

Viver com

# FIBROSE CÍSTICA

Um programa de autoaprendizagem para pacientes, familiares e cuidadores



# Visão geral do programa

1. **MÓDULO 1:** Bem-estar e Apoio

---

2. **MÓDULO 2:** Sistemas de Apoio Familiar

---

3. **MÓDULO 3:** Educação do Paciente e Adesão ao Tratamento

---

# Bem-estar e apoio

O panorama do tratamento mudou, mas o acesso continua desigual, e o fardo da saúde mental é real

- 1.1 Moduladores: Acesso e impacto na qualidade de vida dos pacientes
- 1.2 Desafios psicossociais
- 1.3 Desafios específicos por faixa etária (crianças, adolescentes e adultos)
- 1.4 Estratégias para o manejo da ansiedade, depressão e isolamento social
- 1.5 Tratamento abrangente

Módulo 1 - Bem-estar e apoio

# 1.1 Moduladores



# O que são moduladores do CFTR?

## Os moduladores de CFTR tratam o defeito de origem

Na FC, a **proteína CFTR apresenta uma estrutura anômala ou está ausente**; ela não consegue desempenhar sua função de transportar sal e água através das membranas celulares. Isso causa o muco espesso e pegajoso que, com o tempo, danifica os pulmões, o pâncreas e outros órgãos.

Os **moduladores de CFTR corrigem ou compensam diretamente esse defeito da proteína**, tornando-se os primeiros tratamentos a alterar o curso da doença, e não apenas a controlar suas consequências.

*O avanço mais significativo na história da FC*

~90% das pessoas com FC apresentam mutações que respondem ao Trikafta (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor)



# Em toda a região: aprovação ≠ acesso

## Argentina

### *Determinação por lei*

A Lei Nacional de FC exige a cobertura de TODOS os medicamentos para FC, incluindo moduladores, pelo Plano de Saúde. No entanto, ainda há um atraso no acesso.

## Brasil

### *Sistema Público (2023)*

Após anos de mobilização e decisões judiciais, o Trikafta foi incluído no SUS em 2023. O acesso está se expandindo lentamente, mas ainda não é universal.

## Colômbia

### *Disponível parcialmente*

Os moduladores estão disponíveis por meio do EPS, com esforços contínuos para negociação direta com a indústria e acesso centralizado.

## México

### *Somente Privado*

O Trikafta é aprovado pela COFEPRIS, mas não consta do catálogo de medicamentos do setor público; só é acessível por meio de planos de saúde privados.

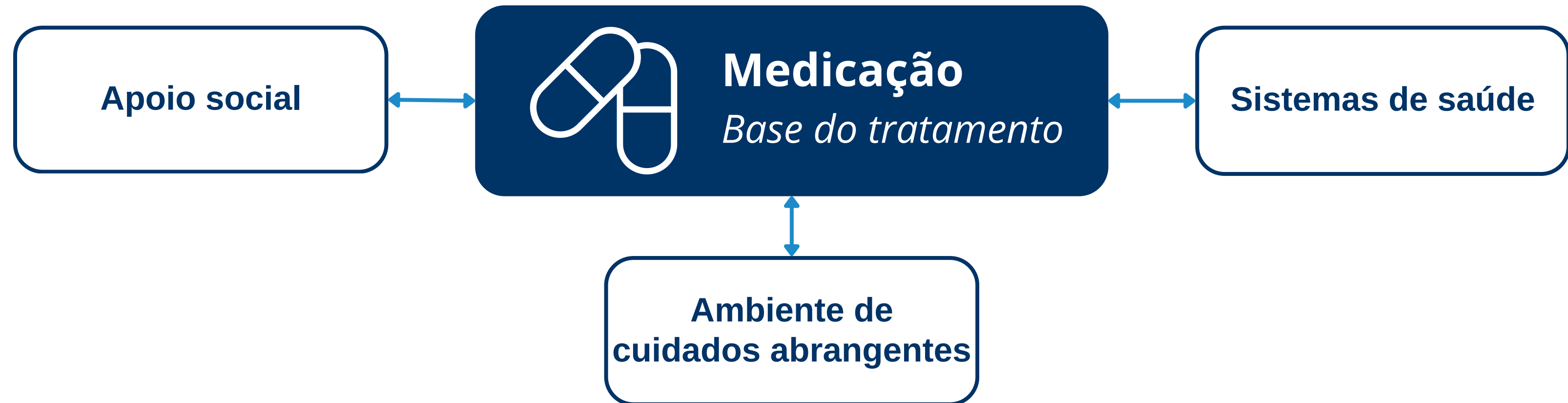
**Nos quatro países: aprovação regulatória ≠ acesso do paciente.**

A lacuna entre a política e a realidade é o principal desafio.



# A saúde como um conceito multifatorial

Abordagem holística e integrada à saúde



A saúde é multifatorial: não depende apenas do acesso a um medicamento, mas também do apoio social, dos sistemas de saúde e de cuidados integrais.



