

UNIVERSIDADE DE LISBOA

Faculdade de Medicina da Universidade de Lisboa



A Qualidade de Vida dos Doentes com Fibrose Quística

Aluna: Ana Teresa da Costa Pina

Orientador: Dr. Carlos Lopes

Clínica Universitária de Pneumologia

Ano letivo 2015-2016

RESUMO

Introdução: A Fibrose Quística é uma patologia hereditária que compromete o funcionamento de vários órgãos e sistemas, com grandes implicações na qualidade de vida, reportada em instrumentos genéricos e específicos, nomeadamente pela sintomatologia e esquema terapêutico.

Objetivos: Avaliar a qualidade de vida em doentes com Fibrose Quística através de um instrumento genérico e um específico. Relacionar os resultados com a gravidade do FEV₁. Verificar se existe correlação entre os resultados dos dois questionários.

Métodos: Estudo observacional descritivo em doentes seguidos na Unidade de Fibrose Quística de adultos do Hospital de Santa Maria. Foram obtidos dados sociodemográficos e funcionais e os participantes preencheram os questionários de qualidade de vida EQ-5D-3L e CFQ-R 14+. Critérios de exclusão: doentes submetidos a transplante pulmonar, em exacerbação ou com seguimento irregular.

Resultados: Analisados 34 doentes (sexo masculino 52,9%), com média de idade 30,15±9,2 anos e de FEV₁ 62,47±20,8%. A maioria dos doentes (76,5-97,4%) reportou não ter problemas no EQ-5D-3L. A média do índice de valor foi de 0,868±0,201. A média nos domínios do CFQ-R foi de 62,745 a 88,562. De uma forma geral, quanto maior a gravidade da função pulmonar (FEV₁), menor a qualidade de vida reportada. Alguns domínios do CFQ-R (com exceção da imagem corporal, alimentação, peso e tratamento) correlacionaram-se de forma significativa com o índice de valor do EQ-5D-3L, com intensidades variáveis (índice de *Pearson* 0,010-0,692).

Discussão: Em geral e em ambos os instrumentos, os doentes reportaram boa qualidade de vida. Verificou-se uma associação entre o agravamento da função respiratória e o agravamento de alguns domínios da qualidade de vida. Há correlação estatisticamente significativa e forte/moderada entre alguns domínios do CFQ-R e o índice de valor do EQ-5D-3L.

ABSTRACT

Introduction: Cystic fibrosis is an inherited disorder that affects several organs and systems, with major implications in the quality of life reported in generic and specific instruments, particularly influenced by the symptoms and treatment regimen.

Objectives: Assess the quality of life in patients with cystic fibrosis using a generic and a specific instrument. Correlate the quality of life results to the severity of FEV₁. Verify if there is a correlation between the results of the two questionnaires.

Methods: Observational descriptive study in patients followed in the adult Cystic Fibrosis Unit of the Hospital of Santa Maria. Sociodemographic and functional data were obtained and participants filled the EQ-5D-3L and CFQ-R 14+ quality of life questionnaires. Exclusion criteria: patients undergoing lung transplantation, during an exacerbation or with irregular follow-up.

Results: The study included 34 patients (52.9% male), mean age 30.15±9.2 years and FEV₁ 62.47±20.8%. The majority of patients (76.5 to 97.4%) reported having no problems in the EQ-5D-3L. The utility values average was 0.868±0.201. The CFQ-R domains average was 62.745 to 88.562. In general, the higher severity of lung function (FEV₁), the lower quality of life reported. Some CFQ-R domains (with the exception of body image, diet, weight and treatment) correlated significantly with the EQ-5D-3L utility value, with variable strength (Pearson's coefficient 0.010 to 0.692).

Discussion: Generally and in both instruments, patients reported an high quality of life. There was an association between lung function decline and worsening quality of life in some domains. There are statistically significant and strong/moderate correlation between some CFQ-R domains and the EQ-5D-3L utility value.

INTRODUÇÃO

A Fibrose Quística é uma patologia de caráter autossómico recessivo que compromete o funcionamento de vários órgãos e sistemas do organismo, sendo a doença autossómica recessiva potencialmente fatal mais comum na raça branca.¹ Estima-se que 80.000 crianças e adultos apresentam Fibrose Quística em todo o mundo, correspondendo a cerca de 1 em cada 2.500 nascimentos.² A prevalência europeia varia entre 1:8.000 e 1:10.000.³ A sua incidência em Portugal é estimada em 1:8.000 nados vivos, de acordo com resultados preliminares obtidos por um projeto-piloto de rastreio neonatal.⁴ A mediana de idade de sobrevivência estimada aumentou drasticamente nas últimas décadas, sendo atualmente 38 anos na maioria dos países desenvolvidos.⁵ De acordo com o registo de doentes da Sociedade Europeia de Fibrose Quística (ECFSPR), a idade média predita de sobrevivência em 2010 foi 43,5 anos no Reino Unido, contudo, não há dados nacionais. De acordo com o *follow-up* de adultos em centros especializados, a média de idade é 30,7 anos.⁴ É possível que o diagnóstico precoce, a abordagem multidisciplinar em centros especializados e o acesso a uma terapêutica adequada tenham contribuído para esta mudança.⁵

A Fibrose Quística é causada por mutações no braço longo do cromossoma 7, no gene que codifica o regulador da condutibilidade transmembranar da Fibrose Quística (CFTR), expresso predominantemente nas células epiteliais. Mais de 2.000 mutações foram identificadas, a mais comum é a F508del. Mutações neste gene causam alterações no transporte transepitelial do ião cloro.⁴

