



Universidade Federal da Paraíba
Centro de Ciências da Saúde
Departamento De Ciências Farmacêuticas
Programa de Educação Tutorial (PET-Farmácia)
Tutora: Profa. Dra. Leônia Maria Batista



Terapia avançada para o tratamento da Fibrose
Cística incorporada ao Sistema Único de Saúde
(SUS)

Bolsista: Sabrina Lira da Cunha

João Pessoa - PB
2024



Saúde

Terapia avançada para tratar fibrose cística é incorporada ao SUS

Medicamento oral será distribuído nas próximas semanas e é indicado para pacientes com mais de 6 anos diagnosticados com mutação da condição genética rara

Por **Paula Felix**

Atualizado em 17 Maio 2024, 18h51 - Publicado em 17 Maio 2024, 18h47

SAÚDE

Fibrose cística: Ceará é o primeiro do Brasil a entregar a pacientes medicamento incorporado pelo SUS

17 JUNHO DE 2024 - 14:03 | #Fibrose Cística #HM #Novo Medicamento #Sus

Jessica Fortes - Ascom Hospital de Messejana - Texto e Fotos



- **A Fibrose Cística (FC)** é uma doença genética rara, autossômica recessiva, crônica e progressiva
- **Proteína Transmembrana da Fibrose Cística (CFTR)**
→ disfunção de íons Cl^- e Na^+
- **Condição sistêmica** → pulmão e pâncreas → viscosidade do muco



Fonte: Canva

Histórico

Séc. XX → **Descoberta da FC**

1938 → **Dorothy Andersen descreveu as características e a patogenia da doença ☒ “fibrose cística pancreática”**

1940-1945 → **Identificação de órgãos obstruídos com secreções espessas e viscosas ☒ mucoviscidose**

1989 → **O gene para FC foi descoberto ☒ doença genética**



- **+ 70.000 portadores**
- **Maior proporção de pacientes adultos**
- **↓ Taxa de mortalidade**
- **Frequente em populações de descendência europeia**
 - 1 em 4.000 - 10.000 Latino-americanos
 - 1 em 15.000 - 20.000 Afro-americanos

- ~ 1 a cada 10 mil nascidos vivos sofrem com a doença
- ↑ Mediana da idade de óbito (18,4 anos)
(↘ EUA (32,4 anos) e Europa (29,0 anos))
- Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)
 - (↘ • **2021**: 6.427 registrados (15 estrangeiros)
 - Sudeste (44,12%), Sul (23,03%) e Nordeste (17,37%)
 - São Paulo (24,9%), Minas Gerais (11,8%) e Rio Grande do Sul (10,2%)
 - Paraíba (0,7%) - 42 indivíduos



Etiologia

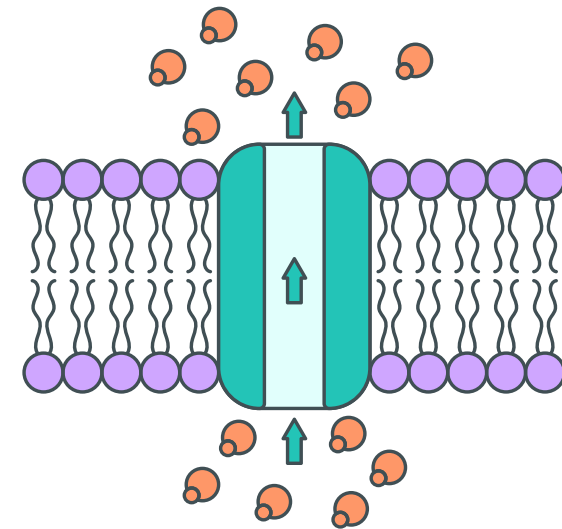
➤ Gene CFTR → Proteína Transmembrana da Fibrose Cística (CFTR)

↳ Braço longo do cromossomo 7

↳ Vias respiratórias, pâncreas, intestino, rins, glândulas sudoríparas e vasos deferentes

↳ Transporte de íons cloreto

➤ Mutações no gene CFTR ☒ 2.000 tipos ☒ cinco classes (I, II, III, IV, V)