# Evidências clínicas e resultados comparativos



50 crianças latino-americanas  
(Texas Children's Hospital)

**Uso de moduladores**



Nutrição



Função  
pulmonar



Qualidade  
de vida



50 crianças mexicanas  
(Hospital Federico Gómez)

**Sem uso de moduladores**



Nutrição



Função  
pulmonar



Qualidade  
de vida

*“A diferença foi francamente significativa nas três áreas: nutrição, função pulmonar e questionário de qualidade de vida.”*

*-Dr. José Luis Lezana Fernández, Diretor Médico, Associação Mexicana de Fibrose Cística (México)*



# O pipeline de moduladores: Do alívio dos sintomas à modificação da doença

## Primeiro modulador

~4% das mutações

G551D

**Kalydeco**

**2012**

(Ivacaftor)

## Impacto transformador

Combinação tripla  
~90% das mutações

**2019**

**Trikafta /  
Kaftrio**

## Expandir mutações

Primeiro para  
F508del homocigotos  
~45% dos pacientes

## Dosagem uma vez ao dia

Próxima geração  
Adiciona 94 mutações elegíveis  
além do Trikafta  
Eficácia aprimorada



# Barreiras para aprovação regulatória



**Custos elevados**



**Acesso à informação**



**Adoção lenta, à medida que os reguladores adotam moduladores à medida que sua eficácia é comprovada**

## Órgãos reguladores

**Argentina**  
ANMAT

**Brasil**  
ANVISA

**Colômbia**  
INVIMA

**México**  
COFEPRIS



***É uma revolução. Não há realmente outra maneira de descrever isso. Estamos testemunhando uma mudança completa no panorama.***

**Cristiano Silveira**

Diretor de Políticas Públicas e Advocacia · Instituto Unidos pela Vida · Brasil

Módulo 1 - Bem-estar e apoio

# 1.2 Desafios psicossociais

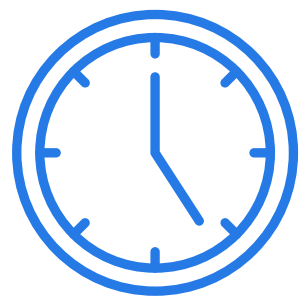


# A realidade da saúde mental na fibrose cística



**3x**

mais propensos a desenvolver **ansiedade ou depressão** do que a população em geral.



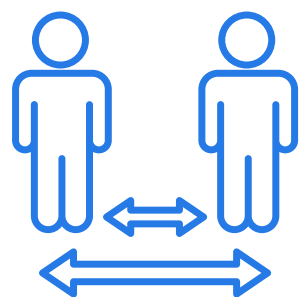
**~3 horas**

de **tratamento necessário todos os dias**, incluindo nebulizações, fisioterapia, enzimas e medicamentos.



**2-3 sem**

de **internação obrigatória** para tratamentos com antibióticos intravenosos, uma grande interrupção no trabalho, na escola e na vida familiar.



**2 metros**

é a **distância mínima** exigida entre pacientes com FC, tornando impossível o apoio presencial entre pares.

**Os próprios moduladores podem desencadear ou agravar sintomas psiquiátricos** (distúrbios do sono, confusão mental, alterações de humor).

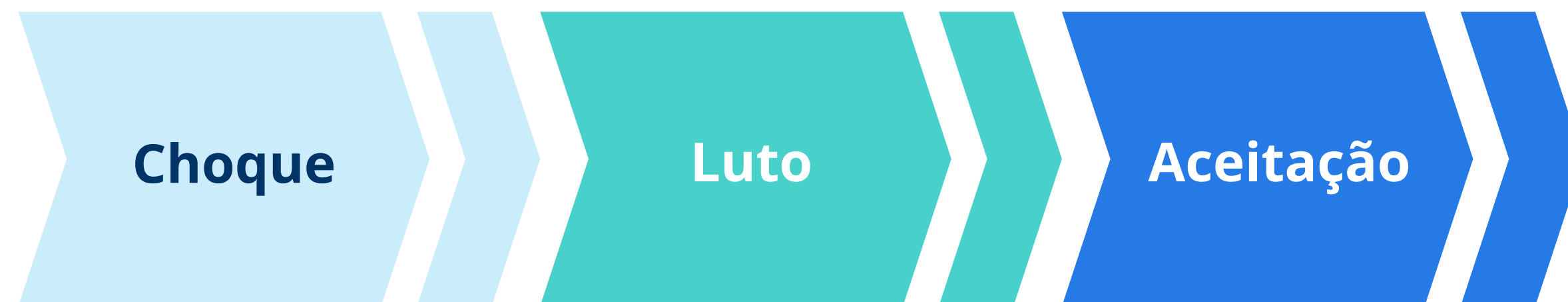
**A saúde mental precária deve ser tratada como uma prioridade clínica**, não como uma preocupação secundária.

A ansiedade e a depressão não tratadas prejudicam diretamente a adesão ao tratamento e os resultados.



# Ambiente emocional familiar

Fases semelhantes ao luto



**A reação da família ao diagnóstico é fundamental para moldar a experiência do paciente, especialmente quando o paciente é uma criança.**  
**A doença crônica é vivida não apenas pelo paciente, mas coletivamente por sua família e em seu ambiente mais amplo.**



# Necessidades emocionais em cada fase da vida



## Crianças

- **Rotinas familiares consistentes** que integram o tratamento à vida cotidiana
- **Apoio**, à medida que as crianças começam a questionar sua condição e por que precisam de tratamento à medida que crescem
- **Informações sobre FC adequadas à idade**, que aprofundem a compreensão da condição ao longo do tempo



## Adolescentes

- **Apoio** para desenvolver autonomia e identidade
- **Ajuda** para equilibrar as exigências do tratamento com a vida social, os relacionamentos e os compromissos escolares ou universitários
- **Acesso** a apoio emocional para lidar com a tristeza e a ansiedade



## Adultos

- **Apoio personalizado** para lidar com relacionamentos, decisões profissionais e as demandas diárias do tratamento na vida adulta
- **Ambientes de trabalho flexíveis e compreensivos** que acomodem as necessidades de cuidados e saúde relacionadas à FC
- **Oportunidades e apoio** para manter conexões sociais e atividades além da FC, a fim de proteger a saúde mental

