

# Medicamentos utilizados em população pediátrica com fibrose cística

## Medications used in pediatric cystic fibrosis population

Stella Pegoraro Alves<sup>1</sup>, Márcia de Azevedo Frank<sup>2</sup>, Denise Bueno<sup>1</sup>

<sup>1</sup> Programa de Pós-Graduação em Assistência Farmacêutica, Faculdade de Farmácia, Universidade Federal do Rio Grande do Sul, Porto Alegre, RS, Brasil.

<sup>2</sup> Serviço de Farmácia, Hospital de Clínicas de Porto Alegre, Porto Alegre, RS, Brasil.

DOI: 10.31744/einstein\_journal/2018AO4212

### RESUMO

**Objetivo:** Descrever o perfil de medicamentos utilizados por pacientes pediátricos com fibrose cística. **Métodos:** Estudo transversal com análise de prontuários e entrevista com cuidadores de pacientes pediátricos com fibrose cística atendidos em ambulatório de um centro de referência na Região Sul do Brasil. Foram coletadas informações sobre os dados clínicos dos pacientes, medicamentos utilizados e tratamento domiciliar. **Resultados:** Dentre os 78 participantes do estudo, foram predominantes pacientes do sexo feminino, cor autodeclarada branca, com mutação F508del e procedentes do interior do Estado. Possuíam acompanhamento de saúde exclusivamente no ambulatório do hospital 43 pacientes. Foram analisados 509 medicamentos prescritos (6,5 medicamentos/paciente). A indicação correta do medicamento foi reconhecida pelo cuidador em 83,3% dos relatos. Pacientes com complicação pulmonar e doenças e/ou comorbidades associadas à fibrose cística tiveram mais medicamentos prescritos. Vitaminas, enzimas pancreáticas, solução salina hipertônica, alfadornase, ácido ursodesoxicólico e antibióticos inalatórios foram os medicamentos mais prescritos. Destes medicamentos 265 (52,1%) pertenciam à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais, sendo 26,7% do componente básico e 25,4% pertencentes ao componente especializado da assistência farmacêutica. Referiram dificuldades para adquirir pelo menos um medicamento prescrito 74 entrevistados. Os relatos, em sua maioria, reconheceram a Secretaria Estadual de Saúde como local de fornecimento dos medicamentos para fibrose cística. **Conclusão:** O estudo permitiu maior conhecimento sobre o tratamento e o cuidado necessário em relação ao portador de fibrose cística, observando a demanda da implementação de estratégias que possam contribuir para melhoria da qualidade de vida e o cumprimento do plano terapêutico destes pacientes.

**Descritores:** Uso de medicamentos; Assistência farmacêutica; Preparações farmacêuticas; Fibrose cística; Criança; Cuidadores

### ABSTRACT

**Objective:** To describe the drug utilization profile used by pediatric cystic fibrosis patients. **Methods:** A transversal study comprising the analysis of records and interviews with caregivers of pediatric patient in a reference center of Southern Brazil. We collected information about patients' clinical condition, medication used and household therapy. **Results:** Out of 78 patients participating in the study, prevailing characteristics were: female, self-declared white color, mutation F508del and countryside resident. Forty-three patients had health monitoring exclusively in the hospital's outpatient division. We analyzed 509 prescribed medication (6.5 medication/patient). The caregiver acknowledged the correct indication in 83% of cases. Patients with pulmonary complications and diseases and/or comorbidities related to the cystic fibrosis had an increased quantity of prescribed medication. Vitamins, pancreatic enzymes, hypertonic saline solution, dornase alpha, acid ursodesoxicolic and inhalation antibiotics were most commonly prescribed. Out of the sum of medication, 265 (52.1%) were registered in the *Relação Nacional de Medicamentos Essenciais*, 26.7% were registered in the basic component and 25.4% were

#### Como citar este artigo:

Alves SP, Frank MA, Bueno D. Medicamentos utilizados em população pediátrica com fibrose cística. *einstein* (São Paulo). 2018;16(4):eAO4212. [http://dx.doi.org/10.31744/einstein\\_journal/2018AO4212](http://dx.doi.org/10.31744/einstein_journal/2018AO4212)

#### Autor correspondente:

Denise Bueno  
Avenida Ipiranga, 2.752 – Azenha  
CEP: 90610-000 – Porto Alegre, RS, Brasil  
Tel.: (51) 3308-5437  
E-mail: denise.bueno@ufrgs.br

#### Data de submissão:

20/7/2017

#### Data de aceite:

12/2/2018

#### Conflitos de interesse:

não há.

#### Copyright 2018



Esta obra está licenciada sob  
uma Licença *Creative Commons*  
Atribuição 4.0 Internacional.

registered in the specialized component of pharmaceutical assistance. Seventy-four interviewees informed difficulty in the acquisition of at least one prescribed medication. Most of the reports acknowledge the State Health Department as the place to find and receive medication for cystic fibrosis. **Conclusion:** This study allowed reaching a deeper understanding about therapy, caring needed with patients with cystic fibrosis, highlighting to implement strategies that might contribute to enhance life quality and to execute the patients' therapy plan.

