneumol. v. 43, n. 3, May-June 2017. <https://doi.org/10.1590/S1806-37562017000000065>

8 Brasil. Ministério da Saúde. **Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021.** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf

Conitec, que teve sua decisão inicial desfavorável revertida. Além desses medicamentos, o protocolo também apresenta dados sobre transplante, tratamento nutricional e medicamentoso, doença hepática relacionada à FC (DHFC), imunização e outros.

Após a publicação desse PCDT no Diário Oficial da União (DOU), no final do ano de 2021, outras incorporações de tecnologias já aconteceram no SUS, como: colistimetato sódico para pacientes com manifestações pulmonares de FC com infecção por *Pseudomonas aeruginosa*; dispositivo individual de pressão expiratória positiva do tipo máscara (PEP)/pressão expiratória nas vias aéreas (EPAP) para o tratamento da FC; teste de elastase pancreática fecal para pacientes com FC com dúvida diagnóstica de insuficiência pancreática exócrina; e o procedimento de ventilação mecânica não invasiva domiciliar para o tratamento de pacientes com FC associada a insuficiência respiratória avançada. Todas essas tecnologias receberam recomendação final favorável para incorporação no SUS.

Verônica lembrou que, “em dez anos, houve uma evolução imensa no cenário da fibrose cística: o PCDT foi atualizado, exames genéticos começaram a ser realizados, o primeiro modulador foi aprovado junto ao FDA em 2012, mas somente em 2020 foi recomendado para incorporação no SUS, em 2021 foi incorporado ao PCDT e, até meados de 2022, ainda não chegou às mãos de quem precisa”. Infelizmente, segundo ela, ainda se faz necessária muita luta no que tange ao controle social para que se cumpram os prazos de dispensação no SUS após a publicação no DOU e também para que medicamentos de base do tratamento sejam adquiridos e entregues aos pacientes mensalmente, para que exames sejam realizados e todo acesso se cumpra como se deve.

A saber, o ivacaftor⁹ é um modulador da proteína CFTR que foi estudado inicialmente em pacientes portadores da mutação G551D (classe III). Seu uso teve efeitos relevantes na redução dos níveis de cloreto no suor, melhora do volume expiratório forçado no primeiro segundo (VEF1), nos exames de função pulmonar, e ganho ponderal, assim como na redução do número de exacerbações e na melhora da qualidade de vida. Seu uso foi posteriormente aprovado para outras mutações, e hoje ele está incorporado¹⁰ no SUS para pacientes com diagnóstico clínico e laboratorial de FC, com idade igual ou superior a 6 anos e, pelo menos, 25 kg, e que apresentem uma das se-

guintes mutações de *gating* (classe III) no gene regulador da condutância transmembrana da FC (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.

Além desse modulador, há outros três já aprovados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa): o lumacaftor/ivacaftor, para o tratamento de pacientes com FC homozigótica para a mutação F508del, que recebeu recomendação final desfavorável para incorporação ao SUS¹¹; o tezacaftor-ivacaftor, para o tratamento de pacientes com FC com 12 anos de idade ou mais com mutação F508del do gene CFTR em homozigose ou com mutação F508del e uma das seguintes mutações: P67L, D110H, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G, e 3849+10kbC→T, que também recebeu recomendação final desfavorável para a incorporação¹²; e a tripla combinação (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), indicada para o tratamento da FC em pacientes com 6 anos de idade ou mais, que recebeu aprovação da Anvisa em março de 2022¹³ mas, até o momento desta publicação, ainda não havia sido apreciada pela Conitec, e que tem sido considerada por todo o mundo um “divisor de águas” na vida das pessoas com FC.

Como conclusão do debate sobre tratamento e medicamento para FC, o Dr. Carlos Eduardo, que atua na saúde suplementar, disse que, embora atenda pacientes em seu consultório, ele sempre os encaminha para os centros de referência para que sejam atendidos pela equipe multidisciplinar e recebam seus medicamentos pelo SUS. “Sou a favor de lutar por tudo que contribua para que o paciente tenha uma melhor qualidade de vida. Se há algo que melhore a qualidade de vida, eu vou brigar. Mas na FC a gente ainda se depara com coisas básicas que precisam ser muito lutadas para conseguir.”