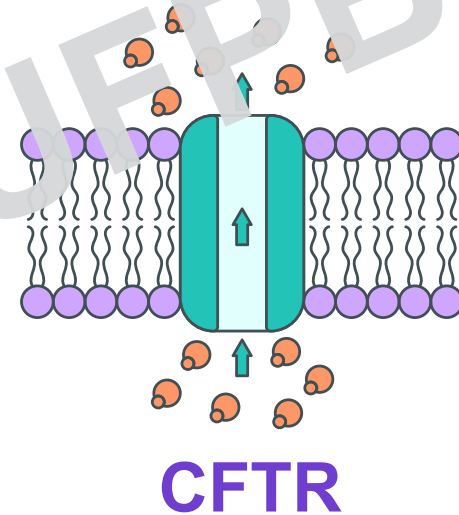
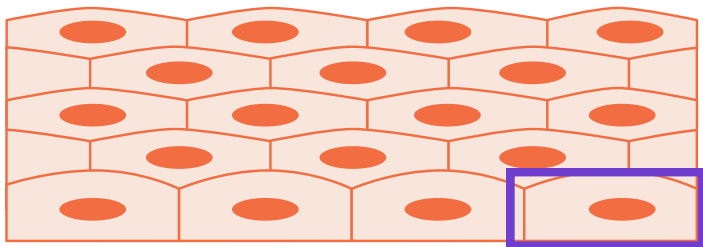
➤ Classificação das mutações

- **Classe I:** não há proteína CFTR;
- **Classe II:** proteína é produzida, mas não chega à célula;
- **Classe III:** proteína chega à célula, mas não funciona;
- **Classe IV:** proteína funciona, mas com baixa eficiência;
- **Classe V:** proteína é instável e pode ser destruída.