**Keywords:** Drug utilization; Pharmaceutical services; Pharmaceutical preparations; Cystic fibrosis; Child; Caregivers

## INTRODUÇÃO

A fibrose cística (FC), ou mucoviscidose, é uma doença hereditária, autossômica recessiva, letal, muito comum entre caucasianos, caracterizada por uma anormalidade de produção e função do gene *cystic fibrosis transmembrane conductance regulator* (CFTR). De caráter multissistêmico, a FC afeta órgãos e tecidos que expressam o CFTR, incluindo aparelhos respiratório, gastrointestinal e reprodutor; fígado e células secretoras.<sup>(1,2)</sup>

A doença exige controle e tratamento intensivos com medicamentos ingeridos e inalados, nebulizações, antibióticos, enzimas pancreáticas e suplementos nutricionais, além de técnicas de fisioterapia respiratória. Estes cuidados são realizados inúmeras vezes ao dia, para se alcançar efeito benéfico.<sup>(1,3)</sup> A sobrevivência destes pacientes é dependente de diversos fatores, como acesso irrestrito a medicamentos e demais componentes do tratamento, e educação apropriada dos familiares e cuidadores sobre a doença e a dinâmica da terapêutica.<sup>(4)</sup>

Os dados obtidos da rotina e da dinâmica do tratamento dos pacientes, como doses e frequências dos medicamentos, suas formas de aquisição e a dificuldade para adquiri-los, e o entendimento de seu uso, permitem que a equipe multiprofissional defina estratégias que impactem positivamente na qualidade do cuidado, evitando reinternações desnecessárias.<sup>(5,6)</sup>

Reconhecer a importância da prescrição e a utilização dos medicamentos, no caso da FC, possibilita intervenções para a promoção do uso racional de medicamentos e o aprimoramento dos serviços assistenciais.<sup>(7)</sup>

## OBJETIVO

Descrever o perfil dos medicamentos utilizados por pacientes pediátricos com fibrose cística.

## MÉTODOS

Estudo transversal, descritivo, realizado com cuidadores de pacientes com FC atendidos em ambulatório

de pneumologia pediátrica de um centro de referência para a doença de um hospital universitário do Estado do Rio Grande do Sul. Este serviço era um dos três centros de referência para a doença no Estado e funcionava duas vezes por semana. Os pacientes eram atendidos mensalmente ou a cada 2 meses – a frequência de atendimento dependia do estado clínico do paciente –, para controle e revisão do tratamento, por uma equipe multiprofissional, composta por médicos, enfermeiros, nutricionistas, fisioterapeutas, educadores físicos, psicólogos, assistentes sociais e farmacêuticos. A equipe assistencial se revezava nos atendimentos, enquanto o paciente permanecia no consultório. Esta medida foi adotada para evitar contaminação por bactérias multirresistentes, uma vez que muitos dos pacientes já apresentavam colonização por estes patógenos.

A escolha dos respondentes foi aleatória, considerando tratar-se de uma unidade pediátrica. Os cuidadores selecionados foram convidados pelo farmacêutico para participar de uma entrevista, a qual foi realizada em um único encontro. Foram incluídos no estudo cuidadores que acompanhavam pacientes com diagnóstico confirmado de FC, atendidos entre dezembro de 2014 e maio de 2015, no serviço de ambulatório. Foram excluídos cuidadores que não aceitaram assinar o Termo de Consentimento Livre e Esclarecido e/ou o Termo de Assentimento.

Para a coleta, foram utilizados dois instrumentos elaborados pelos autores deste estudo, que foram aplicados e adequados previamente.<sup>(4)</sup> O primeiro instrumento recolheu dados clínicos do paciente obtidos através do prontuário *on line*. O segundo foi aplicado durante a consulta farmacêutica onde foram realizadas perguntas ao cuidador do paciente na forma de entrevista.

Foram coletadas e sistematizadas em banco de dados específico as variáveis: sexo, idade, município residente, entendimento da doença, mutação, presença de complicações respiratórias, de insuficiência pancreática e de outras doenças e/ou comorbidades associadas, locais de acompanhamento de saúde fora do ambulatório, diagnóstico nutricional, via de alimentação, responsável pelo tratamento, bacteriologia do escarro e realização da fisioterapia e de exercícios físicos.

Os cuidadores responderam sobre dados relacionados a medicamentos. Todos os dados foram adquiridos por entrevista. As respostas destes cuidadores sobre forma de uso, dose, frequência, via de administração e forma de entendimento da indicação terapêutica, forma de aquisição e dificuldade para cumprir o plano terapêutico foram registradas e deram origem aos dados deste estudo.

Para avaliação do entendimento da doença, os cuidadores responderam as seguintes perguntas: O que

entende sobre FC? Quais os sintomas? Quais as consequências da FC? Qual a importância de se realizar o tratamento corretamente? As respostas obtidas foram classificadas como entendimento bom, regular ou ruim.

