

## **JAV-RARAS: jornada assistencial de valor de pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne no Brasil**

Jonas Alex Saute<sup>1,2</sup>; Marcela CM Costa<sup>3</sup>; Alef Almeida<sup>4</sup>; Camila Azevedo<sup>4</sup>; Guillermo Montero<sup>4</sup>; Vania Mesquita Gadelha Palhares<sup>5</sup>; Victor Evangelista de Farias Ferraz<sup>6</sup>; Erlane Marques Ribeiro<sup>7</sup>; Mara Lucia Scmitz Ferreira Santos<sup>8</sup>; Maria Terezinha Cardoso<sup>9</sup>; Paula Frassinetti Vasconcelos de Medeiros<sup>10</sup>; Louise Lapagesse de Camargo Pinto<sup>11</sup>; Sandra Obikawa Kyosen<sup>12</sup>; Solange Valle<sup>13</sup>; Rosemarie Elizabeth Schimidt Almeida<sup>14</sup>; Marcelo Nita<sup>4</sup>; Temis Maria Félix<sup>1</sup>

1 - Serviço de Genética Médica, Hospital de Clínicas de Porto Alegre (HCPA), Porto Alegre, Brasil.

2 - Departamento de Medicina Interna, Universidade Federal do Rio Grande do Sul

3 - Escola Bahiana de Medicina e Saúde Pública- EBMSP

4 - MAPESolutions, São Paulo, Brasil

5 - Policlínica Codajás, Manaus, Brasil

6 - Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto, Ribeirão Preto, Brasil

7 - Hospital Infantil Albert Sabin, Fortaleza, Brasil

8 - Hospital Pequeno Príncipe, Curitiba, Brasil

9 - Hospital de Apoio de Brasília, Brasília, Brasil

10 - Hospital Universitário Alcides Carneiro, Campina Grande, Brasil

11 - Hospital Infantil Joana de Gusmão, Florianópolis, Brasil

12 - Hospital São Paulo – UNIFESP, São Paulo, Brasil

13 - Hospital Universitário Clementino Fraga Filho, Rio de Janeiro, Brasil

14 - Universidade Estadual de Londrina, Londrina, Brasil

**Introdução:** A distrofia muscular de Duchenne (DMD) é a forma mais frequente de distrofia muscular, sendo uma doença genética rara cujos dados sobre desfechos centrados no paciente e de custos decorrentes da jornada assistencial são escassos na população brasileira. **Objetivo:** Avaliar a qualidade de vida e os custos associados à jornada assistencial de pacientes brasileiros com DMD. **Método:** Estudo prospectivo (com coleta transversal) realizado em clínicas e hospitais de 8 centros associados à Rede RARAS. Foram aplicados os questionários de qualidade de vida *Pediatric Quality of Life Inventory* (PedsQL) e EuroQoL-5D (EQ-5D) e o questionário de satisfação do paciente Net Promoter Score (NPS). Os custos totais foram

estimados pelo método *Time-Driven Activity-Based Costing (TDABC)*. **Resultados:** O escore médio (desvio-padrão) no PedsQL (n=58) foi de 53,76 (19,93) na impressão dos cuidadores (n=40) e de 49,40 (15,13) na impressão do paciente (n=18); e no EQ-5D (n=10), foi de 0,32 (0,20) para utilidade e de 77,10 (16,25) em escala análogo-visual. A média do escore de satisfação foi 8,30 (3,25) para o tratamento medicamentoso e 9,44 (1,61) para a equipe de cuidado. O custo médio da jornada do paciente com DMD foi estimado em R\$ 395.244,53. **Conclusão:** Há importante redução da qualidade de vida dos pacientes com DMD no Brasil, sendo os dados gerados sobre custos da jornada do paciente fundamentais para planejar o cuidado e pautar a incorporação de novas tecnologias de saúde para esta condição no país.

**Palavras-chave:** Distrofia muscular de Duchenne, valor em saúde, qualidade de vida, desfecho centrado no paciente.