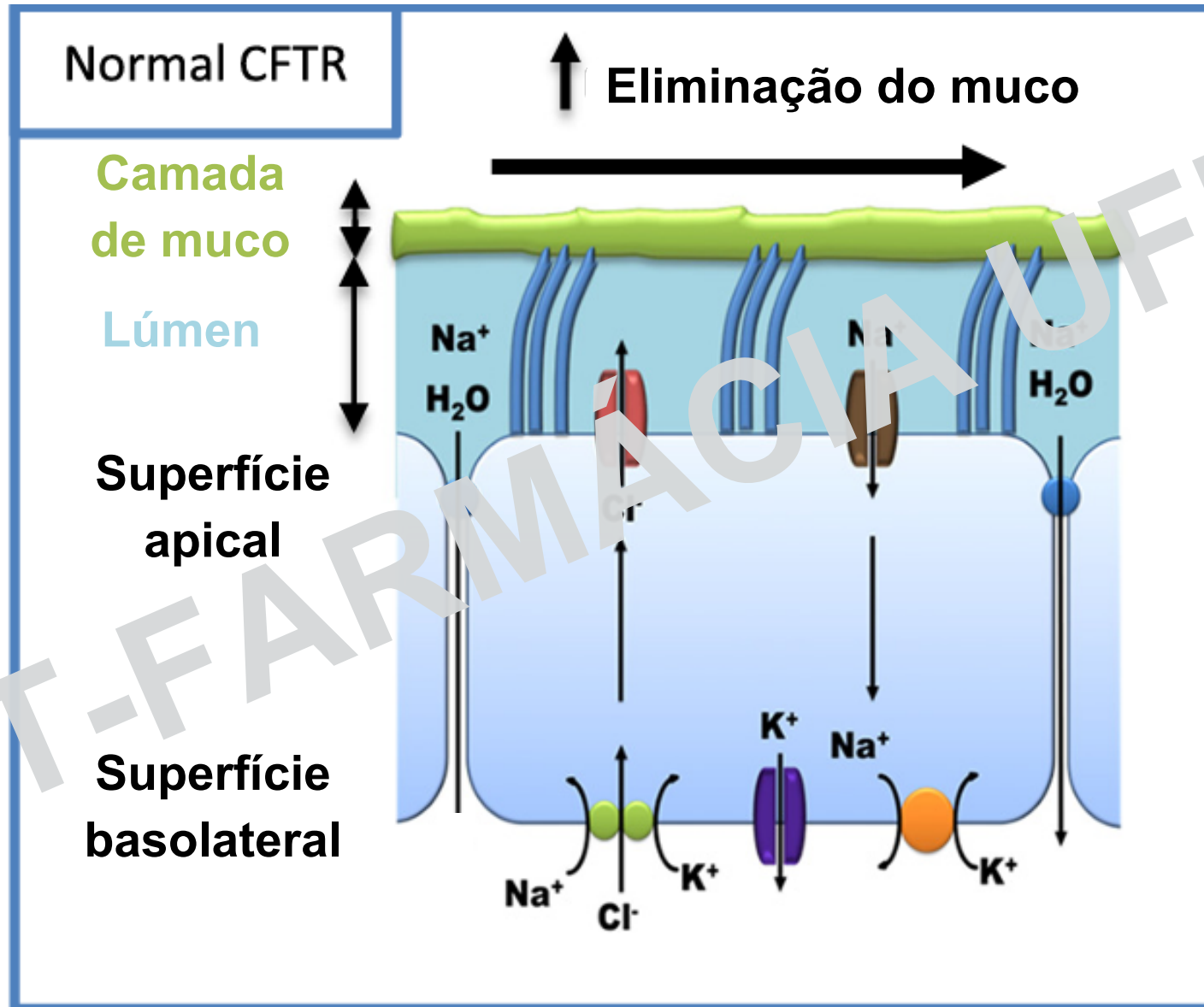
Classe I, II, III

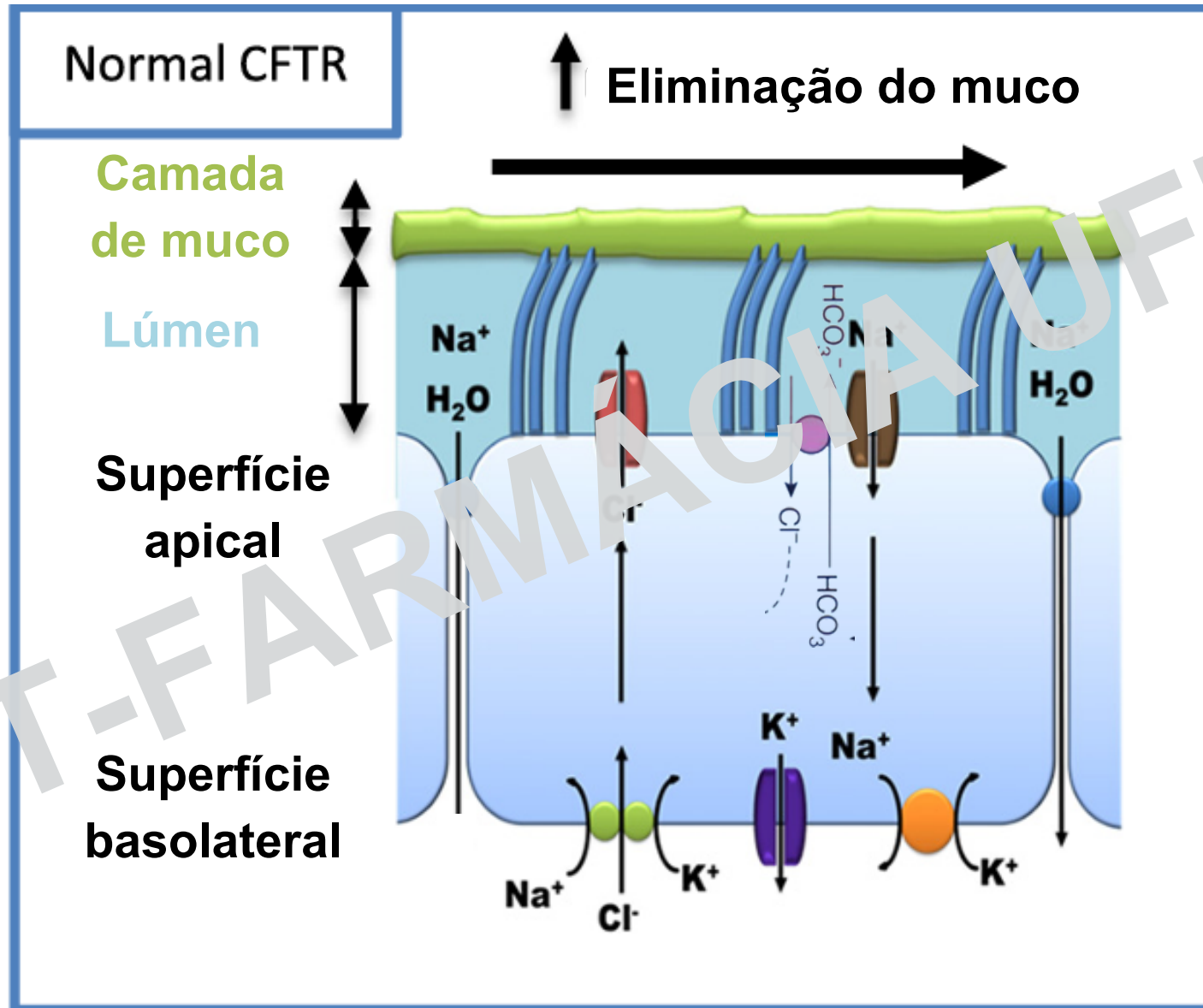
Classe IV, V

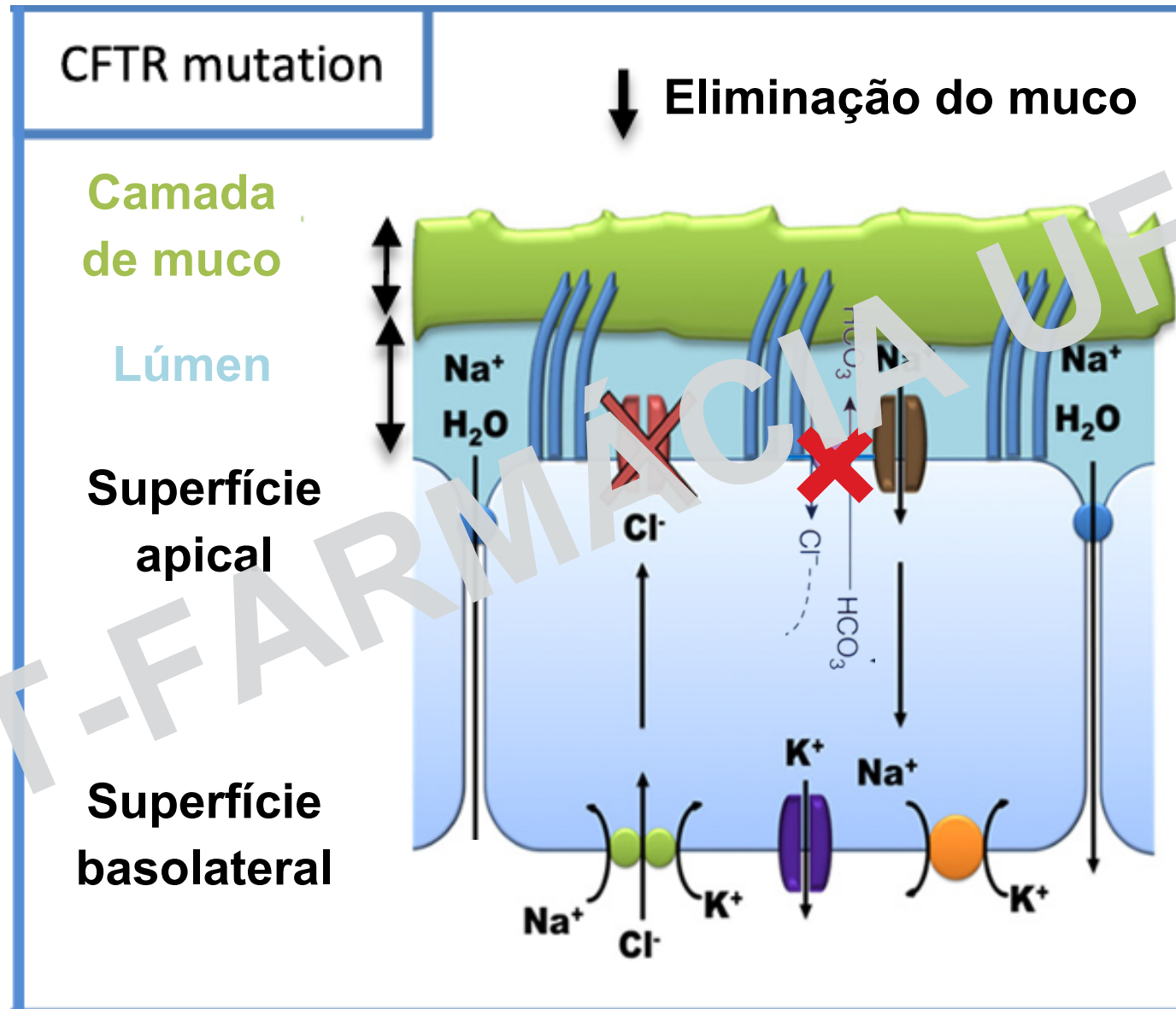
Tecido epitelial



Células caliciformes

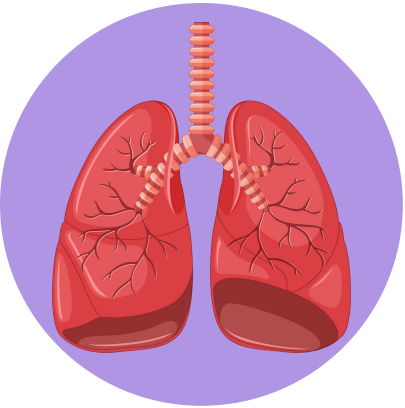






Manifestações clínicas

Terapia avançada para o tratamento da Fibrose Cística incorporada ao Sistema Único de Saúde (SUS)