Os medicamentos foram classificados conforme a classificação *Anatomical Therapeutic Chemical (ATC)*, de acordo com a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename) 2014/2015<sup>(8)</sup> e a relação dos medicamentos da Secretaria Estadual de Saúde do Rio Grande do Sul (SES/RS).<sup>(9)</sup>

Os dados obtidos foram armazenados no programa *Excel* e analisados utilizando o programa *Statistical Package for the Social Sciences (SPSS)*, versão 22.0. Utilizou-se o teste de Kolmogorov-Smirnov para avaliar a normalidade das variáveis, por meio do qual verificou-se que elas possuíam distribuição assimétrica, optando por expressá-las por meio de medianas. As variáveis categóricas foram descritas por frequências absolutas e relativas, e, para associá-las, foi utilizado o teste  $\chi^2$ . O mesmo teste foi utilizado para avaliar associações entre variáveis categóricas. Para as variáveis contínuas, empregou-se o teste Mann-Whitney. Para avaliar diferenças entre três ou mais grupos, foi empregado o teste Kruskal-Wallis. Para todos os testes, foi considerado o nível de significância de  $p < 0,05$ .

A pesquisa foi aprovada pelo Comitê de Ética em Pesquisa do Grupo de Pesquisa e Pós-Graduação do hospital onde o estudo foi realizado, sob o número 802.201, CAAE: 33940114.8.0000.5327.

## RESULTADOS

No período do estudo, o centro de referência apresentou, em seus registros, 119 pacientes com diagnóstico confirmado de FC cadastrados. Foram analisados dados de 78 pacientes (65,5%). A maioria dos pacientes era do sexo feminino (53,8%), branca (98,7%) e procedente do interior do Estado do Rio Grande do Sul (Tabela 1). A mutação da doença mais frequente foi heterozigoto para F508del (37,7%). A faixa etária variou de 4 meses a 21 anos e 5 meses (mediana de 9,7 anos). Cerca de 40% dos pacientes tiveram seu diagnóstico confirmado até o primeiro mês de vida. Um paciente foi a óbito durante o estudo.

Tinham acompanhamento de saúde exclusivamente no ambulatório do hospital 43 pacientes (53,8%). Os demais eram vinculados a outros locais e serviços de saúde.

As doenças e/ou comorbidades associadas foram identificadas em 33 pacientes (42,3%), sendo a hepatopatia crônica a mais descrita (16,7%), seguida de *diabetes mellitus*, pólipos nasais, depleção de volume, constipação e rinite alérgica. Mais da metade dos pa-

**Tabela 1.** Características gerais dos pacientes

Características	n (%)
Sexo	
Feminino	42 (53,8)
Masculino	36 (46,2)
Procedência	
Interior do Estado do Rio Grande do Sul	52 (66,7)
Região metropolitana	14 (17,9)
Capital	8 (10,3)
Outros Estados	4 (5,1)
Acompanhamento de saúde	
Exclusivamente ambulatorial	43 (55,1)
Outros serviços de saúde	35 (44,9)
Cuidador	
Mãe	72 (92,3)
Avó	2 (2,6)
Pai	1 (1,3)
Sem cuidador/responsável	3 (3,8)
Responsável pelo tratamento	
Cuidador	55 (70,6)
Cuidador e paciente	20 (25,6)
Paciente	3 (3,8)

cientes (56,4%) apresentavam alguma complicação pulmonar, sendo o baquetamento digital a mais frequente (47,4%), seguida de bronquiectasias (34,6%). A insuficiência pancreática esteve presente em 89,7% dos prontuários dos pacientes, e, em 35,9%, foi mencionado o escore hepático alterado ( $>3$ ). As informações sobre o escore hepático não constavam no prontuário em 10,3% ( $n=8$ ).

Na análise farmacoterapêutica dos medicamentos prescritos por paciente, observou-se variação de 2 a 16 medicamentos, com média de 6,5 medicamentos/paciente, totalizando 509 medicamentos prescritos. Quando perguntado aos entrevistados sobre o entendimento da utilização de cada medicamento, este número diminuiu para 424 (83,3%) medicamentos.

Os valores da tabela 2 demonstram associação entre variáveis clínicas dos pacientes e os medicamentos prescritos. Pacientes com complicação pulmonar e doenças e/ou comorbidades associadas à FC apresentavam mais medicamentos prescritos.

Pacientes com insuficiência pancreática ( $p=0,006$ ), doença e/ou comorbidades associadas ( $p=0,005$ ) e que expressaram ter alguma dificuldade na realização do tratamento ( $p=0,031$ ) apresentaram maior entendimento do uso de medicamentos que aqueles que não possuíam estas características.

Dentre os medicamentos prescritos, 265 pertenciam à Rename, sendo 26,7% do componente básico

**Tabela 2.** Variáveis clínicas dos pacientes, de acordo com os medicamentos prescritos

Variáveis	Medicamentos prescritos (mediana)	Valor de p
Complicação pulmonar		
Não	5	<0,001*
Sim	7	
Insuficiência pancreática		
Não	5	0,069*
Sim	6	
Eutrofia		
Não	6	0,851*
Sim	6	
Doença e/ou comorbidade		
Não	6	0,003*
Sim	7	
Acompanhamento ambulatorial exclusivo		
Não	6	0,935*
Sim	6	
Dificuldade no tratamento		
Não	6	0,051*
Sim	7	
Responsável pelo tratamento		
Cuidador	6	0,096†
Paciente	8	
Cuidador e paciente	7	

\* Valor de p para teste de Mann-Whitney; † valor de p para teste de Kruskal-Wallis.

da assistência farmacêutica e 25,4% do componente especializado.

