



Semana Mundial IDP
Testar. Diagnosticar. Tratar.

Editorial

Semana Mundial das Imunodeficiências Primárias (WPIW) 22-29 Abril 2016

Autores

Francisco J. Espinosa-Rosales¹, Antonio Condino-Neto², José L. Franco³, Ricardo U. Sorensen⁴

Immunology and Allergy Unit, National Institute of Pediatrics, Mexico City, Mexico.

Department of Immunology, Institute of Biomedical Sciences, University of São Paulo, São Paulo, SP, Brazil

Group of Primary Immunodeficiencies, School of Medicine, University of Antioquia, Medellín, Colombia.

Department of Pediatrics Louisiana State University Health Science Center New Orleans, LA and Honorary Professor, Faculty of Medicine, University of La Frontera, Temuco, Chile

Garantir que os pacientes com imunodeficiências primárias têm acesso aos melhores cuidados em todo o mundo: o que resta fazer

As imunodeficiências primárias (IDP) são um grupo de cerca de 300 distúrbios diferentes, resultantes das diferentes formas de deficiência hereditária do sistema imunitário. Anteriormente classificadas como “doenças raras”, as IDP já não são tão raras como se julgava anteriormente: hoje em dia, estima-se que as IDP afectam mais de seis milhões de pessoas em todo o mundo, sem limites de género, idade ou geográficos.

Como as IDP tendem a apresentar-se sob a forma de infecções “comuns”, a falta de conhecimento significa que entre 70% a 90% dos portadores de IDP permanecem por diagnosticar, recebendo dos seus médicos o tratamento adequado a essas mesmas infecções “comuns”. Reagindo à necessidade urgente desenvolver a sensibilização para esta patologia, as organizações interessadas, tais como a Sociedade Africana de Imunodeficiências (ASID), a Sociedade Europeia de Imunodeficiências (ESID), a Sociedade Latino-Americana de Imunodeficiências (LASID), a Sociedade Clínica de Imunologia (CIS); as fundações dedicadas às IDP, como a Fundação da Deficiência Imunitária (IDF) e a Fundação Jeffrey Modell (JMF), e as organizações de pacientes, como a Organização Internacional de

Doentes com Imunodeficiências Primárias (IPOPI), têm, ao longo das duas últimas décadas, implementado e suportado campanhas de sensibilização e actividades por todo o mundo, junto dos médicos e do público em geral, para aperfeiçoar o diagnóstico precoce, o tratamento adequado e a gestão das IDP, na perspectiva de reduzir a morbilidade e mortalidade relacionada com as IDP.

Desde 2011, que foi estabelecida uma campanha de sensibilização mundial – a Semana Mundial – sob o apelo à acção: “**Testar. Diagnosticar. Tratar.**”, e é celebrada a cada mês de Abril, com o apoio de uma rede global constituída pelas partes interessadas (www.worldpiweek.org), de forma a reunir todos os grupos activos da área em torno de uma plataforma global comum e reforçando o impacto das respectivas actividades a nível local.

Em resultado destas actividades e como o desenvolvimento de vários tratamentos ao longo dos últimos 60 anos, o número de IDP diagnosticadas e pacientes tratados tem aumentado a cada ano.

Contudo, apesar desta evolução positiva, é profundamente preocupante que o acesso aos tratamentos varie drasticamente entre continentes e até mesmo significativamente entre países de uma mesma região. Por exemplo, o acesso a um transplante precoce de células estaminais e terapia genética é a regra para tipos graves de imunodeficiência primária na maioria dos países da América do Norte e da Europa; porém, é disponibilizado apenas num número muito reduzido de centros na América Latina e em África. Será isto aceitável? Da mesma forma, enquanto que os sistemas nacionais de saúde cobrem o tratamento com imunoglobulina G (IgG) intravenosa ou subcutânea nos países europeus, estes tratamentos nem sempre são reembolsados nas regiões mais pobres do mundo, apesar da ampla evidência de que o diagnóstico precoce e o tratamento adequado salvam vidas, melhoram a qualidade de vida e reduzem custos, e evitam a morbilidade desnecessária aos pacientes.

Tendo em conta estas discrepâncias, os grupos unidos sob a “bandeira” da Semana Mundial erguem novamente as suas vozes este ano para apelar aos administradores, às autoridades, financiadores e profissionais de saúde para pôr em prática os mecanismos relevantes para assegurar que todos os doentes com IDP possam receber um tratamento seguro, eficaz e adequado e os melhores cuidados em todo o mundo, tanto para benefício da sua própria saúde como para benefício do sistema de saúde a longo prazo.

Os doentes com IDP necessitam de acesso imediato a antibióticos antimicrobianos, antifúngicos e profilácticos e o contínuo acesso às terapias de reposição de imunoglobulina. Alguns doentes também necessitam de um transplante hematopoiético de células estaminais (HSCT) ou mesmo de terapia genética (GT) e

de medicação de emergência de acordo com as suas necessidades e segundo o parecer dos seus médicos.

Como tratamento catalogado na lista da OMS de Medicamentos Essenciais para crianças e adultos (4,5) e um tratamento salva-vidas eficaz para a maioria dos doentes com IDP, a IgG deve ser disponibilizada a todos os doentes do mundo. Mais especificamente, uma vez que não existe um único produto ou método de administração da IgG adequado a todos os doentes, todos os países e centros de IDP devem ter um vasto espectro de produtos de IgG, de modo a proporcionar os melhores cuidados aos doentes. Os mecanismos de financiamento devem ser postos em prática para garantir a disponibilidade e a dosagem ideal de IgG para melhorar a qualidade de vida dos doentes, evitar maiores danos aos órgãos e baixar os custos do tratamento.