O órgão mais afetado é o pulmão, com compromisso da *clearance* mucociliar e predisposição a infeções respiratórias.⁴ Nos adultos, a *Pseudomonas aeruginosa*, o *Staphylococcus aureus* e o *Haemophilus influenzae* são os agentes mais comuns.⁶ Mesmo com tratamento agressivo, o declínio da função respiratória é progressivo.⁴ A progressão deve ser monitorizada com a realização de testes respiratórios funcionais, incluindo ao volume expiratório forçado no primeiro segundo (FEV₁).⁶ Calcula-se que cerca de 90% dos pacientes morrem devido à progressão da afetação pulmonar.⁵ Além do comprometimento pulmonar, a Fibrose Quística acarreta alterações significativas em outros órgãos e sistemas que expressam CFTR, incluindo o pâncreas, intestino, trato biliar, vasos deferentes, glândulas sudoríparas e salivares.^{4,6}

Apesar dos avanços tecnológicos recentes no diagnóstico e terapêutica, a Fibrose Quística continua a ser uma doença progressiva e letal.⁴ Há muitas complicações e desafios nos adultos que raramente são vistos no grupo pediátrico.⁶ A maior longevidade implica um regime terapêutico diário complexo e exigente para toda a vida, que inclui cinesioterapia, reposição enzimática, nutrição hipercalórica, exercício e diversa medicação oral, inalada e intravenosa. Além disso, com o aumento da idade, os doentes podem desenvolver outras complicações, como a diabetes relacionada com a Fibrose Quística, aspergilose broncopulmonar alérgica, infecção por micobactérias atípicas e osteoporose.⁷ Todos estes fatores fundamentam a importância da medição da qualidade de vida neste grupo etário.

Um grande número de variáveis clínicas e sociodemográficas demonstrou ter impacto na qualidade de vida, que diminui cerca 1% por ano (em proporção diferente entre os vários domínios).⁷ Apesar do declínio lento, um decréscimo na função respiratória e, portanto do FEV₁, está associado à diminuição da qualidade de vida, que é diferente consoante o domínio. De fato, foram observadas diferenças entre os grupos de gravidade da doença em diversos domínios da qualidade de vida.¹ A idade, função respiratória e transplantação pulmonar são importantes preditores dos resultados em muitos domínios da qualidade de vida. Também o índice de massa corporal, a diabetes e a infecção por *Burkholderia cepacia* são preditores independentes da qualidade de vida. Tipicamente, as mulheres reportam uma qualidade de vida inferior, especialmente nos domínios que se referem à imagem corporal. Apesar disto, os doentes são psicologicamente bem ajustados e, geralmente, reportam uma boa qualidade de vida em muitos domínios de instrumentos genéricos e específicos da doença.⁷

O cálculo da qualidade de vida permite a inclusão da perspectiva do doente na investigação e prática clínica.⁸ A compreensão do doente no que concerne à sua saúde e a forma como ele a reporta é importante, dado que aspetos da qualidade de vida mostraram ser preditores independentes da sobrevivência.⁹

Existem dois tipos de instrumentos para a mensuração da qualidade de vida: os instrumentos específicos e os genéricos. Os instrumentos genéricos podem ser aplicados em diferentes populações e doenças, permitindo a comparação de pessoas doentes com pessoas saudáveis, mas o seu poder discriminativo para detetar pequenas mudanças clínicas e no tratamento de uma doença específica é pequena. Em contraste, os

questionários específicos estão voltados para os sinais e sintomas de uma única doença, como a Fibrose Quística, permitindo avaliar a eficácia de novas medidas terapêuticas, ajudando no planeamento económico e contribuindo para uma melhor adesão ao tratamento. Além disso, permitem avaliar como a doença afeta as funções diárias. Os instrumentos de medição da qualidade de vida são cada vez mais usados para avaliar a eficácia de intervenções terapêuticas e o seu uso na avaliação clínica de rotina mostrou ser possível e útil no reconhecimento da adaptação individual à doença.^{1,10} Contudo, existem poucos estudos que correlacionem estes dois tipos de instrumentos.

No presente estudo, pretende-se caracterizar a qualidade de vida dos doentes com Fibrose Quística seguidos na Unidade de Fibrose Quística de adultos do Hospital de Santa Maria com um instrumento genérico, do *EuroQoL Group* (EQ-5D-3L), e com um instrumento específico, o *Cystic Fibrosis Questionnaire Revised* (CFQ-R). Como objetivos adicionais, pretende-se relacionar os resultados obtidos nos questionários com a gravidade do FEV₁ e verificar se existe correlação entre os dois questionários.

MÉTODOS

Estudo observacional descritivo realizado nos doentes com Fibrose Quística, seguidos na Unidade de Fibrose Quística de adultos do Hospital de Santa Maria. Este centro de referência segue as Normas de Orientação Clínica do diagnóstico, tratamento e seguimento dos doentes com Fibrose Quística.^{11,12} Foram incluídos doentes com idade igual ou superior a 18 anos, seguidos na Unidade supracitada e excluídos os doentes com exacerbação aguda da doença que forçou o internamento, submetidos a transplante de pulmão e com seguimento irregular. A seleção da amostra foi aleatória. Não foi efetuado qualquer cálculo formal do tamanho amostral.

A colheita de dados decorreu no período compreendido entre setembro de 2015 e janeiro de 2016, no dia da consulta de rotina. Os dados sociodemográficos (idade, sexo, origem étnica, situação familiar, nível de escolaridade e situação perante o trabalho) foram colhidos mediante o autopreenchimento do questionário CFQ-R. Os dados funcionais (FEV₁) foram retirados do processo clínico do doente. As variáveis relativas à qualidade de vida foram obtidas a partir dos questionários de autopreenchimento EQ-5D-3L e CFQ-R 14+, versões validadas para português. Os participantes preencheram ambos os questionários, com ajuda presencial do investigador ou de um colaborador. A participação no estudo foi voluntária e anónima;

todos os participantes foram devidamente informados e deram consentimento informado, livre e esclarecido sob a forma oral.