A importância de um olhar multidisciplinar para uma doença multissistêmica: É nos múltiplos olhares que conseguimos enxergar o todo

O caloroso debate entre os especialistas navegou inicialmente sobre a importância do diagnóstico precoce

9 Athanazio, R. A. et al. **Diretrizes brasileiras de diagnóstico e tratamento da fibrose cística.** ARTIGO ESPECIAL. J. Bras. Pneumol. v. 43, n. 3, May-June 2017. <https://doi.org/10.1590/S1806-37562017000000065>

10 Brasil. Ministério da Saúde. **Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021.** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf

11 Brasil. Ministério da Saúde. **Relatório de Recomendação. Lumacaftor/ivacaftor.** http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/20201203_Relatorio_Lumacaftor_Ivacaftor_para_Fibrose_Cistica_579.pdf

12 Brasil. Ministério da Saúde. **Relatório de Recomendação. Tezacaftor/ivacaftor.** http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220601_Relatorio_728_tezacaftor_ivacaftor_FC.pdf

13 Brasil. **Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa.** <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/trikafta-r-elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor-novo-registro>

e do tratamento adequado, passou com profundidade sobre a importância dos centros de referência e seguiu para a relevância das equipes multidisciplinares, que podem fornecer melhor atendimento às pessoas com FC.

Por ser uma doença complexa e que demanda diferentes visões, a Dra. Carmela brilhantemente resumiu a importância da multidisciplinaridade: “*é nos múltiplos olhares que conseguimos enxergar o todo*”. Como líder em uma secretaria de saúde, ela revelou que, “*para poder ter essa visão do paciente, do usuário do SUS, precisamos desta soma dos múltiplos olhares*”.

Espera-se que o primeiro profissional a atender um recém-nascido seja o pediatra. Segundo a Dra. Carmela, os profissionais dessa especialidade “*são detalhistas, exaustivos, preocupados e sentem-se responsáveis pelo paciente. É o alvo de atuação*”.

O principal objetivo das equipes multidisciplinares, segundo Oliveira (2020)¹⁴, é somar conhecimentos e atuar de maneira conjunta, visando realizar um cuidado dinâmico, integral e efetivo aos pacientes e familiares. É comum que reuniões entre esses profissionais sejam realizadas para que cada caso seja discutido de maneira detalhada, buscando a melhor solução possível para determinada situação, o que contribui para a melhora no prognóstico e na qualidade de vida. São diversas as especialidades e os profissionais envolvidos no cuidado de uma pessoa com FC: geneticista, gastroenterologista, pediatra, pneumologista, enfermeiro, fisioterapeuta, nutricionista, farmacêutico, psicólogo, assistente social, educador físico e dentista. É por meio do trabalho em conjunto desses profissionais que o melhor pode ser proporcionado a quem tem a doença.

No cenário da FC, a Dra. Carmela afirmou que “*o movimento social levou a FC a ser um modelo de assistência junto a todas as instâncias de governo e obter os resultados que se tem hoje*.” Essas conquistas se devem, também, ao trabalho incansável das associações de assistência à FC do Brasil, que estão presentes em praticamente todos os estados do país, visando representar os pacientes desses estados, lutar pela defesa e garantia de direitos, acesso, assistência, tratamento, entre outras ações. Para conhecer todas as associações de assistência e centros de referência existentes no país, Verônica sugeriu que os interessados acessem: unidospelavida.org.br/encontre-ajuda.

Ao mesmo tempo em que “*a FC é um modelo de como se trabalha, de como se profissionalizam ONGs, é um modelo de estruturação para doença rara, pen-*

sando que são doenças crônicas”, definiu a Dra. Carmela. Ainda “*precisamos melhorar muito na ponta – ter mais tratamentos disponíveis, assim como exames como tomografia e cultura de escarro*”, como lembrou a Dra. Mariane.

Ainda há muito por fazer e melhorar para esses pacientes. Porém, a Dra. Mariane continuou: “*para atender FC, o médico precisa também gostar de atender. Se é difícil para o médico, pela complexidade envolvida, é ainda mais difícil para o paciente – que precisa realizar todas as etapas prescritas. Para que a assistência seja mais homogênea no nosso país, ainda há muito trabalho por fazer*”.

Conhecer para conviver: a vez e a voz das pessoas com fibrose cística

“As crianças nascem crianças – depois elas são identificadas com doenças raras.”