Além disso, todos os doentes que necessitem, devem receber o transplante de células estaminais ou terapia genética, independentemente do local onde vivem. O HSCT precoce tem demonstrado curar várias das formas mais graves de IDP. Infelizmente, devido à falta de infra-estruturas e/ou pessoal qualificado, aceder a estes procedimentos é muito difícil em situações de menores recursos e o tempo de espera é frequentemente tão longo que muitos doentes passam por uma morbidade grave decorrente de infecções recorrentes. A falta de um dador compatível é também um problema comum. Os registos de dadores de medula óssea devem, portanto, ser promovidos em todos os países, de modo a aumentar as probabilidades de executar um transplante com a melhor correspondência e resultado possíveis.

Existem várias formas de IDP graves em que a terapia genética tem demonstrado ser eficaz e segura, vindo a tornar-se um procedimento padrão, especialmente nos casos em que não está disponível um dador idêntico. Infelizmente, é realizada apenas nos poucos centros especializados de países com maior rendimento. Os legisladores, conjuntamente com as autoridades de saúde, devem, então, investir nesta tecnologia para garantir a disponibilidade da mesma quando um transplante de células estaminais não for viável.

Para além das políticas nacionais, devem ser implementados mecanismos de colaboração internacional nos centros de referência e nos países que não possuam requisitos técnicos ou financeiros para fornecer as terapias de reposição de IgG, TCTH, terapia genética ou outros tratamentos que salvaguardam vidas.

Acresce que as autoridades de saúde de todos os países devem promover o acesso a um diagnóstico precoce e um atendimento de especialidade com qualidade, a fim de assegurar o tratamento adequado a todos os doentes. Os programas de sensibilização têm resultado num maior número de doentes diagnosticados a cada

ano, a infra-estrutura existente está a ficar sobrecarregada e muitos doentes têm de percorrer longas distâncias para receber a atenção médica adequada. Devem ser criados novos centros especializados regionais que permitam o acesso equitativo geográfico a médicos e enfermeiros especializados nestas patologias, tal como devem ser treinados mais médicos especializados para diagnosticar e prestar assistência médica adequada ao crescente número de doentes. Da mesma forma, devem ser estabelecidos meios coordenados aquando da transição de pacientes pediátricos que atinjam a maioridade para os serviços de adultos, de modo a garantir um planeamento de cuidados adequado.

Devido à sua função de disponibilização de informação útil, que ajude os médicos a tomar decisões e permita às empresas farmacêuticas assegurarem o fornecimento de produtos médicos relevantes atendam à suas necessidades, os registos dos doentes devem ser instaurados para facilitar a avaliação da prevalência e incidência das IDP. devem ser também configurados os registos internacionais dos doentes, de modo a informar os centros dos países em desenvolvimento onde não existam redes nacionais.

Por último, mas não menos importante, devem ser promovidas as redes profissionais a utilizar nos centros especializados na revisão por pares, no registo de doentes, para estabelecer directrizes e elevar os padrões de cuidados, e devem ser organizadas redes on-line para discutir casos clínicos difíceis e apoiar médicos que vivem longe de centros especializados (6).

Com o diagnóstico precoce, os cuidados apropriados e o tratamento adequado, a IDP é controlável e os doentes podem ser poupados à deficiência ao longo da vida, vacinas desnecessárias e estadias hospitalares prolongadas. Assim, é vital que sejam tomadas medidas significativas a nível local, regional e internacional, por forma a garantir que os mecanismos acima mencionados são colocados em prática e permitam aos doentes ter acesso aos cuidados a que têm direito.

Caixa de Texto:

Numerosos estudos têm tentado estabelecer a predominância das IDP em vários países têm gerado resultados inconsistentes: a frequência de 0,38 / 100.000 habitantes foi estimada no México em 2007; 1,94 / 100.000 no Reino Unido em 2011; de 3,3 / 100.000 na Argentina em 2007; 5,38 / 100.000 em França em 2011, e 5,6 / 100.000 na Austrália em 2007. Baseando-se em dados de registos, estas estimativas parecem muito menores do que algumas baseadas em pesquisas populacionais específicas realizadas nos Estados Unidos, incluindo uma pesquisa telefónica realizada por Boyle & Buckley, relatando uma prevalência de 86,3 / 100.000 (1-3).

Referências:

1. Bousfiha AA, Jeddane L, Ailal F, Benhsaien I, Mahlaoui N, Casanova JL, Abel L. Primary immunodeficiency diseases worldwide: more common than generally thought. *J Clin Immunol*. 2013 Jan; 33(1):1-7.
2. Errante PR, Franco JL, Espinosa-Rosales FJ, Sorensen R, Condino-Neto A. Advances in primary immunodeficiency diseases in Latin America: epidemiology, research, and perspectives. *Ann N Y Acad Sci*. 2012;1250:62-72.
3. Boyle JM, Buckley RH. Population prevalence of diagnosed primary immunodeficiency diseases in the United States. *J Clin Immunol*. 2007;27(5): 497-502.
4. http://www.who.int/medicines/publications/essentialmedicines/EMLc_2015_FINAL_amended_AUG2015.pdf?ua=1 consulted on November 20, 2015.
5. http://www.who.int/selection_medicines/committees/expert/20/EML_2015_FINAL_amended_AUG2015.pdf?ua=1 consulted on November 20, 2015.
6. Principles of Care for Primary Immunodeficiencies <http://journal.frontiersin.org/article/10.3389/fimmu.2014.00627/full>