Da seleção de medicamentos da SES/RS, foram prescritos 289 medicamentos, sendo 12% do componente básico, 24,7% do especializado, 34,8% do especial e 28,5% não constavam na listagem de seleção de medicamentos estadual.

Os medicamentos para terapêutica do trato alimentar e do metabolismo representaram a maioria dos medicamentos prescritos (45,8%), segundo classificação ATC, sendo seguidos dos medicamentos do sistema respiratório (35,4%) e anti-infecciosos (14,5%). As vitaminas foram os medicamentos mais prescritos, seja na forma isolada ou como polivitamínico (Tabela 3).

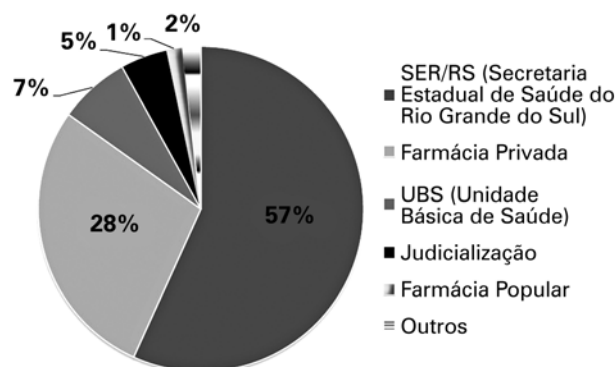
Os medicamentos de administração oral (n=233; 52,7%) e inalatória (n=203; 39,9%) apresentaram maior frequência de prescrição, seguidos por medicamentos intranasais (4,1%), utilizados por gastrostomia (2,1%) e por via subcutânea (1,4%).

A figura 1 indica os locais de aquisição dos medicamentos dos paciente. Outros dez entrevistados adquiriram seus medicamentos utilizando diferentes itinerários de busca ao medicamento: seis informaram comprar o medicamento no hospital de sua cidade, dois recebiam

**Tabela 3.** Medicamentos mais prescritos

Medicamento	Número	Porcentagem em relação ao total de medicamentos prescritos	Porcentagem em relação total de pacientes
Polivitamínico 1*	75	14,7	96,1
Enzimas pancreáticas	72	14,1	92,3
Solução salina hipertônica	66	12,9	84,6
Alfadornase	53	10,4	68,0
Ácido ursodesoxicólico	33	6,5	42,3
Polimixina E	28	5,5	35,9
Tobramicina	23	4,5	29,5
Fenoterol	20	3,9	25,6
Azitromicina	16	3,1	20,5
Polivitamínico 2†	16	3,1	20,5
Budesonida	14	2,7	17,9
Salbutamol	10	2,0	12,8
Omeprazol	9	1,8	11,5
Montelucaste	8	1,6	10,2
Insulinas	7	1,5	9,0
Vitamina E	7	1,5	9,0
Outros	52	10,2	66,7

\* Composição: vitaminas A, B6, C, D, E e K1; † composição: vitaminas A, B1, B2, B3, B5, B6, B8, C, D2 e E.

**Figura 1.** Locais de aquisição dos medicamentos

o medicamento no próprio ambulatório de FC, um paciente recebia do consultório pediátrico privado e outro do hospital no qual o cuidador trabalhava.

Sessenta e quatro (82%) entrevistados relataram dificuldades na aquisição de de pelo menos 1 dos medicamentos, variando de 1 a 5 medicamentos, em um total de 101 medicamentos (média 1,5 medicamento/paciente). A principal causa de não acesso relatada foi a falta do medicamento nos estabelecimentos de saúde. Os medicamentos mais relatados quanto à dificuldade de aquisição foram polivitamínico 1, polimixina E, enzimas pancreáticas, alfadornase, azitromicina, ácido ursodesoxicólico e tobramicina.

O tratamento não farmacológico foi mencionado como importante nos relatos. Todos relataram realizar a fisioterapia em domicílio e 85,9% o faziam pelo menos duas vezes ao dia. Ainda, 62% dos pacientes praticavam algum tipo de exercício físico e, destes, 31,2% somente na escola (na aula de educação física).

Em relação ao estado nutricional, a maioria dos pacientes (52,6%) foi classificada como eutrófica. Foram utilizados suplementos calóricos, dietas líquidas e de carboidratos complexos, como a maltodextrina, em 59% dos casos. Um paciente possuía alimentação exclusiva por gastrostomia. Dois pacientes, que utilizavam gastrostomia e sonda nasoentérica, apresentaram via de alimentação complementar à via oral.