**O diagnóstico precoce é a chave** para melhorar a aceitação e a qualidade de vida.

Módulo 1 - Bem-estar e apoio

# 1.3 Desafios específicos de cada faixa etária

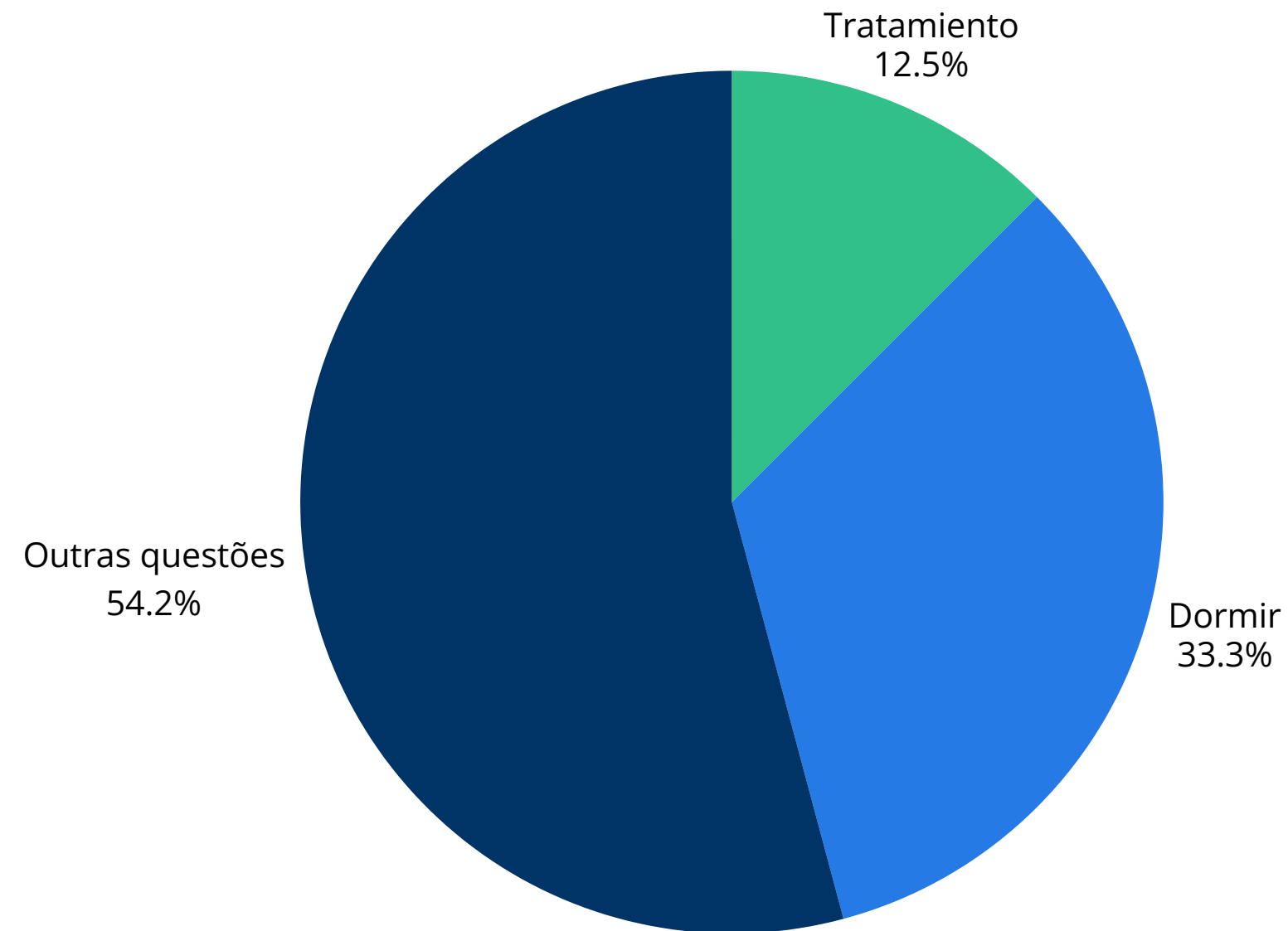


# Ciclo da doença

O tratamento da FC pode levar até 3 horas por dia

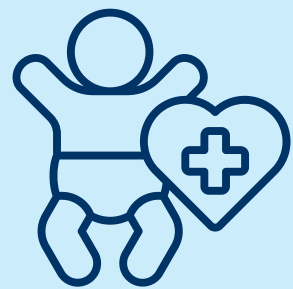
Desde a mais tenra idade, os pacientes e suas famílias devem passar por:

1. **Aceitação**
2. **Compreensão**
3. **Aprender a se comunicar**



A FC é uma doença crônica. É essencial desenvolver autonomia e individualidade para além do tratamento.

