

O trabalho vencedor do **Prémio de Investigação Científica Professora Doutora Maria Odette Santos-Ferreira**, atribuído pela Ordem dos Farmacêuticos e com o Alto Patrocínio de Sua Excelência, o Presidente da República, intitula-se:

"Farmacoepidemiologia da Paramiloidose em Portugal"

Este trabalho tem como autora farmacêutica principal a Professora Doutora Filipa Duarte-Ramos da Faculdade de Farmácia da Universidade de Lisboa e decorre do projecto conducente à tese de doutoramento da Mestre Mónica Inês, do Instituto de Medicina Molecular (iMM) da Faculdade de Medicina da Universidade de Lisboa, sob a orientação científica do Professor Doutor João Costa e com a co-orientação do Professor Doutor Mamede de Carvalho. São também autores a Mestre Marta Soares da Universidade de York (Reino Unido), a Dra. Teresa Coelho e a Dra. Isabel Conceição, responsáveis clínicas dos centros de referência nacionais da Paramiloidose em Portugal.

A Paramiloidose, vulgarmente conhecida como doença dos pezinhos, foi pela primeira vez descrita por Corino de Andrade na população portuguesa na área da Póvoa do Varzim. Trata-se de uma doença hereditária rara que, em Portugal, afecta maioritariamente pessoas em idade jovem e activa, de ambos os sexos, com um importante impacto sócio-económico. Se não for tratada, a progressão é rápida e a morte ocorre geralmente na primeira década após a manifestação dos sintomas.

Este trabalho permitiu, pela primeira vez, a caracterização epidemiológica da doença a nível nacional, no que respeita ao número anual de novos doentes, total de doentes, descrição geográfica e demográfica, bem como a caracterização dos medicamentos usados em ambulatório para a gestão sintomática da doença.

Identificaram-se 2 013 doentes, o que corresponde a cerca de 1 doente por cada 4000 habitantes. A doença não está limitada ao norte do país, aparecendo em mais de metade dos concelhos de Portugal Continental (58%) e já também muito distribuída pelos concelhos do Centro e Sul do país. Em 25 concelhos (15%), a Paramiloidose já não é uma doença rara e em menos de 30 anos a prevalência na

área da Póvoa de Varzim/Vila do Conde mais do que duplicou (aumento de 125%). Em média, estima-se a identificação de cerca de 70 novos doentes e cerca de 65 novos casos de portadores assintomáticos, apresentando uma tendência decrescente.

Os medicamentos utilizados para tratamento dos sintomas da Paramiloidose abarcam todos os grupos terapêuticos, mas principalmente os do sistema nervoso (71% dos doentes), aparelho digestivo e metabolismo (68%), anti-infecciosos gerais para uso sistémico (48%) e aparelho cardiovascular (48%). Como esperado, os doentes que foram submetidos a transplante hepático apresentam uma utilização mais intensiva de medicamentos em ambulatório.

Face à escassez de estudos epidemiológicos sobre esta doença rara, consideramos que, quer a nível nacional quer a nível mundial, este trabalho representa um incentivo para estudos futuros. As estimativas da prevalência por sexo e idade obtidas nesse estudo, bem como do padrão de utilização de medicamentos nestes doentes constituem também um contributo relevante para outros países, em que o pequeno número de doentes constitui uma forte limitação à realização de estudos representativos nesta área.

Os resultados obtidos proporcionam ainda evidência que permite informar os processos de discussão e planeamento, numa perspectiva de saúde pública, de uma doença que tem em Portugal o maior grupo de doentes a nível mundial. Constituem uma importante base de suporte à decisão sobre a alocação de recursos em saúde e permitem antecipar desafios futuros para famílias e doentes, clínicos, investigadores, decisores políticos e para a sociedade em geral.