A presença de *Staphylococcus aureus* sensível à metilicina (MSSA) no escarro dos pacientes foi a mais prevalente (64,1%), seguida de *Pseudomonas aeruginosa* (34,6%) – estando sua forma mucoide presente em 25,9% destes, e do complexo *Burkholderia cepacia* (20,5%).

Para 92,3% dos pacientes acompanhados, a mãe foi a principal cuidadora. O entendimento pleno da doença, dos sintomas, das consequências e da importância do tratamento da FC foi observado em 65,4% dos casos.

Os resultados demonstram relação entre o entendimento da doença e dados clínicos do paciente. Pacientes com acompanhamento de saúde (77,1%) em outros serviços de saúde ( $n=27$ ; 77,1%;  $p=0,008$ ) e com presença de insuficiência pancreática ( $n=49$ ; 70%;  $p=0,027$ ) apresentaram melhor entendimento da doença, quando comparados com pacientes com boa condição pancreática e que com acompanhamento exclusivamente no ambulatório.

## DISCUSSÃO

A maioria dos sujeitos do estudo foi do sexo feminino, da raça branca, procedentes do interior do Estado do Rio Grande do Sul, com mutação F508del e presença de MSSA no escarro. Estes dados foram semelhantes aos observados em estudos de outros centros do mesmo<sup>(10,11)</sup> e de outros Estados do Brasil.<sup>(12,13)</sup>

Os entrevistados, em geral, demonstraram bom conhecimento da doença. Estudo realizado em centro de referência no Reino Unido também mostrou que pacientes adultos com a doença demonstraram bom conhecimento geral sobre a FC.<sup>(14)</sup>

Alguns pacientes faziam seu acompanhamento exclusivamente no ambulatório onde o estudo foi conduzido, o que torna perceptível o vínculo estabelecido entre eles e a equipe de saúde do local. A partir dos relatos dos cuidadores, foi observada dificuldade de

acompanhamento de saúde fora do ambulatório. Os profissionais e/ou serviços, principalmente do interior do Estado, possuem dificuldades e, muitas vezes, falta de preparo para o acolhimento dos pacientes portadores de doenças crônicas.

Por vezes, o paciente fibrocístico possui algum tipo de encaminhamento para outros serviços – seja qual for o nível de atenção –, o qual geralmente não é acompanhado por uma orientação detalhada para a continuidade do plano terapêutico. Como a oferta de consultas nem sempre é adequada, o paciente é encaminhado para o especialista, no imaginário de que somente este profissional poderá oferecer o melhor tratamento, como consequência o vínculo é estabelecido somente com o ambulatório do centro de referência para FC.<sup>(15)</sup>

Algumas condições são necessárias para o bom funcionamento da transição dos níveis de complexidade no sistema de saúde. Algumas dificuldades podem acarretar agravamento das condições de saúde dos pacientes e sobrecarga das unidades de maior complexidade do Sistema Único de Saúde (SUS).<sup>(16)</sup> Assim, torna-se importante o preparo do profissional de saúde neste acolhimento em serviços de baixa e média complexidade, para evitar a sobrecarga dos serviços de alta complexidade. No presente estudo, pacientes que possuem atendimentos não somente no centro de referência apresentaram melhor entendimento da FC – o que certamente melhora a adesão ao tratamento e a qualidade de vida.

Foi observada também a importância do tempo que o paciente iniciou o tratamento a partir da confirmação do diagnóstico de FC. Os pacientes analisados apresentaram associação entre complicações pulmonares e doenças e/ou comorbidades. Por se tratar de um centro pediátrico, urge notar o impacto do tempo de conhecimento da doença no prognóstico desta situação de saúde.

A figura materna foi apontada como principal cuidadora, e, em poucos casos, o cuidado era compartilhado com outro familiar. Situações semelhantes são apresentadas na literatura.<sup>(17,18)</sup> O acompanhamento do cuidador é um dispositivo com impacto positivo na monitoração do plano terapêutico.

Do total dos medicamentos prescritos, a indicação terapêutica foi reconhecida pelos entrevistados na maior parte dos casos. A utilização correta dos medicamentos foi mais relatada por entrevistados de pacientes com presença de complicações e/ou comorbidades. Estudo realizado no ambulatório de medicina interna do mesmo hospital para avaliar o nível de informação sobre os medicamentos prescritos aos pacientes observou que, na maioria das situações, a informação foi a correta.<sup>(19)</sup> Oenning et al., avaliaram o conhecimento

dos pacientes na consulta médica e na dispensação, chegando a valores acima de 90%.<sup>(20)</sup>

A má digestão e/ou má absorção de gordura e de vitaminas afetam o balanço energético e nutricional do paciente, o que está diretamente relacionado com declínio da função pulmonar e piora da qualidade de vida.<sup>(21)</sup> Este conceito justifica o fato de a maioria dos medicamentos prescritos, segundo a ATC, pertencer ao grupo farmacológico do trato alimentar e metabolismo, como vitaminas e enzimas pancreáticas. Estes medicamentos foram seguidos pelos que atuam no trato respiratório, outro sistema afetado na maioria dos fibrocísticos, o que, por sua vez, explica o polivitamínico como o medicamento mais prescrito.