O EQ-5D-3L é um instrumento genérico de medição da qualidade de vida que permite gerar um índice representando o valor do estado de saúde de um indivíduo. Desenvolvido pelo grupo *EuroQoL*, é composto por um sistema classificativo que descreve a saúde em cinco dimensões: mobilidade, cuidados pessoais, atividades habituais, dor/mal-estar e ansiedade/depressão. Cada uma destas dimensões tem três níveis de gravidade associados, correspondendo a sem problemas (nível 1), alguns problemas (nível 2) e problemas extremos (nível 3) vividos ou sentidos pelo indivíduo. Para além do preenchimento deste sistema descritivo é pedido ao respondente que registre a avaliação que faz do seu estado de saúde em geral numa escala visual analógica de 0 (pior estado de saúde imaginável) a 100 (melhor estado de saúde imaginável) denominada frequentemente por termómetro EQ-VAS. As respostas ao sistema descritivo podem ser agregadas através de um algoritmo sensível aos valores da sociedade, isto é, aos valores que os indivíduos associam a cada um dos estados de saúde, produzindo um índice de valor. Este valor situa-se numa escala de 1 (saúde perfeita) a 0 (morte), admitindo ainda valores negativos, correspondentes a estados de saúde considerados como piores do que morte.^{13,14,15}

O CFQ-R é um instrumento de medida da qualidade de vida específico da Fibrose Quística. Inicialmente desenvolvido na França, apresenta versões adaptadas para crianças com 6-11 anos, crianças com 12-13 anos, pais de crianças com 6-13 anos e adolescentes e adultos com idade igual ou superior a 14 anos. Foi desenvolvido de forma a abranger domínios gerais, bem como domínios específicos da Fibrose Quística. O CFQ-R 14+ é composto por 50 perguntas, distribuídas por 12 domínios: atividade física, atividades habituais, vitalidade, emoções, papel social, imagem corporal, alimentação, peso, tratamento, perceção da saúde, sintomas respiratórios e sintomas digestivos. Todas as perguntas apresentam respostas categóricas, com valores que variam de 1 a 4. As opções de resposta geralmente incluem classificações de frequência e dificuldade em que o 1 corresponde a sempre/muita dificuldade e o 4 corresponde a nunca/nenhuma dificuldade ou respostas de verdadeiro/falso em que o 1 é muito verdadeiro e o 4 é muito falso. É possível atribuir um valor padronizado a cada domínio numa escala de 0 a 100, na qual os valores mais elevados correspondem a melhor qualidade de vida.^{16,17}

As variáveis categóricas foram expressas em número absoluto e percentagem, as variáveis quantitativas em média e desvio padrão, sendo efetuada a análise descritiva de todas. Para cada participante, foram calculados o índice de valor do EQ-5D-3L e o valor padronizado dos domínios do CFQ-R, expressos em média e desvio padrão da amostra. Posteriormente foram apresentadas as médias para cada subgrupo de gravidade do FEV₁. A gravidade do FEV₁ foi considerada ligeira quando maior ou igual a 70%, moderada entre 40 e 69% e grave quando menor que 40%. A correlação entre os domínios do CFQ-R e o índice de valor do EQ-5D-3L foi pesquisada com a mensuração do índice de correlação de *Pearson*. Considerou-se correlação forte quando o índice de *Pearson* foi superior a 0,5, moderada entre 0,3 e 0,5 e fraca quando inferior a 0,3. O nível máximo de significância foi fixado em 5%. A análise estatística foi efetuada com o programa IBM SPSS *Statistics* (versão 23.0).

RESULTADOS

Dos 50 doentes seguidos na Unidade de Fibrose Quística de adultos do Hospital de Santa Maria, 34 foram incluídos no estudo. Cinco doentes foram excluídos por terem sido submetidos a transplante de pulmão, os restantes por terem uma exacerbação aguda da doença que forçou o internamento ou por terem um seguimento irregular.

As características sociodemográficas e funcionais da amostra estão representadas na **tabela 1**. A média de idades dos participantes foi de 30,15 anos, sendo a idade mínima 19 anos e a idade máxima 55 anos, 18 participantes eram do sexo masculino (52,9%) e 16 do sexo feminino (47,1%). A média do FEV₁ dos 32 participantes foi de 62,47% [23-94], 11 doentes apresentavam gravidade ligeira (32,4%), 15 moderada (44,1%) e 6 grave (17,6%).

Tabela 1: Características sociodemográficas e funcionais da amostra (n=34 em todas as variáveis, com exceção das variáveis relativas ao FEV₁, nas quais n=32).

Idade (anos), média (desvio padrão)	30,15 (9,248)
Sexo masculino, n (%)	18 (52,9)
Origem étnica, n (%)	
Branco europeu	31 (91,2)
Africano	2 (5,9)
Brasileiro	1 (2,9)

Situação familiar, n (%)	
Solteiro	18 (52,9)
Casado	6 (17,6)
Divorciado	2 (5,9)
Vive com companheiro	8 (23,5)
Nível de escolaridade, n (%)	
9.º ano ou menos	5 (14,7)
12.º ano	16 (47)
Curso técnico-profissional	6 (17,6)
Licenciatura	4 (11,8)
Mestrado ou doutoramento	3 (8,8)
Ocupação, n (%)	
Escola fora de casa	6 (17,6)
À procura de trabalho	6 (17,6)
Trabalha	18 (52,9)
Doméstico	2 (5,9)
Não estuda nem trabalha por saúde	1 (2,9)
Não estuda nem trabalha por outro	1 (2,9)
FEV₁ (%), média (desvio padrão)	62,47 (20,851)
Ligeiro, n (%)	11 (32,4)
Moderado, n (%)	15 (44,1)
Grave, n (%)	6 (17,6)

