

Angioedema hereditário: desafios, avanços e impacto de um programa de assistência estadual

Faradiba Sarquis Serpa¹, Therezinha Ribeiro Moyses², Fernanda Lugão Campinhos², Michelly Sansao Filleti², Vinicius Raphael Almeida Borges³

Introdução: O angioedema hereditário (AEH) é uma doença genética rara, que cursa com crises de angioedema que afetam o subcutâneo e órgãos internos. No Brasil, o acesso ao diagnóstico e ao tratamento do AEH são barreiras a serem ultrapassadas. O objetivo deste estudo foi descrever a experiência de um programa de assistência aos portadores de AEH. **Método:** estudo observacional, retrospectivo, com levantamento de dados clínicos, epidemiológicos, laboratoriais e dos atendimentos em emergência de pacientes com diagnóstico de AEH cadastrados no programa de assistência aos pacientes com AEH da SESA ES no período de 2012 a 2022. **Resultados:** No período estudado foram diagnosticados 137 pacientes com AEH. Desses, 85,4% com deficiência quantitativa de C1-INH, 5,8% com deficiência funcional de C1-INH e 8,8% com C1-INH normal, por variantes no gene *F12*. A idade média foi 40 anos e 54% eram do sexo feminino. A idade média de início dos sintomas foi 13,8 anos. O tempo médio entre o início dos sintomas e o diagnóstico foi de 14,7 anos. Nos 10 anos de programa, 81 pacientes (59,1%) apresentaram 822 crises com necessidade de atendimento em emergência para uso de icatibanto. A localização de crise mais comum foi a abdominal (40%), seguida de face (27%), extremidades (26%) e laringe (13%). Quanto ao número de crises/ano/paciente, 48% apresentaram 1 crise/ano, 36% 2 a 5 crises/ano e 16% mais de 5 crises/ano. A maioria das crises (95%) necessitou de apenas uma dose do icatibanto para controle do edema. Nenhum paciente necessitou de intubação, hospitalização ou evoluiu para óbito. Faziam tratamento preventivo de crises com danazol ou ácido tranexâmico 67,9% desses pacientes. **Conclusão:** O atraso no diagnóstico do AEH ainda é uma realidade. O acesso ao tratamento de crises evita óbitos por edema de laringe e cirurgias abdominais por suspeita de abdômen agudo. A implementação de políticas de saúde para doenças raras pode melhorar o acesso ao diagnóstico e tratamento dessas condições.

1. Escola Superior de Ciências da Santa Casa de Misericórdia de Vitória - Vitória, ES, Brasil.

2. Hospital Santa Casa de Misericórdia de Vitória - Vitória, ES, Brasil.

3. Secretaria de Estado da Saúde do Espírito Santo - Vitória, ES, Brasil.

Urticária crônica espontânea: perfil da doença em pacientes pediátricos

Mayanne Fran Ferreira de Araújo Frayha¹, Juliana Hansen Cirilo¹,
Isabele Santos Piuzana Barbosa¹, Luisa Haddad Franco¹, Débora Linhares Rodrigues¹,
Ludmilla Masiero Silva¹, Ana Paula Moschione Castro¹,
Antônio Carlos Pastorino¹, Mayra de Barros Dorna¹, Beni Morgenstern¹

Introdução: A urticária crônica espontânea (UCE) é uma doença complexa com impacto importante na qualidade de vida. Estudos sobre a UCE na população pediátrica são escassos, conseqüentemente sua prevalência e evolução nesses pacientes ainda são incertos. **Método:** Revisão de prontuário de pacientes em seguimento com diagnóstico de UCE nos últimos 12 meses em ambulatório de alergia e imunologia pediátrica de um hospital quaternário. Descreveu-se idade, sexo, início dos sintomas, presença de anafilaxia, autoimunidade e tratamento. **Resultado:** Foram identificados 18 pacientes, 12 F, mediana de idade de 12 anos (3-18). À apresentação inicial, 8 tinham urticas e angioedema, 8 apenas urticas (2 evoluíram com angioedema) e 2 apenas angioedema (um evoluiu com urticas). Dois pacientes referiram dor abdominal como sintoma associado. Em 7 houve descrição do uso de adrenalina, sem confirmação posterior do diagnóstico de anafilaxia, assim como sem recorrência de tais episódios. Em relação a autoimunidade, 3 pacientes tinham diagnóstico de doença autoimune e outros 2 apresentavam apenas FAN positivo. 50% dos casos possuíam diagnóstico de doença alérgica associada. Dois dos 18 apresentavam como desencadeante ocasional a exposição ao calor e atividade física. Ao início do acompanhamento, 14 vinham em uso de anti-histamínico e 1 em uso de omalizumabe. Houve boa resposta ao anti-histamínico em 14/18 (6 sob demanda, 5 com dose habitual, 3 com dose dobrada e 4 com dose quadruplicada), sendo necessário omalizumabe em 3 casos. **Conclusão:** O sexo feminino predominou nos pacientes dessa casuística e com elevada associação com doenças alérgicas. O angioedema isolado deve ser considerado como um sintoma possível na UCE. O manejo permanece desafiador, mas tem como base o uso de anti-histamínicos, o qual demonstrou boa resposta na maioria dos pacientes estudados.