As enzimas pancreáticas foram prescritas para quase todos os pacientes, o que condiz com os dados do Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)<sup>(22)</sup> e da *Cystic Fibrosis Foundation* (CFF):<sup>(23)</sup> 81,2% e 87,3%, respectivamente. Dados europeus de 2010 apresentaram prescrição de enzimas pancreáticas em países como Sérvia, Dinamarca e Rússia para mais de 90% dos casos, e para aproximadamente 85% dos pacientes de centros da Suécia, Lituânia, Suíça e Grécia.<sup>(24)</sup> Rizzo et al., que realizaram estudos em dois centros de referência para FC, apresentaram 96% em um centro e 83,6% no outro centro de pacientes com prescrição de enzimas pancreáticas. Scattolin et al., apresentaram 90,3% pacientes em uso de terapia de reposição enzimática.<sup>(10,11)</sup>

A prescrição de alfadornase foi menos frequente, tal qual em outros estudos nacionais,<sup>(10,11)</sup> em relação aos dados da CFF.<sup>(23)</sup> Estudos associam a utilização de alfadornase ao risco reduzido de morte, à melhora da função pulmonar e à redução de exacerbações pulmonares.<sup>(3)</sup> Wark et al., ressaltam que o tratamento com o mucolítico é relativamente caro, e que seu uso é limitado na maioria dos países – o que explica a diferença –, sendo a solução salina hipertônica uma alternativa terapêutica.<sup>(25)</sup>

A frequência da prescrição de solução salina hipertônica (84,6%) foi maior se comparada a dados da CFF (65,7%) e da *UK Cystic Fibrosis Registry* (26,1%).<sup>(23,26)</sup> Além do baixo custo, a preparação do medicamento é mais simples, podendo ser realizada pelo próprio cuidador e/ou paciente ou, como relatou proceder a maioria dos entrevistados, o medicamento pode ser adquirido já manipulado em farmácias privadas. Sua utilização auxilia na redução das exacerbações pulmonares e do uso de antibióticos, além de haver melhora da qualidade de vida do paciente.<sup>(25)</sup>

O ácido ursodesoxicólico, medicamento de efeito hepatoprotetor, foi prescrito para quase metade dos pacientes, com a justificativa de a hepatopatia crônica

ser a comorbidade mais frequente entre estes pacientes e de mais de 35% deles apresentarem escore hepático alterado. Frequências de prescrição semelhantes foram encontradas em pelo menos seis países europeus.<sup>(24)</sup> Estudo que caracterizou a população do mesmo ambulatório anteriormente relatou prescrição do ácido ursodesoxicólico para 55,5% dela.<sup>(11)</sup>

O uso de tobramicina inalatória para erradicar *Pseudomonas aeruginosa*, é maior nos dados da CFF (69,8%). Esta diferença pode ser explicada pela maior frequência de colonização de *Pseudomonas aeruginosa* entre pacientes norte-americanos.<sup>(23)</sup> A polimixina E, alternativa para este tratamento, foi prescrita para 35,9%, dados semelhantes aos observados nos registros brasileiro e do Reino Unido.<sup>(22,26)</sup> Nos Estados Unidos, seu uso como antibiótico inalatório não é aprovado.

Referente à aquisição de medicamentos, pouco mais da metade dos medicamentos pertenciam à Rename.<sup>(8)</sup> Esta, para o SUS, é uma referência que deve nortear a oferta, a prescrição e a dispensação de medicamentos.

Os Estados e municípios possuem autonomia político-administrativa, podendo definir suas relações de medicamentos essenciais, com base nos diferentes perfis epidemiológicos, para atender às demandas de cada localidade, o que, muitas vezes, pode confundir a sociedade sobre quais medicamentos ela deve encontrar nos serviços de saúde,<sup>(27)</sup> situação observada no presente estudo. Os entrevistados informaram até nove diferentes serviços e estabelecimentos de saúde acessados, além de situações em que eles necessitavam acessar três a quatro locais diferentes para a aquisição de todo o tratamento medicamentoso do paciente.

O Brasil carece de uma política específica para doenças genéticas raras, sendo a assistência a estes pacientes fragilizada.<sup>(28)</sup> A FC está contemplada em dois Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas: o de manifestações pulmonares, com o medicamento alfadornase, e o de insuficiência pancreática, com a terapia de reposição enzimática. Ambos os medicamentos pertencem à lista do componente especializado do Ministério da Saúde e são cofinanciados pela União e pelos Estados, que também possuem a responsabilidade de distribuí-los. Conforme a classificação da SES/RS, a maioria dos medicamentos pertencia à lista dos medicamentos do componente especial.<sup>(9)</sup>

O Estado do Rio Grande do Sul, além da lista do componente especializado, distribui medicamentos de uma lista complementar, com outros medicamentos, dietas e suplementação alimentar. Esta foi criada em 2010 para preservar e ampliar o acesso ao tratamento medicamentoso dos pacientes com FC.<sup>(29)</sup> O setor público do SUS é o predominante na distribuição dos me-

dicamentos, o que, em situação de desabastecimento e dificuldade de alternativa de aquisição no setor privado, pode ser um complicador.<sup>(30)</sup> Esta situação foi observada na fala da maioria dos entrevistados, que informou possuir dificuldades para adquirir medicamentos, sendo o mais citado o polivitamínico (um medicamento importado pela SES/RS).