A **tabela 2** representa a distribuição das respostas às 5 dimensões do EQ-5D-3L e da EQ-VAS da amostra. Para cada dimensão, a maioria dos doentes reportou não ter quaisquer problemas, cuja percentagem variou entre 76,5% na dimensão da ansiedade/depressão e 97,4% nos cuidados pessoais. As dimensões com mais problemas foram a ansiedade/depressão (23,5%), com um doente a reportar problemas extremos e a dor/mal-estar (20,6%). Pelo contrário, as dimensões com menos problemas foram os cuidados pessoais (2,9%) e atividades habituais (8,8%). A média obtida na EQ-VAS foi 77,21% [50-100]. A moda foi 80% (35,3%) e o segundo mais frequente 70% (20,6%). A média do índice de valor foi de 0,86832 [0,288-1,000], a moda foi 1,000 em 22 doentes (64,7%), não houve valores negativos. O valor previsto para a população portuguesa é $0,758 \pm 0,006$.

Tabela 2: Distribuição das respostas das dimensões do EQ-5D-3L, da EQ-VAS e índice de valor da amostra.

Mobilidade, n (%)	
Sem problemas	30 (88,2)
Problemas moderados	4 (11,8)
Problemas extremos	0
Cuidados pessoais, n (%)	
Sem problemas	33 (97,1)
Problemas moderados	1 (2,9)
Problemas extremos	0
Atividades habituais, n (%)	
Sem problemas	31 (91,2)
Problemas moderados	3 (8,8)
Problemas extremos	0
Dor/Mal-estar, n (%)	
Sem problemas	27 (79,4)
Problemas moderados	7 (20,6)
Problemas extremos	0
Ansiedade/Depressão, n (%)	
Sem problemas	26 (76,5)
Problemas moderados	7 (20,6)
Problemas extremos	1 (2,9)
EQ-VAS, média	77,21
(%, desvio padrão)	(10,479)
Índice de valor, média	0,86832
(desvio padrão)	(0,201105)

Na **tabela 3**, estão expostas as médias dos valores calculados para cada um dos 12 domínios do CFQ-R da amostra. Estas variaram de 62,745 [22,22-100,00] a 88,562 [55,556-100,00] que correspondem ao tratamento e sintomas digestivos, respetivamente. Os domínios com pontuações mais baixas foram o tratamento e atividade física (62,745 e 65,073 respetivamente). Pelo contrário, os domínios com melhores pontuações foram os sintomas digestivos e alimentação (88,562 e 87,908 respetivamente).

Tabela 3: Valores obtidos nos domínios do CFQ-R da amostra.

Domínios	Média (desvio padrão)	Mínimo	Máximo
Atividade física	65,073 (25,251)	8,333	100,000
Atividades habituais	84,804 (16,215)	33,333	100,000
Vitalidade	68,382 (19,546)	33,333	100,000
Emoções	75,294 (20,336)	26,667	100,000
Social	69,935 (18,150)	27,778	100,000
Imagem corporal	82,353 (22,073)	22,222	100,000
Alimentação	87,908 (17,163)	33,333	100,000
Peso	67,647 (35,282)	0,000	100,000
Tratamento	62,745 (17,702)	22,222	100,000
Perceção da saúde	66,667 (19,342)	33,333	100,000
Sintomas respiratórios	72,059 (16,383)	27,778	94,444
Sintomas digestivos	88,562 (13,809)	55,556	100,000

Na **tabela 4**, apresentam-se as médias e desvios padrão do índice de valor, EQ-VAS e domínios do CFQ-R por subgrupo de gravidade do FEV₁ (ligeiro quando $\geq 70\%$, moderado entre 40 e 69% e grave se $< 40\%$). Verificou-se uma diminuição da qualidade de vida à medida que aumenta a gravidade do FEV₁, mais evidente nos domínios do CFQ-R atividade física, imagem corporal, alimentação, peso e sintomas respiratórios. Porém, não se verificou nos domínios do CFQ-R atividades habituais, emoções, tratamento e sintomas digestivos, nos quais foi reportada melhor qualidade de vida nos subgrupos do FEV₁ moderado e grave. Também o índice de valor do EQ-5D-3L foi mais elevado nos doentes com FEV₁ grave do que no ligeiro.

Tabela 4: Valores obtidos no índice de valor do EQ-5D-3L, EQ-VAS e domínios do CFQ-R por subgrupo de gravidade do FEV₁. Os valores estão apresentados sob a forma de média (desvio padrão).

	FEV₁ Ligeiro ($\geq 70\%$)	FEV₁ Moderado (40-69%)	FEV₁ Grave ($< 40\%$)
Índice de valor EQ-5D	0,873 (0,179)	0,853 (0,242)	0,922 (0,120)
EQ-VAS	80 (13)	76 (11)	77 (6)
Atividade física	73,106 (22,620)	63,333 (27,150)	55,556 (20,356)
Atividades habituais	79,545 (24,257)	87,778 (10,383)	87,500 (11,487)