1. Instituto da Criança e do Adolescente - FMUSP - São Paulo, SP, Brasil.

Dupilumabe melhora os sinais e sintomas da urticária e a qualidade de vida em pacientes com urticária crônica espontânea (UCE)

Roberta F. Criado¹, Marcus Maurer²,
Thomas B. Casale³, Sarbjit S. Saini⁴, Moshe Ben-Shoshan⁵,
Allen Radin⁶, Deborah Bauer⁷, Ryan B. Thomas⁶

Introdução: A urticária crônica espontânea (UCE) é uma doença inflamatória crônica caracterizada por urticais e/ou angioedema recorrente por > 6 semanas que afeta a qualidade de vida (QV) devido à coceira e rupturas no bem-estar emocional, as atividades diárias e o desempenho no trabalho/escola. Muitos pacientes continuam a sofrer com o ônus da doença apesar do tratamento com anti-histamínicos H1. **Métodos:** LIBERTY-CSU CUPID estudo A (NCT04180488) é um estudo randomizado, controlado por placebo, fase 3 do tratamento com dupilumabe por 24 semanas em adultos, adolescentes e crianças (≥ 6 anos) com UCE que permanecem sintomáticos apesar do uso do tratamento com anti-histamínicos H1. Os pacientes que receberam anti-histamínicos H1 (até 4 vezes a dose aprovada) foram randomizados para receber dupilumabe 300 mg (adultos/adolescentes ≥ 60 kg) ou 200 mg (adolescentes < 60 kg, crianças ≥ 30 kg) (n = 70) de forma adicional ou placebo correspondente (n = 68) por via subcutânea a cada duas semanas. Desfechos de eficácia incluíram o Escore de atividade da urticária em 7 dias (UAS7; intervalo de 0-42). Os resultados de QV relacionados à saúde incluíram o Questionário de Qualidade de Vida na Urticária (CU-Q2oL; intervalo de 0-100). **Resultados:** As pontuações médias de UAS7 e CU-Q2oL no basal foram 31,9/30,8 (dupilumabe [n = 70]/placebo [n = 68]) e 41,0/46,7, respectivamente. O UAS7 melhorou significativamente em pacientes tratados com dupilumabe. Na semana 24, a alteração média dos mínimos quadrados (LS da sigla em inglês) a partir do basal foi de -20,5/-12,0 para dupilumabe/placebo, respectivamente (diferença -8,5, P = 0,0003). Resultados semelhantes foram observados nas pontuações de CU-Q2oL na semana 24. A alteração média dos mínimos quadrados do basal foi de -29,6/-21,0 para dupilumabe/placebo (diferença -8,6; nominal P = 0,0049). **Conclusões:** Pacientes com UCE tratados com dupilumabe apresentaram redução na atividade da UCE, medida pela UAS7, e melhora na QV, medida pelo CU-Q2oL.

1. Centro universitário FMABC - Santo André, SP, Brasil.
2. Instituto de Alergologia, Charité – Universitätsmedizin -
Berlim, Alemanha.
3. Instituto Fraunhofer de Medicina e Farmacologia
Translacional ITMP, Alemanha.

4. Centro de Asma e Alergia Johns Hopkins - EUA.
5. Departamento de Pediatria - EUA.
6. Regeneron Pharmaceuticals Inc. - EUA.
7. Sanofi - EUA.