Os achados deste estudo podem contribuir para as políticas públicas voltadas ao paciente fibrocístico pediátrico, promovendo a garantia do acesso e orientação aos medicamentos, seja qual for o serviço de saúde acessado, para a manutenção do plano terapêutico. A implementação de estratégias que possam melhorar as políticas públicas, com abordagens educativas, que considerem o paciente como centro do processo de cuidar, permitindo-lhe expor suas dúvidas, dificuldades, opiniões e experiências, relacionadas ao tratamento, pode constituir importante medida para minimizar problemas de adesão terapêutica, diminuindo internações desnecessárias e garantindo a qualidade de vida destas crianças.

## CONCLUSÃO

Os dados obtidos permitiram maior conhecimento sobre o tratamento, cuidado e necessidades do portador de fibrose cística. São pacientes polimedicados, sendo as complicações da fibrose cística, um fator determinante para a utilização de um número maior de medicamentos. Maioria dos pacientes, a partir do diagnóstico, faz uso de enzimas pancreáticas, vitaminas, mucolíticos e de antimicrobianos. Os pacientes, geralmente, possuem dificuldades para se manter no tratamento, principalmente o farmacológico, por conta da falta de orientação e da não aquisição dos medicamentos, mesmo metade deles pertencentes à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais. O paciente fibrocístico representa uma demanda intensa de cuidado tanto para a família como para a equipe assistencial e os serviços de saúde que os acompanham.

## AGRADECIMENTOS

À Fundação de Amparo à Pesquisa do Estado do Rio Grande do Sul (FAPERGS), edital 12216.313.27776.26032014, e à Equipe Multiprofissional do Ambulatório de Pneumologia Infantil do Hospital de Clínicas de Porto Alegre.

## INFORMAÇÃO DOS AUTORES

Alves SP: <https://orcid.org/0000-0002-1113-9062>  
 Frank MA: <https://orcid.org/0000-0002-8112-1781>  
 Bueno D: <https://orcid.org/0000-0002-6037-8764>

## REFERÊNCIAS

- Bell SC, De Boeck KD, Amaral MD. New pharmacological approaches for cystic fibrosis: promises, progress, pitfalls. *Pharmacol Ther.* 2015;145:19-34.
- Ratjen F, Döring G. Cystic fibrosis. *Lancet.* 2003;361(9358):681-9. Review.
- Ribeiro JD, Ribeiro MA, Ribeiro AF. [Controversies in cystic fibrosis - from pediatrician to specialist]. *J Pediatr (Rio J).* 2002;78 Suppl 2:S171-86. Portuguese.
- Alves SP, Bueno D. [Construction and adequacy of data collection instruments for the analysis of drug utilization by pediatric ambulatory patients with cystic fibrosis]. *Clin Biomed Res.* 2015;35(3):174-5. Portuguese.
- Leite SN, Vieira M, Veber AP. [Drug utilization studies: A synthesis of articles published in Brazil and Latin America]. *Cien Saude Colet.* 2008;13(Suppl):793-802. Review. Portuguese.
- Souza MC, Goulart MA, Rosado V, Reis AM. Utilization of parenteral drugs in vials at a pediatric unit of a university hospital. *Rev Esc Enferm USP.* 2008;42(4):715-22.
- Osório-de-Castro CG, coordenadora. Estudos de utilização de medicamentos: noções básicas. Rio de Janeiro: Editora Fiocruz; 2000. p. 15-25.
- Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais: RENAME 2014 [Internet]. 9 ed. Brasília (DF): Ministério da Saúde; 2015 [citado 2018 Fev 2]. Disponível em: [http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao\\_nacional\\_medicamentos\\_essenciais\\_rename\\_2014.pdf](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_essenciais_rename_2014.pdf)
- Governo do Rio Grande do Sul. Secretaria Estadual de Saúde. Saúde e você. Assistência farmacêutica [Internet]. Porto Alegre (RS): Secretaria Estadual de Saúde; 2018 [citado 2017 Abr 10]. Disponível em: <http://www.saude.rs.gov.br/medicamentos>
- Rizzo LC, Fischer GB, Maróstica PJ, Mocelin HT. Profile of cystic fibrosis in two reference centers in southern Brazil. *Rev Assoc Med Bras.* 2015;61(2):150-5.
- Scattolin I, Ricachinsky C, Agranonik M, Abreu e Silva FA. [Clinical and demography characteristics of cystic fibrosis patients attending at the Hospital de Clínicas de Porto Alegre during 2009]. *Rev AMRIGS.* 2012;56(2):119-24. Portuguese.
- Alvarez AE, Ribeiro AF, Hessel G, Bertuzzo CS, Ribeiro JD. [Cystic fibrosis at a Brazilian center of excellence: clinical and laboratory characteristics of 104 patients and their association with genotype and disease severity]. *J Pediatr (Rio J).* 2004;80(5):371-9.
- Reis FJ, Oliveira MC, Penna FJ, das GR Oliveira M, Oliveira EA, Monteiro AP. [Clinical and nutritional aspects in patients with cystic fibrosis: 20 years of follow-up in the Clinical Hospital-Federal University of Minas Gerais (HC-UFMG)]. *Rev Ass Med Bras (1992).* 2000;46(4):325-30. Portuguese.
- Conway SP, Pond MN, Watson A, Hamnett T. Knowledge of adult patients with cystic fibrosis about their illness. *Thorax.* 1996;51(1):34-8.
- Ferreira JB, Mishima SM, dos Santos JB, Forster AC, Ferraz CA. The regulatory complex for healthcare from the perspective of its operational players. *Interface.* 2010;14(33):345-58.
- Serra CG, Rodrigues PH. [Evaluation of reference and counter-reference in the Family Health Program at the metropolitan region of Rio de Janeiro (RJ, Brazil)]. *Cien Saude Colet.* 2010;15 Suppl 3:3579-86. Portuguese.
- Pizzignacco TP, Mello DF, Lima RG. The experience of disease in cystic fibrosis: the paths to comprehensive care. *Rev Esc Enferm USP.* 2011;45(3):638-44.
- Furtado MC, de Lima RA. [The routine of families with children cystic fibrosis: subsidies for pediatric nursing]. *Rev Lat Am Enfermagem.* 2003;11(1):66-73. Portuguese.
- Silva Td, Schenkel EP, Mengue SS. [Information level about drugs prescribed to ambulatory patients in a university hospital]. *Cad Saude Publica.* 2000;16(2):449-55. Portuguese.
- Oenning D, Oliveira BV, Blatt CR. [Patient awareness about drugs prescribed after medical appointment and prescription]. *Cien Saude Colet.* 2011;16(7):3277-83. Portuguese.