Vitalidade	68,939 (23,001)	70,556 (21,791)	62,500 (6,972)
Emoções	70,303 (23,544)	78,222 (21,001)	73,333 (15,202)
Social	67,677 (24,447)	74,444 (15,544)	64,815 (10,344)
Imagem corporal	86,869 (22,121)	83,704 (20,517)	66,667 (25,337)
Alimentação	93,939 (11,508)	85,926 (21,193)	79,630 (14,768)
Peso	78,788 (30,814)	66,667 (37,796)	50,000 (34,960)
Tratamento	59,596 (17,408)	64,444 (18,402)	66,667 (19,876)
Percepção da saúde	67,677 (23,546)	70,370 (18,144)	51,852 (9,072)
Sintomas respiratórios	76,263 (14,292)	72,222 (19,359)	67,593 (9,569)
Sintomas digestivos	85,859 (16,548)	89,630 (12,921)	92,593 (9,072)

As correlações existentes entre os domínios do CFQ-R e o índice de valor do EQ-5D-3L estão apresentados na **tabela 5**. Todos os 12 domínios do CFQ-R se correlacionaram com o índice de valor do EQ-5D-3L, com correlação estatisticamente significativa ($p < 0,01$) nos domínios atividade física, atividades habituais, vitalidade, emoções, social, percepção da saúde, sintomas respiratórios e sintomas digestivos. A correlação foi forte (índice de *Pearson* $> 0,5$) nos domínios atividade física, atividades habituais, vitalidade, emoções, sintomas respiratórios e digestivos; moderada (índice de *Pearson* $0,3-0,5$) nos domínios social e percepção da saúde; e fraca (índice de *Pearson* $< 0,3$) nos domínios imagem corporal, alimentação, tratamento e peso, sendo negativa neste último. A correlação mais forte ocorreu para o domínio vitalidade (índice de *Pearson* $0,692$) e a mais fraca para o domínio imagem corporal (índice de *Pearson* $0,010$).

Tabela 5: Correlação entre os domínios do CFQ-R e o índice de valor do EQ-5D-3L.

* A correlação foi significativa no nível $0,01$.

Domínios CFQ-R	Índice de <i>Pearson</i>
Atividade física	0,592*
Atividades habituais	0,593*
Vitalidade	0,692*
Emoções	0,564*
Social	0,448*
Imagem corporal	0,010
Alimentação	0,294

Peso	-0,260
Tratamento	0,122
Perceção da saúde	0,473*
Sintomas respiratórios	0,672*
Sintomas digestivos	0,468*

DISCUSSÃO

A amostra deste estudo, composta por 34 doentes, com uma média de idade de 30,15±9,248 anos, 52,9% do sexo masculino e 47,1% do sexo feminino, assemelha-se aos dados demográficos da população adulta com Fibrose Quística, cuja média de idades foi 31,23±9 anos e a distribuição por sexos foi 46% para o sexo masculino e 54% para o sexo feminino.⁴ A maioria dos doentes apresentou doença pulmonar ligeira/moderada (76,5%), sendo a média do FEV₁ de 62,47%. Ainda assim, houve uma percentagem significativa de casos com doença grave (17,6%).

Em geral e em ambos os instrumentos (genérico e específico), os doentes reportaram uma boa qualidade de vida. Relativamente aos resultados do EQ-5D-3L, a maioria dos doentes reportou não ter quaisquer problemas e isto verificou-se em todas as 5 dimensões (mobilidade, cuidados pessoais, atividades habituais, dor/mal-estar e ansiedade/depressão), em percentagens que variaram entre 76,5% (dimensão ansiedade/depressão) e 97,4% (dimensão cuidados pessoais). Como esperado, houve um forte efeito de teto, isto é, uma grande percentagem de indivíduos reportou valores elevados de estado de saúde. De facto, apenas um doente (2,9%) se posicionou no nível 3 (problemas extremos), na dimensão ansiedade/depressão. Esta dimensão foi, portanto, a que apresentou mais problemas (23,5%), seguida da dor/mal-estar (20,6%). Também na EQ-VAS foram obtidos valores de qualidade de vida esperados. A média do índice de valor da amostra foi superior à prevista para a população portuguesa (0,868 *versus* 0,758±0,006), provavelmente porque os doentes com Fibrose Quística são doentes crónicos que já interiorizaram os seus sintomas, limitações funcionais e terapêutica, daí que talvez valorizem os questionários de qualidade de vida numa dimensão diferente de uma população saudável.

No CFQ-R, em todos os domínios foram obtidas médias superiores a 60%. O tratamento foi a dimensão com maior impacto na qualidade de vida dos doentes da amostra, seguida das limitações na atividade física. O forte impacto do tratamento na

qualidade de vida pode sugerir um excesso de tratamento. O tratamento tem de evoluir no sentido da simplificação, só desta forma é possível otimizar a adesão à terapêutica nesta população. Por sua vez, as dimensões sintomas digestivos e alimentação foram as que menos causaram problemas.

No CFQ-R verificou-se uma associação entre o agravamento da função respiratória (mensurada com base no FEV₁) e o agravamento da qualidade de vida em alguns domínios, tendo sido mais evidente nos domínios atividade física, imagem corporal, alimentação, peso e sintomas respiratórios. Porém, não se verificou em outros domínios, como as atividades habituais, emoções, tratamento e sintomas digestivos, e no índice de valor do EQ-5D-3L, nos quais foi reportada melhor qualidade de vida nos subgrupos com doença pulmonar mais grave. A obtenção deste resultado no domínio tratamento pode, em parte, ser explicada pelo facto do tratamento diário complexo ser transversal a todos os doentes, independentemente da gravidade da doença pulmonar. A obtenção de melhor qualidade de vida no domínio sintomas digestivos em doentes com FEV₁ mais grave, pode ser explicado pela fraca correlação entre o fenótipo pulmonar e digestivo. Estes resultados diferem um pouco dos obtidos em outros estudos.