# Fibrose cística ao longo das fases da vida: desafios diferentes, recomendações diferentes



## Crianças

- **Incentive a normalização do tratamento** desde cedo,
- Apoie os pais no **equilíbrio entre estrutura, carinho e um senso de normalidade**
- Priorize o **apoio psicológico aos pais** quando o diagnóstico for feito no período neonatal
- Promova a **educação básica sobre FC no ambiente escolar**
- **Garantir o acesso a apoio nutricional**, reconhecendo que os desafios alimentares podem gerar ansiedade significativa nos cuidadores



## Adolescentes

- Reconhecer a **tensão entre independência e adesão ao tratamento** como um desafio determinante
- Reconhecer que a **carga do tratamento (~3 horas/dia) pode afetar a vida social e o desenvolvimento da identidade**
- Apoiar a **transferência precoce e gradual da responsabilidade pelo tratamento** para melhorar a adesão
- **Esteja ciente de que tristeza, medo de hospitalização e interrupção escolar** são comuns e podem exigir apoio adicional



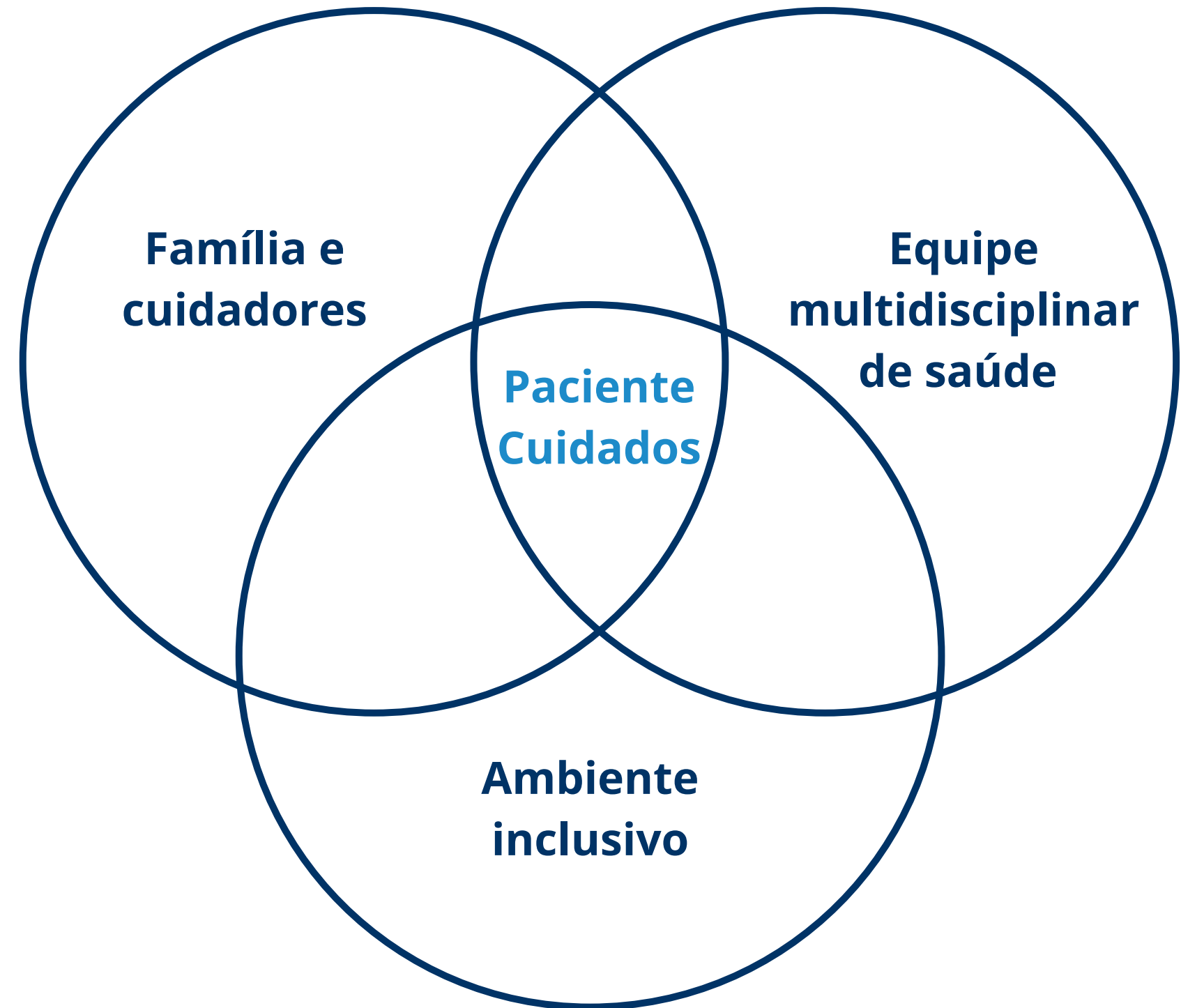
## Adultos

- Reconhecer que **relacionamentos, desenvolvimento profissional e planejamento familiar requerem apoio personalizado**
- Abordar a **transição dos cuidados pediátricos para os cuidados de adultos** como uma lacuna crítica, especialmente onde os serviços para adultos carecem de equipes especializadas em FC
- Reconheça que **muitos países da América Latina carecem de programas de FC para adultos totalmente estabelecidos**, exigindo apoio em nível sistêmico
- Promova a **conscientização no local de trabalho e adaptações** para apoiar as necessidades de tratamento contínuo



**É necessário  
prestar cuidados  
multidisciplinares  
ao longo de toda  
a vida.**

**Apoiar as famílias e os cuidadores para que se mantenham saudáveis e emocionalmente equilibrados é fundamental para a continuidade dos cuidados**



Módulo 1 - Bem-estar e apoio

# 1.4 Estratégias para lidar com questões de saúde mental



***Tanto as pessoas com FC quanto seus cuidadores têm três vezes mais chances de desenvolver ansiedade ou depressão em comparação com a população que não tem uma doença crônica.***

**Lic. Sabrina Brancatisano**

Psicóloga · Associação Argentina de Fibrose Cística. · Argentina



# O ciclo vicioso: Saúde mental e resultados da FC



Para quebrar esse ciclo, é necessário **tratar a saúde mental como uma prioridade clínica**, em paralelo ao tratamento físico.