Dra. Clarice Petramale

“Nunca me conformei a ser educado para tratar uma doença, porque entendo que preciso tratar uma pessoa. Quem entra pela porta não é um pulmão, e sim um indivíduo com histórias e sonhos. Precisamos parar de olhar para o paciente com a fibrose cística, e sim para a pessoa que entra pela nossa porta. Assim, conseguiremos fazer um tratamento mais humano e adequado. Reforço sempre isto com os pais: a FC é parte da vida do seu filho, mas ele não é isso! Mudar esse conceito faz com que ele viva, e não apenas sobreviva. Nosso objetivo enquanto profissionais da saúde é fazer com que ele viva.”

A partir dessa importantíssima reflexão, o Dr. Carlos Eduardo endereçou a discussão para uma realidade muito comum: pessoas com FC, em sua grande maioria, são vistas como uma “doença”, e não como pessoas que podem e devem ser estimuladas a desejar uma carreira, estudar, almejar, desde que tenham condições de saúde para tal e que possam usufruir de seus direitos, como, por exemplo, diagnóstico precoce e tratamento adequado. Ele complementou: “*como pediatra, me incomoda que não damos voz aos pacientes. Eles são muito maduros e muitas vezes a gente não os escuta. Por vezes sou até indelicado com os pais – peço licença e digo para que deixem seus filhos falarem*”. Nessa linha, a Dra. Clarice concordou e disse que “*a pediatria precisa ser reposicionada. Essa história de falar só com a mãe e pedir para a mãe fazer tudo já não funciona mais*”.

Verônica relembrou como se deu seu diagnóstico e elogiou as colocações anteriores: “*Me alegra ver o exemplo do Dr. Carlos Eduardo, quando ele fala dos pacientes. Temos um lema no Instituto que diz que*

14 Oliveira, V. G. S. B. Profissionais da Saúde. **Conhecendo a Equipe Multidisciplinar da Fibrose Cística**. Unidos pela Vida – Instituto Brasileiro de Atenção à Fibrose Cística. <https://unidospelavida.org.br/wp-content/uploads/2020/11/web-cartilha-profissionais-da-saude.pdf>

a fibrose cística é parte do que somos, e não o limite do que podemos ser. Recebemos contato de pessoas de diversos locais, mas ainda vemos que majoritariamente são as mães que cuidam, que se responsabilizam pelos filhos e cuidados, que abrem mão de seus sonhos e carreiras para cuidar dos filhos. Ao mesmo tempo, também reforçamos que por trás daquele paciente há uma pessoa que não deve ser esquecida. Por trás do nome fibrose cística há alguém com sonhos e uma família que merece viver bem”.

Cristiano, que é pai de um adolescente com FC, destacou que há muitos trabalhos sobre essa temática no Rio de Janeiro, na Clínica Piquet Carneiro, com a psicóloga estimulando que crianças e jovens entendam sobre suas condições e passem a falar e a compreender melhor sobre a FC. Ele ainda reforçou que, no Instituto Unidos pela Vida, há muitos materiais publicados sobre o tema que falam sobre a FC para diferentes públicos e idades, e lembrou que ficou muito chocado quando, em um Congresso de Fibrose Cística, há anos atrás, um paciente ficou literalmente sentado no centro de uma plenária enquanto ouvia falar dele, do caso dele. Ele ainda pontuou, historicamente, que, em 2017, Verônica começou a participar da organização dos congressos brasileiros, envolvendo todas as associações na edição seguinte do congresso: *“foi uma virada de chave no que tange a colocar o paciente no centro”*, completou. Relatando uma situação pessoal, Cristiano disse que seu filho de 17 anos de idade participa ativamente de todas as consultas, embora a adolescência já seja um momento repleto de complexidades pertinentes à fase em si.

Verônica contextualizou dizendo que gestores, profissionais da saúde, associações, pessoas com FC, familiares e demais envolvidos com a FC precisam também entender a importância da alfabetização sanitária, também conhecida como educação em saúde: *“você precisa entender o que você tem e quanto melhor você conhecer sua realidade, melhor será seu prognóstico, sua qualidade de vida e sua navegação no sistema de saúde. Quanto mais você se conhecer, melhor será seu diálogo com o profissional da saúde e entendimento de cada etapa do seu tratamento”*.