Bradley et al. demonstrou haver correlação entre os domínios do CFQ-R e o índice de valor do EQ-5D-3L num estudo multicêntrico numa população de doentes com Fibrose Quística com idade superior a 16 anos e infeção crónica por *Pseudomonas aeruginosa* (n=94), tendo obtido correlações estatisticamente significativas e fortes/moderadas em todos os domínios do CFQ-R, com exceção do peso e imagem corporal.¹⁸ De forma semelhante, neste estudo houve correlação estatisticamente significativa e forte nos domínios atividade física, atividades habituais, vitalidade, emoções, sintomas respiratórios e digestivos e moderada nos domínios social e perceção da saúde. Em quase todos os domínios a correlação foi superior no estudo de *Bradley et al.* (índice de *Pearson* 0,203-0,672)¹⁸, o que pode em parte ser explicado pelo tamanho superior da amostra.

Como limitações do estudo temos o facto de se tratar de um estudo unicêntrico, com uma amostra de pequenas dimensões. Contudo, de acordo com as variáveis demográficas, a amostra parece ser representativa da população adulta portuguesa com Fibrose Quística. Adicionalmente, não foi efetuado um cálculo formal do tamanho amostral. Por último, os índices de valor variaram de 0,288 e 1,000, não contemplando

todos os valores possíveis (-0,536 a 1,000). Estes factos podem limitar a validade externa do estudo e, portanto, a sua generalização.

Ainda assim, este estudo comprovou a existência de uma correlação estatisticamente significativa entre alguns domínios do CFQ-R e o índice de valor do EQ-5D-3L na população adulta com Fibrose Quística. Os índices de valor do EQ-5D-3L podem ser utilizados com segurança para calcular *quality-adjusted life years* (QALYs) e análises de custo-eficácia. Os índices de valor do EQ-5D-3L correlacionam-se com alterações no CFQ-R e, portanto, há credibilidade em utilizá-lo na avaliação económica de intervenções da Fibrose Quística.¹⁸ Os resultados obtidos pelo EQ-5D-3L poderão ser utilizados no planeamento e alocação dos recursos no sector da saúde, tanto ao nível nacional, como regional.¹⁵

FINANCIAMENTO

Sem financiamento.

BIBLIOGRAFIA

1. Abbott J, Hurley MA, Morton AM, Conway SP. Longitudinal association between lung function and health-related quality of life in cystic fibrosis. *Thorax*. 2013; 68:149-54.
2. Acaster S, Pinder B, Mukuria C, Copans A. Mapping the EQ-5D index from the cystic fibrosis questionnaire-revised using multiple modelling approaches. *Health Qual Life Outcomes*. 2015 Mar 12; 13:33.
3. Angelis A, Kanavos P, López-Bastida J, Linertová R, Nicod E, Serrano-Aguilar P; BURQOL-RD Research Network. Social and economic costs and health-related quality of life in non-institutionalised patients with cystic fibrosis in the United Kingdom. *BMC Health Serv Res*. 2015 Sep 28; 15:428.
4. Silva A, Amorim A, Azevedo P, Lopes C, Gamboa F. Cystic fibrosis - characterization of the adult population in Portugal. *Rev Port Pneumol*. 2016 Feb 15.
5. Ribeiro Moço VJ, Lopes AJ, Vigário PS, de Almeida VP, de Menezes SL, Guimarães FS. Pulmonary function, functional capacity and quality of life in adults with cystic fibrosis. *Ver Port Pneumol*. 2015 Jul-Aug; 21(4):198-202.

6. Hodson ME. Treatment of cystic fibrosis in the adult. *Respiration*. 2000 Nov-Dec; 67(6):595-607.
7. Abbott J, Morton AM, Hurley MA, Conway SP. Longitudinal impact of demographic and clinical variables on health-related quality of life in cystic fibrosis. *BMJ Open*. 2015 May 19; 5(5):e007418.
8. Abbott J, Hart A, Havermans T, Matossian A, Goldbeck L, Barreto C, Bergsten-Brucefors A, Besier T, Catastini P, Lupi F, Staab D. Measuring health-related quality of life in clinical trials in cystic fibrosis. *J Cyst Fibros*. 2011 Jun; 10 Suppl 2:S82-5.
9. Abbott J, Hart A, Morton AM, Dey P, Conway SP, Webb AK. Can health-related quality of life predict survival in adults with cystic fibrosis. *Am J Respir Crit Care Med*. 2009 Jan 1; 179(1):54-8.
10. Goldbeck L, Zerrer S, Schmitz TG. Monitoring quality of life in outpatients with cystic fibrosis: feasibility and longitudinal results. *J Cyst Fibros* 2007; 6:171–8.
11. Direção-Geral da Saúde. Norma nº 031/2012, de 28/12/2012 (versão validada pela Comissão Científica para as Boas Práticas Clínicas a 30/07/2015) “Diagnóstico da Fibrose Quística em Idade Pediátrica e no Adulto”.
12. Direção-Geral da Saúde. Norma nº 032/2012, de 28/12/2012 (versão validada pela Comissão Científica para as Boas Práticas Clínicas a 09/06/2015) “Tratamento e Seguimento da Fibrose Quística em Idade Pediátrica e no Adulto”.
13. EuroQol Group. EuroQol – a new facility for the measurement of health-related quality of life. *Health Policy*. 1990 Dec; 16(3):199-208.
14. Brooks R. EuroQol: the current state of play. *Health Policy*. 1996 Jul; 37(1):53-72.
15. Ferreira PL, Ferreira LN, Pereira LN. Contribution for the validation of the portuguese version of EQ-5D. *Acta Med Port*. 2013 Nov-Dec; 26(6):664-75.
16. Quittner AL1, Buu A, Messer MA, Modi AC, Watrous M. Development and validation of the cystic fibrosis questionnaire in the United States: a health-related quality-of-life measure for cystic fibrosis. *Chest*. 2005 Oct; 128(4):2347-54.