# Lidando com desafios mentais

**ADAPTATIVO ≠ PATOLÓGICO**

Ansiedade útil

Ansiedade prejudicial

Promover estratégias para lidar com a preocupação, fortalecer o alinhamento com os valores pessoais e reforçar a identidade além da doença pode ajudar a diminuir o impacto dos desafios de saúde mental no envolvimento com o tratamento e nos resultados

# Estratégias para apoiar a saúde mental na fibrose cística



## Exercício físico

A prática regular de exercícios adaptados à capacidade física dos pacientes com FC melhora o humor, a função pulmonar e a qualidade de vida.



## Passatempos significativos

Atividades totalmente alheias à doença preservam a identidade para além do papel de paciente.



## Comunidade online

A conexão virtual entre pares supera a regra de isolamento físico obrigatório (mínimo de 2 metros entre pacientes com FC).



## Psicológico Apoio

Um psicólogo na equipe de cuidados de FC é um membro padrão necessário da equipe.



## Medicação (Quando necessário)

A ansiedade e a depressão são condições clínicas. O tratamento farmacológico é adequado quando indicado.



## Práticas de Mindfulness

A âncora no momento presente é útil para o pensamento catastrófico e focado no futuro, comum na FC.

Módulo 1 - Bem-estar e apoio

# 1.5 Tratamento Integral



# Cuidados abrangentes para a FC: como funciona na prática

## O padrão de excelência

- Consulta multidisciplinar em um único dia, na qual o paciente é atendido por toda a equipe em uma única consulta
- Acompanhamento trimestral, no mínimo, com consultas mais frequentes para pacientes instáveis
- Cada consulta resulta em metas documentadas e adequadas ao paciente
- O contexto socioeconômico é integrado a todo o planejamento
- A saúde mental é monitorada em todas as consultas

***“O paciente não precisa continuar indo ao hospital para consultas separadas. Tudo é feito no mesmo dia.”***

– Dr. José Luis Lezana Fernández, AMFQ, México

## A equipe multidisciplinar:

- Pneumologista  
(especialista líder)
- Nutricionista
- Fisioterapeuta /  
Terapeuta respiratório
- Psicólogo
- Assistente social
- Enfermeiro
- Endocrinologista –  
atualmente ausente na  
maioria das equipes

# Sistemas de apoio familiar

A FC não é vivida apenas pelo paciente; é vivida por toda a família e seu ecossistema de apoio

2.1 Melhores práticas

2.2 Redes de apoio

Módulo 2 - Sistemas de apoio familiar

# 2.1 Melhores práticas



***Gostaria que isso pudesse chegar a todos, mas como não chega a todos, não podemos esquecer esse grupo. Temos que continuar lutando até que os moduladores possam chegar a eles e sejam acessíveis a todos os pacientes.***

**Dra. Claudia Jiménez**

Terapeuta Respiratória · Fundação Colombiana para a Fibrose Cística. · Colômbia

# Diagnóstico precoce: O caminho que muda tudo



Protocolo IRT/IRT ou IRT/ADN (teste do calcanhar). Prática habitual nos casos em que se realiza o rastreio universal

**Rastreio neonatal**

É essencial em casos complexos e para determinar qual a terapia moduladora mais adequada para o doente

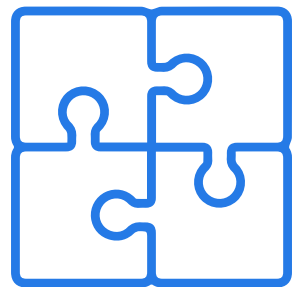
**Teste de cloreto no suor**

**Sequenciação do gene CFTR**

Teste de confirmação que mede o cloreto no suor. Um nível de cloreto no suor  $\geq 60$  mmol/L é indicativo de fibrose cística

**Por que isso é importante:** um diagnóstico precoce permite que as famílias se adaptem, estabeleçam rotinas e iniciem o tratamento antes que ocorra uma deterioração clínica. Quando o rastreio neonatal não é universal, os doentes costumam apresentar os sintomas entre os 5 e os 7 anos, perdendo assim anos cruciais para o tratamento precoce

# Áreas de atuação no atendimento integral da FC



**Equipes  
multidisciplinares**



**Considerações  
socioeconômicas**



**Diretrizes clínicas  
abrangentes**



**Fortalecimento do sistema de  
saúde e estratégias políticas**



**Educação adequada  
sobre a FC**



**Sistemas de dados e  
reconhecimento de doenças  
órfãs**

Módulo 2 - Sistemas de apoio familiar

## 2.2 Redes de apoio



# O Ecossistema de Apoio à Fibrose Cística: Camadas que Trabalham em Conjunto



Aumenta a conscientização e a **inclusão**

Defende **mudanças** nas **políticas**, cria registros de pacientes e lidera campanhas de acesso a medicamentos.

Oferecer **apoio à família** perto de casa, coordenar o acesso a equipamentos e conectar redes de cuidados locais, além de **possibilitar a conexão entre pares** para pacientes que não podem viajar ou se encontrar pessoalmente devido ao risco de infecção.

**Presta cuidados clínicos** e conecta os pacientes a todas as outras instâncias por meio de encaminhamentos e coordenação.



# Compreendendo a realidade do cuidador

**9 em cada 10 cuidadores são mães**

Frequentemente mães solteiras, elas carregam todo o peso do manejo da fibrose cística com pouco apoio ou alívio compartilhado.

**Muitas reduzem ou abandonam seus empregos**

As exigências dos cuidados diários com a FC frequentemente forçam os cuidadores a deixar o emprego, com consequências duradouras para a renda familiar que, em grande parte, não são registradas.