Alfabetização sanitária é a capacidade de o indivíduo obter, processar e compreender a informação que recebe sobre sua condição de saúde, de modo a poder tomar as decisões que mais o beneficiem¹⁵. Níveis baixos de alfabetização sanitária custam para os sistemas de saúde em torno de 73 bilhões de dólares

por ano¹⁶. A baixa alfabetização em saúde está associada a opções menos saudáveis, comportamentos de saúde mais arriscados, pior estado de saúde, menor autogestão, custos mais altos e uso inadequado do sistema de saúde (mais idas à urgência). Portanto, empoderar as comunidades para potencializar a alfabetização sanitária constitui um elemento-chave de sucesso¹⁷.

Além da importância de saber o que se tem e compreender sua realidade, o paciente não só precisa como também quer ser ouvido. *“A gente não vive para se tratar, a gente se trata para viver”*, afirmou Verônica, que segue com um questionamento aos profissionais da saúde presentes: *“quantas vezes vocês já perguntaram aos seus pacientes quais são suas motivações de vida?”*. Segundo ela, tal percepção pode contribuir para a melhor adesão ao tratamento.

Colocar o paciente no centro, ouvi-lo e permitir que ele compreenda o que tem e compartilhe suas angústias é definido pelo conceito de *“Patient Expert”*, em que, segundo o *Institute of Medicine*¹⁸, o autocuidado se define como as habilidades que um indivíduo deve ter para conviver com uma ou mais enfermidades crônicas. Isso inclui não somente ter a confiança para manejar os temas de saúde, como também os aspectos emocionais e sociais de sua condição.

A Dra. Carmela contextualizou ainda que, pela sua experiência, *“adolescentes e jovens querem ser ouvidos, querem liberdade. Querem a tecnologia de um prontuário on-line, não querem papéis. Dizem que não querem que pais estejam juntos em alguns momentos nas consultas, querem falar, querem fazer coisas da adolescência”*. Segundo ela, *“isso é um ‘problema bom’, afinal agora estão chegando à adolescência, à fase adulta, e pedem respeito, pedem pra serem ouvidos”*.

A pediatra ainda disse que é importante que se tenha um olhar especial para adolescentes e adultos com FC. *“Como vamos tratar com questões de autocuidado? Adolescentes falam que querem ouvir a verdade, que não querem mais médicos que falem somente com os pais, e sim que falem com eles. É um ‘grito de liberdade’ dos adolescentes. A questão da Verônica é diferente – foi um drama humano, uma imensa privação de direitos humanos. Ainda há muitas pessoas sem diagnóstico, mas há também uma grande parcela que foi diagnosticada antes e que cresce sabendo o que tem. Doença crônica é tratamento para a vida toda. Conversem com seus pacientes!”,* conclui.

15 Institute Of Medicine (IOM). **Committee on Health Literacy. Health Literacy. A prescription to end confusion.** Washington DC: The National Academies Press, 2004.

16 White, S. **Assessing the Nation’s Health Literacy: Key Concepts and Findings of the National Assessment of Adult Literacy.** Chicago, IL: American Medical Association Foundation, 2008.

17 Diplomatura en Health Literacy. Fundación Hospital Universitario. 2021.

18 Diplomatura en Health Literacy. Fundación Hospital Universitario – Institute Of Medicine. 2021.

Identificando desafios e boas práticas e endereçando soluções

Conhecer a FC para identificá-la precocemente; ter exames para triar e confirmar o diagnóstico; ter acesso ao tratamento completo; ter equipes multidisciplinares em centros de referência e trabalho em conjunto. Esses foram alguns tópicos que os especialistas apresentaram ao final do debate, também visando compartilhar com todos os leitores deste material pontos importantes no que tange aos desafios e às boas práticas ligadas à FC no Brasil.

Como primeira sugestão de boa prática, Cristiano citou que no Rio de Janeiro há um grupo de trabalho liderado pela associação de pacientes, com membros do centro de referência e a secretaria estadual de saúde, que tem o objetivo de levar demandas, mas também de falar sobre desincorporação, ajustes, mudanças e atualizações. *“São quatro reuniões anuais deste grupo de trabalho, onde levamos dados de estoque de medicamentos para trabalhar de modo antecipado, evitando que falte e que a ação só exista no momento em que as medicações estejam faltando. Há, infelizmente, muitas judicializações de medicamentos que já estão na RENAME, mas que estão sendo descumpridas”,* afirmou Cristiano.