21. Li L, Somerset S. Digestive system dysfunction in cystic fibrosis: challenges for nutrition therapy. *Dig Liver Dis.* 2014;46(10):865-74. Review.
22. Grupo Brasileiro de Estudos de Fibrose Cística (GBEFC). Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) [Internet]. 6a ed. 2014 [citado 2017 Abr 11]. [Relatório anual de 2014]. Disponível em: [http://portalgbecf.org.br/wp-content/uploads/2016/11/Registro2014\\_v09.pdf](http://portalgbecf.org.br/wp-content/uploads/2016/11/Registro2014_v09.pdf)
23. Cystic Fibrosis Foundation. Patient Registry annual data report [Internet]. Bethesda: Cystic Fibrosis Foundation; 2014 [cited 2017 Apr 11]. Available from: [https://www.cff.org/2014\\_CFF\\_Annual\\_Data\\_Report\\_to\\_the\\_Center\\_Directors.pdf/](https://www.cff.org/2014_CFF_Annual_Data_Report_to_the_Center_Directors.pdf/)
24. European Cystic Fibrosis Society (ECFS). Patient Registry. Annual Data Report 2014 [Internet]. Dinamarca: ECFS; 2014 [cited 2017 Apr 11]. Available from: [https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR\\_Annual%20Report%202014\\_Nov2016.pdf](https://www.ecfs.eu/sites/default/files/general-content-files/working-groups/ecfs-patient-registry/ECFSPR_Annual%20Report%202014_Nov2016.pdf)
25. Wark P, McDonald VM. Nebulised hypertonic saline for cystic fibrosis. *Cochrane Database Syst Rev.* 2009;(2):CD001506. Review.
26. UK Cystic Fibrosis Registry. 2015 Annual Data Report. Cystic fibrosis strength in number [Internet]. Londron: 2016 [cited 2017 Apr 11]. Available from: [file:///C:/Users/drt37580/Downloads/Full%20Registry%20Report%202015%20\(1\).pdf](file:///C:/Users/drt37580/Downloads/Full%20Registry%20Report%202015%20(1).pdf)
27. Vieira FS. [Pharmaceutical assistance in the Brazilian public health care system]. *Rev Panam Salud Publica.* 2010;27(2):149-56. Portuguese.
28. Diniz D, Medeiros M, Schwartz IV. [Consequences of judicialization of health policies: the cost of medicines for mucopolysaccharidosis]. *Cad Saude Publica.* 2012;28(3):479-89. Portuguese.
29. Picon PD, Abreu e Silva FA, Krug BC, Amaral KM, Saccilotto IC, Lamaison AC. [The state health board of Rio Grande do Sul and the special drugs dispensation program for cystic fibrosis]. *Clin Biomed Res.* 2011;31(2):262-3. Portuguese.
30. Guerra AA Jr, Acúrcio Fde A, Gomes CA, Miralles M, Girardi SN, Werneck GA, et al. [Availability of essential drugs in two regions of Minas Gerais, Brazil]. *Rev Panam Salud Publica.* 2004;15(3):168-75. Spanish.