**Cuidadores exaustos colocam os pacientes em risco**

Quando os cuidadores estão esgotados, a consistência do tratamento é prejudicada, tornando o bem-estar do cuidador uma preocupação clínica, não apenas pessoal.

**A autonomia do paciente alivia a carga**

À medida que a pessoa com FC gradualmente assume o controle de seu tratamento, o fardo do cuidado naturalmente diminui, beneficiando ambos os lados da relação.

*“Ninguém tem uma bateria inesgotável. Muitas vezes, os cuidadores negligenciam suas próprias necessidades básicas.”*

*– Lic. Sabrina Brancatisano · Psicóloga, Associação Argentina de Fibrose Cística*

# Educação do paciente e adesão ao tratamento

Ferramentas concretas para o manejo diário, orientação no tratamento e defesa do sistema para pacientes e familiares.

- 3.1 Acesso equitativo
- 3.2 Adesão ao tratamento
- 3.3 Estratégias de enfrentamento
- 3.4 Nutrição e suplementos
- 3.5 Terapia respiratória
- 3.6 Registro de pacientes

Módulo 3 - Educação do paciente e adesão ao tratamento

# 3.1 Acesso equitativo



# Equidade no acesso: Aprovação regulatória ≠ Acesso do paciente

## APROBADO ≠ ACESSÍVEL

### BARREIRAS NO NÍVEL DO SISTEMA:

1. Barreiras de custo e seguro
2. Não incluído no formulário público
3. Desafios de distribuição geográfica
4. A insegurança alimentar prejudica as metas nutricionais

### O que os pacientes ainda não têm acesso:

1. Moduladores
2. Medicamentos de base
3. Antibióticos nebulizados
4. Enzimas
5. Equipamentos especializados

Mesmo quando as terapias são aprovadas, os pacientes enfrentam múltiplas barreiras que limitam o acesso na prática.

**Lutar pelo acesso faz parte dos cuidados com a FC**



# Ferramentas jurídicas e políticas para o acesso a medicamentos

## Argentina



### Obrigaç o de Cobertura

- A Lei Nacional de FC exige a cobertura de todos os medicamentos para FC, incluindo moduladores
- A aplica o da lei muitas vezes ainda depende de a oes judiciais para garantir o cumprimento

## Brasil



### Ordens judiciais + SUS

- O acesso inicial ao Trikafta foi obtido por meio de decis es judiciais, seguido pela inclus o no SUS em 2023
- Alguns pacientes ainda dependem de mecanismos judiciais para obter terapias mais recentes

## Col mbia



### Tutela Constitucional

- A oes constitucionais urgentes (tutelas) podem fazer valer os direitos   sa de por meio das operadoras de planos de sa de
- As associa es de pacientes fornecem modelos de cartas e apoio para a apresenta o de pedidos

## M xico



### A o de Amparo

- A oes de amparo constitucional podem questionar a in rcia do governo no acesso a medicamentos
- O recurso de amparo tem sido utilizado com sucesso, mas normalmente requer representa o jur dica

**A associa o de pacientes pode fornecer orienta es, modelos e contatos jur dicos espec ficos para o seu pa s.**

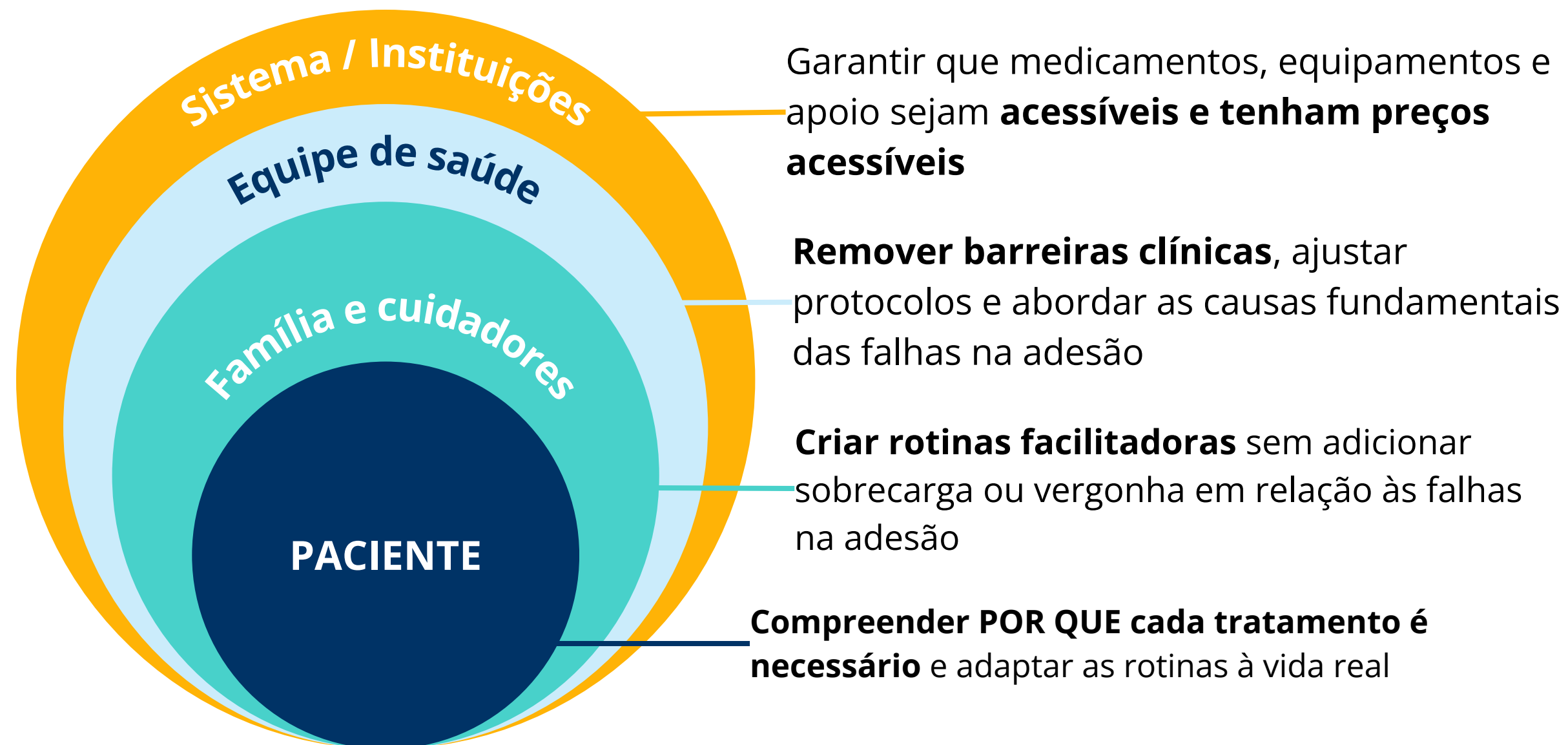
Módulo 3 - Educação do paciente e adesão ao tratamento