Custos diretos e indiretos do angioedema hereditário no Brasil

Solange Oliveira Rodrigues Valle¹, Faradiba Sarquis Serpa², Marina Teixeira Henriques³,
Lucca Nogueira Paes Jannuzzi³, Gabriel Abila Gonçalves³, Bianca de Souza Leite Sender⁴,
Daniel Prado dos Santos², Henrique Sarquis Serpa⁵, Sabrina Macely Souza dos Santos⁶,
Dhallya Andressa da Silva Cruz⁶, Luciana Costa Pinto da Silva⁷, Victor Evangelista de Farias Ferraz⁸,
Angelina Xavier Acosta⁹, Maria Denise Carvalho¹⁰, Isabella Cristina Amaral Dantas⁷,
Vania Mesquita Gadelha⁷, Camila Azevedo¹¹, Temis Felix¹², Anete Sevciovic Grumach³

Introdução: A saúde, considerada uma riqueza inestimável, possui custos tangíveis que repercutem diretamente no sistema de saúde e na vida das pessoas. O objetivo deste estudo foi avaliar os custos diretos e indiretos do angioedema hereditário com deficiência do inibidor C1 (AEH C1-INH) em centros especializados no Brasil. **Métodos:** Estudo retrospectivo e prospectivo da Rede Nacional de Doenças Raras, visando mensurar a Jornada de Valor de Cuidado (JVC) de pacientes com AEH-C1-INH no Brasil. Participaram 116 pacientes de 7 centros especializados. Dois questionários (1 retrospectivo e 1 prospectivo) foram aplicados para os pacientes/cuidadores, contendo questões epidemiológicas, diagnósticas, manejo, econômicas e prognósticas. **Resultados:** Os medicamentos utilizados na profilaxia de longo prazo e seus respectivos custos médios mensais foram: Oxandrolona (21,5% e US\$ 19,94); Danazol (12,6% e US\$ 24,05), e Ácido Tranexâmico (12,6% e US\$ 8,61). O Icatibanto foi o mais utilizado para crise (12,6%), sendo obtido na maioria das vezes por ação judicial, custando US\$ 1.416,26/dose, com média de 3 injeções a cada 4 meses por paciente. O custo total da JVC do paciente (consultas médicas, exames e medicamentos) foi de US\$ 23.391,31/ano. O tempo gasto em um ano de acompanhamento de um paciente, levando em conta consultas médicas e exames, foi de 372,5 minutos. Este tempo pode refletir em absentismo no trabalho e escola. A avaliação da perda de produtividade, utilizando-se o questionário WPAI-GH, foi respondida por 7 cuidadores e 87 pacientes. Destes, 46 pacientes e 4 cuidadores responderam que eram empregados. A porcentagem de presenteísmo foi de 32,4% e o absentismo de 17,2%. **Conclusão:** O custo direto e indireto dos pacientes com AEH-C1-INH com o tratamento da doença é excessivamente alto considerando o nível socioeconômico da população brasileira. Mais investimentos em estudos farmacoeconômicos são necessários para elaborarmos estratégias que minimizem esses custos.

1. Universidade Federal do Rio de Janeiro - Rio de Janeiro, RJ, Brasil.
2. Escola Superior de Ciências da Santa Casa de Misericórdia de Vitória - Vitória, ES, Brasil)
3. Faculdade de Medicina do ABC - Santo André, SP, Brasil.
4. Instituto Federal de Educação Ciência e Tecnologia do Rio de Janeiro - Rio de Janeiro, RJ, Brasil.
5. Faculdade Multivix - Vitória, ES, Brasil.
6. Universidade Federal do Amazonas - Manaus, AM, Brasil.
7. Policlínica Codajás - Manaus, AM, Brasil.
8. Hosp. das Clínicas de Ribeirão Preto - Ribeirão Preto, SP, Brasil.
9. Hospital Universitário Prof. Edgar Santos - Salvador, BA, Brasil.
10. Hosp. Universitário Walter Cantídeo - Fortaleza, CE, Brasil.
11. MAPE Solutions - São Paulo, SP, Brasil.
12. Hosp. de Clínicas de Porto Alegre - Porto Alegre, RS, Brasil.