Em linha, a Dra. Carmela disse: *“É inadmissível que não haja dados de saúde”*. Segundo ela, as secretarias e demais entidades que prestam assistência a FC e a outras patologias, além da saúde de modo geral, precisam trabalhar com dados atualizados e que sirvam de alerta e acompanhamento. Não há gestão efetiva sem dados para serem observados e utilizados.

Ainda sobre gestão e SUS, a Dra. Clarice lembrou: *“Infelizmente ainda existe um SUS muito desigual. Se formos observar por regiões, é possível notar que faltam muitos pediatras – e como vamos cuidar da saúde das crianças sem pediatras?”*. Segundo ela, a saúde perdeu muito desde 2014, desde incentivos até apoio. Ela afirmou ter observado uma falta enorme de pediatras tanto na rede pública quanto na rede privada e disse que a atenção básica precisa de reforços urgentes, especialmente de pediatras.

Cristiano ainda trouxe outro exemplo de boa prática para a FC. Segundo ele, a equipe do Hospital da Criança de Brasília tem uma caderneta que fala sobre o tratamento e o diagnóstico da FC, bem como sobre o acesso e os direitos relacionados à doença, que traz informações sobre os pacientes e que acaba sendo uma espécie de prontuário para ajudá-los a entender sobre as consequências de faltar a uma consulta, de não aderir ao tratamento etc. Ele lembrou ainda que o Instituto Unidos pela Vida também

disponibiliza inúmeros materiais educativos para familiares, acadêmicos, pessoas com FC, profissionais da saúde e demais interessados, gratuitamente, no portal da organização.

Ainda sobre os desafios, Verônica lembrou que existe uma necessidade latente de falar de assistência básica, mas ao mesmo tempo é preciso falar sobre a evolução do tratamento ao redor do mundo – ainda não disponível no Brasil –, que estamos perdendo pessoas com FC cedo demais e que *“não podemos deixar de exercer o controle social, cobrando aquilo que já está previsto para que seja executado, como medicamentos incorporados ainda não dispensados, PCDT aprovado e ainda não executado, exames previstos e não realizados”*.

A Dra. Clarice reforçou que é inegável a necessidade de cobrar aquilo que já está previsto em política pública, que já existe e que precisa ser aplicado e realizado: *“Esse é o tipo de advocacy que não deve deixar de existir: cobrar as políticas, além de fazer com que o advocacy ajude a atualizar as políticas existentes, de modo que tenhamos sempre protocolos atualizados, com o melhor que a medicina pode oferecer etc. E ações civis públicas para cobrar políticas que não são realizadas”*.

Sobre a falta de medicamentos, Cristiano lembrou que, infelizmente, em alguns casos a judicialização é a única opção. As associações, segundo ele, de modo exaustivo, sempre tentam conseguir os suplementos por via administrativa antes de acionar a justiça, mas, enquanto eles não forem entendidos como tratamento, não vai ser fácil a incorporação deles. Então, ele relatou que só nove estados têm polivitamínicos, indispensáveis também para o tratamento de quem tem FC.

Outro desafio foi bem lembrado pela Dra. Mariane: *“não temos teste do suor disponível pelo SUS para pacientes com mais de 2 anos de idade. No caso dos adultos, ou o paciente paga ou não faz o exame. Não é um exame barato e, às vezes, as clínicas particulares não tem expertise para fazê-lo com qualidade.”*

O fato de não haver teste do suor para indivíduos com mais de 2 anos de idade, segundo os debatedores, impacta negativamente o grande desafio que é identificar tantas pessoas que têm FC, mas ainda não receberam seu diagnóstico. Verônica ainda lembrou que, embora a incidência da FC seja de 1 a cada 7 mil nascidos vivos, de modo arredondado, e que tenhamos em torno de 3 milhões de nascidos vivos por ano, só temos aproximadamente 6 mil pessoas com FC identificadas e em tratamento hoje no Brasil, e esse número está muito aquém do que deveria ser.

A saúde que queremos está em nossas mãos

“Teríamos assunto para uma semana de debates”, brincou Verônica. Como diz o ditado, em toda brincadeira há um fundo de verdade. Indiscutivelmente relevante para toda a agenda de saúde, aprofundar-se na jornada de quem tem FC no Brasil é dever de todos os gestores de saúde. “Eu quero atuar pela população. Gestores precisam atuar pelo lado de todos”, afirmou a Dra. Clarice.

