

JAV-RARAS: ESTUDO DE VIDA REAL CENTRADO NO VALOR PARA O PACIENTE EM POLINEUROPATIA AMILOIDÓTICA FAMILIAR (PAF)

CARVALHO, Stefania¹; FALCONERY, Maria Luiza²; RIBEIRO, Marie Lídio²; PESSOA, Maria²; DE EÇA, Blenda²; CARVALHO, Katheryne²; ALVES, Ariele²; VILANOVA, Luna²; PEREIRA, Lorena³; VASCONCELOS, Luana³; COSTA, Marcela⁴; FERREIRA, Marilaine⁵; FELIX, Têmis Maria⁶; LOPES, Luana⁷; AZEVEDO, Camila⁸; MONTERO, Guillermo⁹; NITA, Marcelo¹⁰.

¹Estudante de Medicina da Escola Bahiana de Medicina e Saúde Pública (EBMSP). Endereço: Rua Professor Aristides Novis, 680, Federação – Salvador-BA. E-mail: stefaniacarvalho19.1@bahiana.edu.br.

²Estudante de Medicina da EBMSP.

³Enfermeira graduada pela EBMSP.

⁴Médica neurologista, Professora Adjunta da EBMSP e Coordenadora do ambulatório de doenças neuromusculares da EBMSP.

⁵Doutora e Professora Adjunta do curso de Enfermagem da EBMSP.

⁶Médica geneticista do Serviço de Genética Médica do Hospital das Clínicas de Porto Alegre, Presidente da Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica, Coordenadora da Rede Nacional de Doenças Raras.

⁷Consultora HEOR da MAPESolutions.

⁸Pesquisadora Clínica da MAPESolutions.

⁹Cientista de Dados da MAPESolutions.

¹⁰CEO da MAPESolutions.

Resumo:

Introdução: A Amiloidose Hereditária (ATTRv) é uma doença genética autossômica dominante, relacionada à mutação no gene da transtirretina. A Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF) é uma das formas de manifestação clínica da ATTRv. **Objetivos:** Avaliar os desfechos centrados no paciente por moeda gasta durante a jornada clínica (VBHC) de pacientes com PAF no sistema único de saúde. **Métodos:** Estudo transversal que avaliou prospectivamente qualidade de vida (QoL) e custos totais pelo *Time-Driven Activity-Based Costing* em cinco centros. Foram aplicados os questionários: Norfolk (QOL-DN), Short Form Health Survey 36 (SF-36), EuroQoL-5D (EQ-5D), General Health (WPAI-GH) e Net Promoter Score (NPS). **Resultados:** O escore total médio obtido pelo Norfolk QOL-DN foi de 66,4 e o menor escore observado foi neuropatia autonômica (4,3). O domínio dor (44,74) apresentou o menor escore médio obtido pelo SF-36, enquanto o melhor foi para estado geral de saúde (55,92). O valor de utilidade médio para EQ-5D foi de 0,56 (DP 0,28) e o valor médio da escala visual foi de 60,94 (DP 26,29). O comprometimento médio de atividades (WPAI-GH) foi de 51,85% (DP: 34,87). O nível de satisfação com o tratamento medicamentoso foi de 5,3 (4,55) e o centro médico foi de 9,7 (0,69). O custo médio da jornada do paciente é de R\$198.960,4, sendo o custo estimado pelo PCDT de R\$200.303,2. **Conclusão:** O nível de satisfação com o tratamento medicamentoso é baixo e pode estar associado à

presença de comprometimento em atividades em 51,85% dos participantes. Esse conhecimento pode contribuir para elaboração de estratégias para esse público.

Palavras-chave: Neuropatias Amiloides Familiares. Medidas de Desfecho. Qualidade de Vida.