## 3.2 Adesão ao tratamento



# Adesão ao tratamento: Uma responsabilidade compartilhada

O objetivo não é a adesão perfeita, mas a melhor adesão possível para cada indivíduo



Esteja ciente das **lacunas sociais invisíveis**: o fardo financeiro é uma condição real nas famílias de pacientes com FC em toda a região.

Compreender **POR QUE ocorrem falhas na adesão** é mais produtivo do que apenas lidar com as falhas.

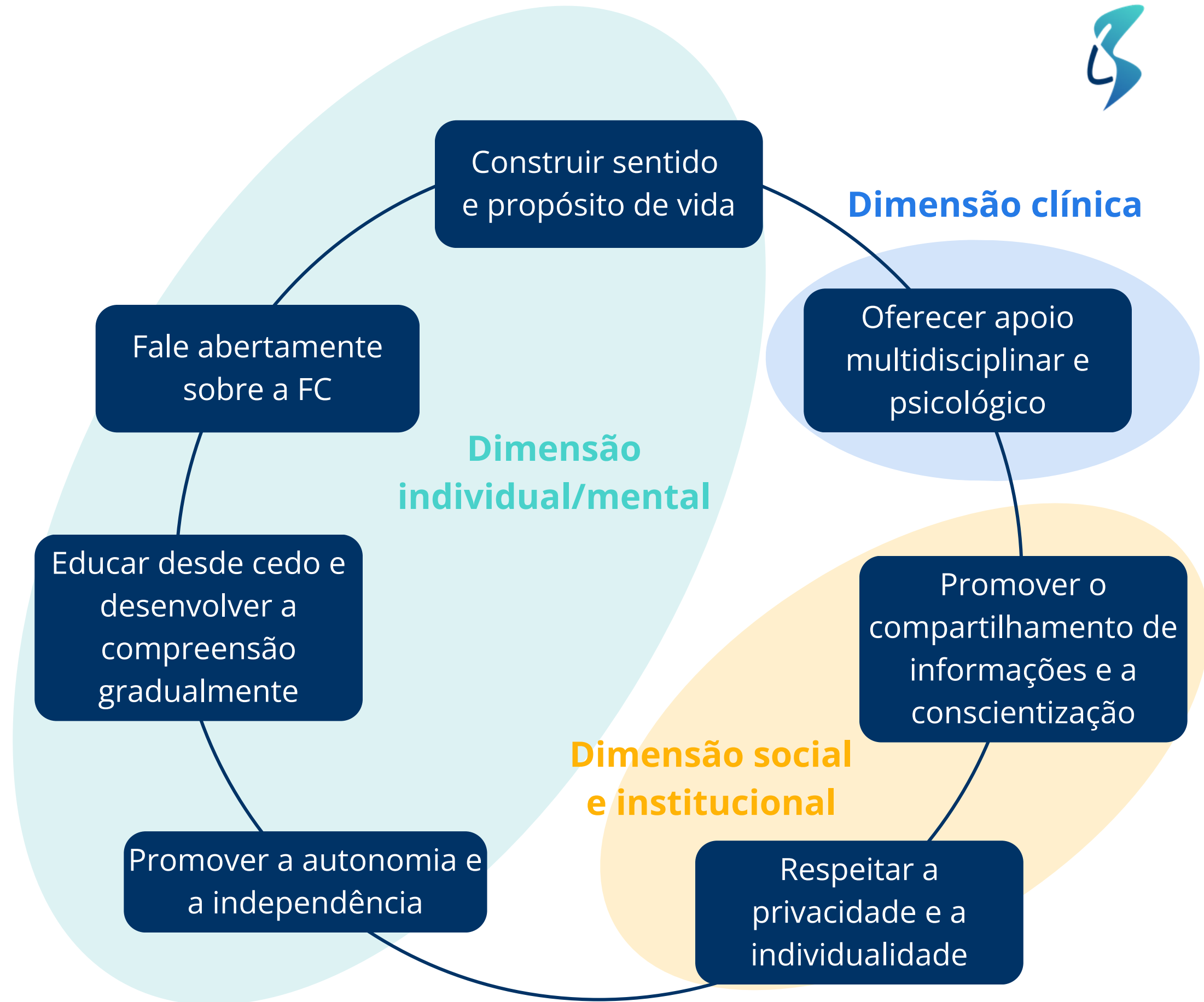
Módulo 3 - Educação do paciente e adesão ao tratamento