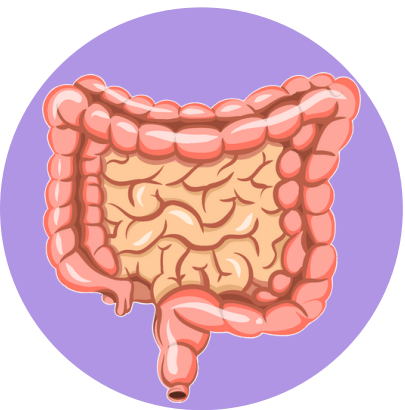
- Tosse crônica, sibilos, dor no peito
- Obstrução das vias aéreas
- Infecções respiratórias → inflamação crônica → destruição do tecido pulmonar → bronquiectasia → insuficiência respiratória



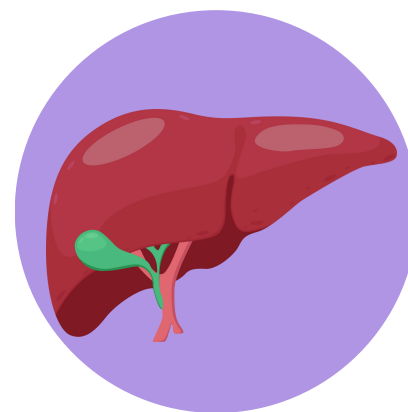
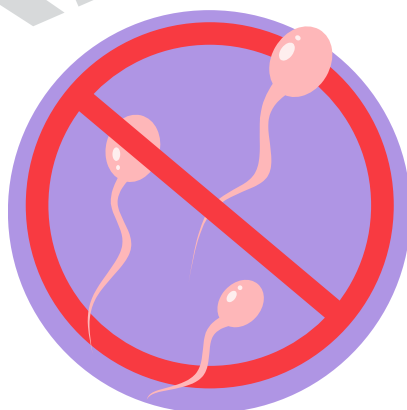
- Insuficiência pancreática exócrina
- conteúdo hídrico acidez
- Obstrução dos ductos pancreáticos → fibrose no pâncreas

Manifestações clínicas

Terapia avançada para o tratamento da Fibrose Cística incorporada ao Sistema Único de Saúde (SUS)



- **Desnutrição**
- **Alterações na motilidade intestinal, distribuição de sais biliares e microbiota intestinal**
- **Diarreia crônica**
- **Porção terminal do ileo com mecônio espesso**