17. Quittner AL, Buu A, Watrous M, Davis MA. The cystic fibrosis questionnaire (CFQ): user's manual. Washington, DC: Cystic Fibrosis Foundation; 2000.
18. Bradley JM, Blume SW, Balp MM, Honeybourne D, Elborn JS. Quality of life and healthcare utilisation in cystic fibrosis: a multicentre study. *Eur Respir J*. 2013 Mar; 41(3):571-7.
19. Von Elm E, Altman DG, Egger M, Pocock SJ, Gøtzsche PC, Vandenbroucke JP; STROBE Initiative. The strengthening the reporting of observational studies in epidemiology (STROBE) statement: guidelines for reporting observational studies. *J clin epidemiol*. 2008 Apr; 61(4):344-9.



Questionário de saúde

Versão Portuguesa para Portugal

(Portuguese version for Portugal)

Assinale com uma cruz (assim ☒) um quadrado de cada um dos seguintes grupos, indicando qual das afirmações melhor descreve o seu estado de saúde hoje.

Mobilidade

- Não tenho problemas em andar
- Tenho alguns problemas em andar
- Tenho de estar na cama

Cuidados Pessoais

- Não tenho problemas com os meus cuidados pessoais
- Tenho alguns problemas em lavar-me ou vestir-me
- Sou incapaz de me lavar ou vestir sozinho/a

Actividades Habituais (*ex. trabalho, estudos, actividades domésticas, actividades em família ou de lazer*)

- Não tenho problemas em desempenhar as minhas actividades habituais
- Tenho alguns problemas em desempenhar as minhas actividades habituais
- Sou incapaz de desempenhar as minhas actividades habituais

Dor / Mal-estar

- Não tenho dores ou mal-estar
- Tenho dores ou mal-estar moderados
- Tenho dores ou mal-estar extremos

Ansiedade / Depressão

- Não estou ansioso/a ou deprimido/a
- Estou moderadamente ansioso/a ou deprimido/a
- Estou extremamente ansioso/a ou deprimido/a

Para ajudar as pessoas a definir o seu bom ou mau estado de saúde, desenhámos uma escala (semelhante a um termómetro) na qual o melhor estado de saúde que possa imaginar é marcado por 100 e o pior estado de saúde que possa imaginar é marcado por 0.

Gostaríamos que indicasse nesta escala quão bom ou mau é, na sua opinião, o seu estado de saúde hoje. Por favor, desenhe uma linha a partir do quadrado que se encontra abaixo, até ao ponto da escala que melhor indica o seu estado de saúde hoje.

O seu estado de saúde hoje

O melhor estado de saúde imaginável

100

90

80

70

60

50

40

30

20

10

0

O pior estado de saúde imaginável

Ao compreender o impacto da sua doença e tratamentos no seu dia-a-dia poderá ajudar a sua equipa de profissionais de saúde a acompanharem o seu estado de saúde e ajustar os tratamentos. Por este motivo, este questionário foi especificamente concebido para pessoas que têm fibrose quística. Agradecemos a sua disponibilidade para preencher este questionário.

Instruções: As perguntas que se seguem relacionam-se com o seu estado de saúde actual, da forma como o sente. Estas informações irão permitir-nos compreender melhor como se sente na sua vida diária.

Por favor, responda a todas as perguntas. **Não** há respostas certas ou erradas! Se não tiver a certeza da resposta, escolha a resposta que mais se aproxime da sua situação.

Secção I. Dados demográficos

Por favor, preencha a informação ou assinale a caixa que corresponde à sua resposta.

A. Qual a sua data de nascimento?

Mês		Dia		Ano					

B. Qual o seu sexo?

Masculino Feminino

C. Nas **últimas duas semanas**, não foi à escola ou trabalho, porque esteve de férias ou por outras razões que **NÃO** têm a ver com a sua saúde?

Sim Não

D. Qual o seu estado marital actual?

- Solteiro/a ou nunca casado/a
 Casado/a
 Viúvo/a
 Divorciado/a
 Separado/a
 Voltou a casar
 Vive com um companheiro/a

E. Qual das opções seguintes melhor descreve a sua origem étnica?

- Branco
 Africano
 Brasileiro
 Asiático
 Outro (descreve por favor) _____
 Prefiro não responder a esta pergunta

F. Qual o grau de escolaridade mais alto que completou?

- Até ao 9.º ano ou menos
 12.º ano
 Curso técnico-profissional
 Alguns anos de um curso universitário
 Licenciatura
 Mestrado ou doutoramento

G. Qual das seguintes opções melhor descreve o seu estado actual de trabalho ou escolar?

- Frequenta a escola fora de casa
 Tem cursos educativos em casa
 Está à procura de trabalho
 Trabalha a tempo inteiro ou em “part-time” (fora de casa ou num negócio organizado em casa)
 Doméstico/a a tempo inteiro
 Não frequenta a escola nem trabalha por motivos de saúde
 Não trabalha por outras razões

Secção II. Qualidade de Vida

Por favor, preencha a informação ou assinale a caixa que corresponde à sua resposta.

Durante as últimas duas semanas, até que ponto teve dificuldade em:

Muita dificuldade	Alguma dificuldade	Um pouco de dificuldade	Nenhuma dificuldade
----------------------	-----------------------	-------------------------------	------------------------

- | | | | | |
|---|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|
| 1. Realizar actividades enérgicas como correr ou praticar desporto..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 2. Caminhar tão depressa como as outras pessoas..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 3. Transportar ou levantar objectos pesados como livros, produtos de mercearia ou mochilas escolares..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 4. Subir um lanço de escadas..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 5. Subir escadas tão depressa quanto as outras pessoas..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

Durante as últimas duas semanas, indique com que frequência:

Sempre	Muitas vezes	Algumas vezes	Nunca
--------	-----------------	------------------	-------

- | | | | | |
|--------------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|
| 6. Se sentiu bem..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 7. Se sentiu preocupado/a..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 8. Se sentiu inútil..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 9. Se sentiu cansado/a..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 10. Se sentiu com energia..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 11. Se sentiu exausto/a..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 12. Se sentiu triste..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

Por favor, faça um círculo à volta do número correspondente à sua resposta. Escolha apenas uma resposta para cada pergunta.