## 3.3 Estratégias de enfrentamento



# Lidando com a FC: uma resposta multidimensional

**Lembre-se: você não é a sua doença.**



Módulo 3 - Educação do Paciente e Adesão ao Tratamento

## 3.4 Nutrição e suplementos



# Nutrição na FQ: Exigente, de grande importância e, muitas vezes, com recursos insuficientes

Pacientes com FC têm necessidades calóricas duas vezes maiores do que a população em geral devido à má absorção e à demanda metabólica

- **Terapia enzimática pancreática (PERT):** 85% dos pacientes com FC apresentam insuficiência pancreática. As enzimas são necessárias em todas as refeições e lanches, com a dosagem ajustada regularmente
- **A transição para moduladores:** Pacientes que iniciam o tratamento com moduladores frequentemente passam de uma ingestão hipercalórica para uma ingestão mais normal. Isso deve ser monitorado clinicamente para evitar correção excessiva
- **Vitaminas lipossolúveis:** As vitaminas A, D, E e K requerem monitoramento. O monitoramento da vitamina D é importante, mas às vezes negligenciado no acompanhamento de rotina
- **Insegurança alimentar:** Um desafio documentado e subestimado. Os planos nutricionais devem ser economicamente viáveis; caso contrário, não são úteis

*“Se as crianças por volta dos quatro anos atingirem um estado nutricional normal, aos 18 anos terão uma melhor função respiratória.”*

– Dra. Claudia Angarita,  
nutricionista, Fundação  
Colombiana para Fibrose  
Cística

Módulo 3 - Educação do Paciente e Adesão ao Tratamento

# 3.5 Terapia Respiratória



***Mesmo que eles [pacientes] estejam em uso de moduladores, devemos explicar a eles que isso não substitui a fisioterapia respiratória.***

**Dra. Claudia Jiménez**

Fisioterapeuta Respiratória · Fundação Colombiana para a Fibrose Cística. · Colômbia

# A sequência da nebulização: a ordem é importante



## Solução salina hipertônica (3,5% a 7%, dependendo do tratamento)

Hidrata e fluidifica o muco espesso,  
facilitando sua mobilização

## Desobstrução das vias aéreas (ACBT / PEP / drenagem autogênica)

Técnica ativa para mobilizar fisicamente e  
expectorar o muco solto



### 1 Broncodilatador (por exemplo, salbutamol)

Abre as vias aéreas PRIMEIRO e garante que os  
medicamentos subsequentes alcancem o  
tecido pulmonar mais profundo

### 3 Dornasa Alfa (DNasa / Pulmozyme)

Decompõe o DNA no muco,  
reduzindo drasticamente sua  
viscosidade

### 5 Antibiótico inalatório (Se prescrito)

Administrado **por último**;  
penetra nas vias aéreas que  
foram desobstruídas e abertas

**IMPORTANTE:** Os moduladores de CFTR reduzem a carga de muco, mas **NÃO substituem a limpeza das vias aéreas** nem outros aspectos do tratamento. **A fisioterapia continua sendo essencial** para todos os pacientes elegíveis

Módulo 3 - Educação do Paciente e Adesão ao Tratamento

## 3.6 Registro de Pacientes



# Registros de pacientes: uma ferramenta de defesa de direitos na linha de frente

## Por qué son importantes los registros de pacientes

- Os registros **geram os dados** necessários para defender a inclusão de medicamentos, o financiamento e mudanças nas políticas
- Sem os dados dos registros, os ministérios da saúde podem alegar que uma condição é rara demais para cobertura pública; **os dados dos registros refutam esse argumento**
- Eles **acompanham populações de pacientes**, resultados e padrões de tratamento ao longo do tempo
- A inscrição é um ato de defesa; cada paciente registrado fortalece o caso coletivo
- Os pacientes podem **perguntar se seus dados estão incluídos** e como estão sendo utilizados

## Na Região

### Argentina

A AAER mantém um diretório e um registro nacional de pacientes como parte de seu trabalho de defesa

### Brasil

O GBEFC (Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística) é uma rede especializada com uma fonte de dados nacional

### Colômbia

O Registro Nacional de Doenças Raras da Colômbia exige o registro de casos de FC em todo o país. Dos 1.282 pacientes com FC atualmente registrados, apenas 253 têm acesso a moduladores

### México

A AMFQ coordena a coleta de dados; a expansão do registro está vinculada à defesa do acesso público

CONCLUSÃO

# Mensagens principais



# As cinco mensagens principais

## TRATAMENTO

**O panorama mudou e continua a mudar**

Os moduladores de CFTR transformaram a FC. Lutar pelo acesso faz parte do tratamento

## MENTAL SAÚDE

**Cuidar da saúde mental faz parte do tratamento**

A ansiedade e a depressão são até três vezes mais comuns. A saúde mental não tratada prejudica diretamente os resultados

## FAMÍLIA

**O paciente não é o único que precisa de cuidados**

A doença crônica nunca é vivida sozinha. Os cuidadores carregam um fardo imenso e subestimado que afeta diretamente os resultados do paciente

## ADESÃO

**O tratamento deve se adaptar à vida, e não o contrário**

A adesão perfeita não é alcançável. O objetivo é a melhor adesão possível para a vida real de cada indivíduo

## ACESSO

**Aprovação não significa acesso, e isso precisa mudar**

Na maior parte da América Latina, os moduladores são aprovados, mas estão fora do alcance. Registros, ferramentas jurídicas e advocacy são o que preenchem essa lacuna