Esse desafio precisa ser dividido, somado aos múltiplos olhares, e deve-se maximizar o atendimento de qualidade a quem precisa. “Não há como avançar sem trabalho e diálogo em conjunto: governo, saúde pública, privada, sociedade médica”, resumiu Verônica, que ainda disse: “enquanto houver fôlego, haverá luta”.

A Dra. Mariane brilhantemente deixou como mensagem final um grande pedido a todos os gestores e profissionais da saúde: “Cuidem do paciente! Quem tem FC é um paciente crônico e tem uma vida muito sofrida. Trabalho na assistência e vivo fibrose cística há 15 anos. Sou fã de meus pacientes, porque a jornada é muito pesada. Adoro vê-los estudando, se formando, etc. Às vezes também precisamos “puxar a orelha” quando eles estão “voando” muito e deixando o tratamento de lado. Cuidem dos seus pacientes. Escutem-nos e discutam juntos. Eles são protagonistas das suas vidas”.

A Dra. Carmela também frisou o que as pessoas com FC esperam. Segundo ela, elas “não querem mais sugestões, querem soluções”. (...) Estamos num momento novo na saúde pública pós-pandemia, estamos na mesma página discutindo o que falta e o que faremos no futuro”. Ela ainda destacou que em todo o mundo é um grande desafio atuar com doenças crônicas e fez uma importante fala de encerramento:

“Buscamos sempre, enquanto secretaria de saúde, entender como está a atuação para doenças raras no mundo todo, como se dá atendimento de doenças crônicas etc. Existe uma necessidade do mundo entender como é cuidar de pessoas com doenças raras, nesse novo momento revolucionário que estamos vivendo, com a chegada de tantas novas terapias para diferentes doenças. Precisamos discutir terapêutica gênica, terapêutica do RNA... Todos os profissionais da saúde formados até o final deste ano vão precisar se reciclar, também – porque todo esse volume de conhecimento dentro destes novos tratamentos que são a gran-

de esperança para todas essas pessoas. Discutir hoje quem é o paciente que é elegível para uma possível cura da sua doença é um sonho que era até impossível sonhar antes. Precisamos seguir com critério, com respeito à ciência, aos efeitos adversos, ao paciente. Precisamos seguir os acompanhando, porque tudo ainda é muito novo. Ainda não temos uma massa de conhecimento sobre o que virá para as próximas gerações das pessoas que usam estas medicações etc. A triagem neonatal é uma quebra de paradigma, mas os que estavam aqui antes da triagem também merecem ser tratados com respeito.

É um novo paradigma poder dizer para um paciente que, embora ele tenha uma doença genética, ele vai poder chegar à idade adulta de forma diferente, que ele vai poder fazer uma reprodução assistida etc.

Precisamos nos manter informados, estudando todos os dias. É preciso entender, compreender e referenciar para que, junto com a sociedade, junto com quem é o paciente, possamos construir o que a gente acredita – uma sociedade melhor.

A sociedade brasileira infelizmente não está preparada para a coletividade. É sempre o indivíduo. Mas a fibrose cística demonstra, através de todo seu movimento social, que é possível e necessário pensar nos outros. Sempre trabalhou em conjunto. Precisamos mudar paradigmas e enxergar interligações – estamos todos conectados. Não há mais essa percepção de que, se a doença não está na sua casa, você não deve se preocupar com questões de saúde. Estamos todos neste mundo com as mesmas chances.

Estamos todos aprendendo o tempo inteiro. Como vamos enfrentar esse novo mundo? Estamos todos interligados, o mundo é globalizado. O que acontece do outro lado do mundo nos impacta aqui.

Nessa lógica, a FC comparece nesse cenário com toda essa evolução que ela promoveu nesses últimos 20 anos como modelo. A FC tá aqui como testemunha que dá pra fazer uma organização que garanta direitos e que cobre os gestores de saúde para que executem o que é de direito”.

E com essa importante fala de encerramento proferida pela Dra. Carmela, com o pleno entendimento de que este debate precisa ser levado a todos os que estão direta ou indiretamente envolvidos com a FC, o Dr. Stephen, moderador do diálogo, considerou o diálogo extremamente frutífero e esclarecedor, e encerrou-se as atividades do dia, com grandes desafios a serem trabalhados no futuro.