Considerando o seu estado de saúde nas últimas duas semanas:

13. Em que grau sentiu dificuldades em andar?
1. Conseguiu caminhar durante muito tempo sem se cansar
 2. Conseguiu andar muito tempo, mas cansou-se
 3. Não conseguiu andar muito tempo, porque rapidamente ficou cansado
 4. Evitou andar sempre que possível porque ficava extremamente cansado
14. Como se sente sobre a alimentação?
1. Fico maldisposto só de pensar em comida
 2. Nunca gosto de comer
 3. Algumas vezes consigo gostar de comer
 4. Consigo sempre gostar de comer
15. Até que ponto é que os seus tratamentos dificultam ainda mais a sua vida diária?
1. Não causam qualquer dificuldade
 2. Dificultam um pouco
 3. Dificultam moderadamente
 4. Dificultam muito



Questionário (adultos- doentes com idade superior ou igual a 14 anos)
QUESTIONÁRIO DE FIBROSE QUÍSTICA – REVISTO

16. Actualmente, quanto tempo passa por dia a fazer os tratamentos?
1. Muito
 2. Algum
 3. Pouco
 4. Não muito
17. Até que ponto é difícil para si fazer os tratamentos (incluindo a medicação) todos os dias?
1. Nada
 2. Um pouco
 3. Moderadamente
 4. Muito
18. Como é que pensa que a sua saúde está agora?
1. Excelente
 2. Boa
 3. Razoável
 4. Má

Assinale a caixa que corresponda à sua resposta.

*Considerando a sua saúde nas últimas **duas semanas**, indique até que ponto cada uma das frases que se seguem é verdadeira ou falsa para o seu caso.*

	Verdadeiro	Parcialmente verdadeiro	Parcialmente falso	Falso
19. Tenho dificuldade em recuperar após um esforço físico	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
20. Tenho de limitar actividades enérgicas como correr ou praticar desporto.....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
21. Tenho de me obrigar a comer	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
22. Tenho que ficar em casa mais do que quero	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
23. Sinto-me à vontade a falar da minha doença com outras pessoas.....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
24. Penso que estou demasiado magro/a.....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
25. Penso que tenho um aspecto diferente das outras pessoas da minha idade	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
26. Sinto-me mal com o meu aspecto físico	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
27. As pessoas têm receio de que a minha doença possa ser contagiosa.....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
28. Estou muitas vezes com amigos.....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
29. Penso que a minha tosse pode incomodar as outras pessoas	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
30. Sinto-me confortável em sair à noite	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
31. Sinto-me muitas vezes sozinho/a	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
32. Sinto-me com saúde.....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
33. É difícil fazer planos para o futuro (por exemplo, ir para a faculdade, casar-me, progredir num emprego, etc.).....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
34. Levo uma vida normal	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Secção III. Escola, trabalho ou actividades diárias

As perguntas n.º 35 a 38 são perguntas acerca da escola, trabalho e tarefas do dia-a-dia.

35. Em que medida teve dificuldades em fazer os trabalhos escolares, executar seu trabalho ou realizar outras actividades do dia-a-dia nas últimas duas semanas?
1. Não tive qualquer dificuldade
 2. Consegui, mas tem sido difícil
 3. Estou atrasado/a
 4. Não consegui realizar nenhuma destas actividades
36. Com que frequência faltou à escola, ao trabalho ou não conseguiu executar actividades do dia-a-dia nas últimas duas semanas devido à sua doença ou aos tratamentos?
- Sempre Muitas vezes Algumas vezes Nunca
37. Com que frequência a FQ interfere com a escola, o trabalho ou os seus objectivos pessoais?
- Sempre Muitas vezes Algumas vezes Nunca
38. Com que frequência a FQ interfere com a sua capacidade para sair de casa para dar pequenos passeios, como ir às compras ou ao banco?
- Sempre Muitas vezes Algumas vezes Nunca

Secção IV. Dificuldades dos Sintomas

Assinale a caixa que corresponda à sua resposta.

Indique como se tem sentido nas últimas duas semanas.

- | | Muito/a | Algumas vezes | Um pouco | Nada |
|--|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|
| 39. Teve dificuldade em ganhar peso? | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 40. Tem sentido opressão no peito?..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 41. Tossiu durante o dia?..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 42. Teve tosse com expectoração | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
- Ir para a pergunta n.º 44**
43. A sua expectoração foi na sua maior parte: Clara Clara a amarelo Amarelo-esverdeada Verde/castanho com vestígios de sangue Não sei

Indique como se tem sentido nas últimas duas semanas.

- | | Sempre | Muitas vezes | Algumas vezes | Nunca |
|--|--------------------------|--------------------------|--------------------------|--------------------------|
| 44. Teve pieira | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 45. Teve dificuldade em respirar?..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 46. Acordou durante a noite por causa da tosse?..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 47. Teve problemas com gases intestinais? | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 48. Teve diarreia? | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 49. Teve dores abdominais? | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |
| 50. Teve dificuldade em comer?..... | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> | <input type="checkbox"/> |

Por favor, certifique-se de que respondeu a todas as perguntas.

Obrigado pela sua colaboração!