➤ Diagnóstico clínico



- Avaliação dos sintomas característicos
- Histórico familiar

➤ Diagnóstico laboratorial



- Triagem neonatal → tripsinogênio imunorreativo (IRT) → **2 +**
- Teste do suor → 4 e 6 semanas de vida → cloreto no suor → **60mmol/L**
- Teste genético → mutações no gene CFTR → **2 em alelos separados**

➤ Tratamento não farmacológico

- Fisioterapia respiratória
- Nutrição adequada
- Exercícios físicos
- Hidratação
- Suporte psicológico
- Cuidados com a pele
- Higiene
- Distanciamento de outros portadores



➤ Tratamento farmacológico

- **Complicações pulmonares** → fluidificação e eliminação de secreções respiratórias - nebulização, solução hipertônica, broncodilatadores, mucolítico (alfadornase)
- **Infecções bacterianas** → antibióticos (Tobramicina inalatória)
- **Insuficiência pancreática** → enzimas pancreáticas (Pancreatina)

➤ Tratamento farmacológico

- Moduladores da proteína CFTR →

1. Ivacaftor (Kalydeco®) - aumenta o tempo que os canais CFTR permanecem abertos
2. Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (Trikafta®) - quantidade de proteína CFTR funcional na superfície das células

Medicamento em foco

Terapia avançada para o tratamento da Fibrose Cística incorporada ao Sistema Único de Saúde (SUS)

- Aprovado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) em agosto de 2023
- Causa aumento da quantidade e da função do CFTR na superfície celular
- **Classe:** Moduladores do regulador transmembrana da fibrose cística (CFTR)



Trikafta®

Medicamento em foco

- **Indicação:** tratamento da FC em pacientes com 6 anos de idade ou mais que tenham pelo menos uma mutação F508del no CFTR
- **Contraindicação:** alérgicos a elexacaftor, tezacaftor, ivacaftor, ou qualquer outro ingrediente
- **Apresentação:** comprimidos revestidos de 100 ou 50 mg de elexacaftor/50 ou 25 mg de tezacaftor/75 ou 37,5 mg de ivacaftor co embalados com comprimidos revestidos de 150 ou 75 mg de ivacaftor

- **Absorção:** C_{máx} 6 horas após a administração oral
Biodisponibilidade: 80%
- **Distribuição:** 99% de ligação a proteínas plasmáticas
- **Eliminação:** médias-vidas ELX/TEZ/IVA - 24,7 60,3 13,1
- **Excreção:** metabólitos eliminados nas fezes
- **Preço:** R\$ 30.000 - R\$34.000

Medicamento em foco

- **Saúde baseada em evidência:**

A eficácia do TRIKAFTA® em pacientes com FC foi demonstrada em cinco estudos de Fase 3. Estes estudos envolveram pacientes FC com pelo menos uma mutação F508del.

O benefício clínico significativo foi demonstrado em todos os estudos → melhora da função pulmonar e redução das exacerbações, melhora do estado nutricional



Papel do farmacêutico

Terapia avançada para o tratamento da Fibrose Cística incorporada ao Sistema Único de Saúde (SUS)

Rastreamento em saúde

Monitoramento laboratorial

Gerencia a terapia medicamentosa

Avanço de novas pesquisas

Educação em saúde

- A FC é uma doença hereditária de grande complexidade, sistêmica, afetando principalmente os pulmões e o trato gastrointestinal.
- A mutação no gene CFTR é a causa principal da doença, alterando o transporte de íons.
- Os avanços no tratamento garantem uma melhoria na qualidade de vida do portador.
- É importante promover a conscientização acerca de doenças raras como a FC.



Universidade Federal da Paraíba
Centro de Ciências da Saúde
Departamento De Ciências Farmacêuticas
Programa de Educação Tutorial (PET-Farmácia)
Tutora: Profa. Dra. Leônia Maria Batista



Terapia avançada para o tratamento da Fibrose
Cística incorporada ao Sistema Único de Saúde
(SUS)

sabrina.lira2@academico.ufpb.br

João Pessoa - PB
2024

