

Rocha-Garcia, M¹; Oliveira, MR¹; Ribeiro, M²; Maia, H³; Acosta, A⁴; Schwartz, I¹; Rocha, NS¹
em nome do Grupo Brasileiro de Estudos em Qualidade de Vida em MPS

*Roberto Giugliani, Dafne Dain Gandelman Horovitz, Erlane Ribeiro, Raquel Tavares Boy da Silva, Isabel Cristina Neves de Souza, Paula Frassinetti Vasconcelos de Medeiros, Maria Juliana Rodovalho Doriqi, José Semionato Filho, Charles Marques Lourenço, Durval Batista Palhares, Marcial Francis Galera, Liane de Rosso Giuliani, Denize Bonfim Souza, Mara Lucia Schmitz Ferreira Santos, Gisele Rozone de Luca, Taiane A. Vieira, Louise L. Camargo, Carolina F. Moura de Souza, Cristina B. O. Netto, Fabiane Lopes de Oliveira, Nicole Ruas, Antonio Cardoso dos Santos, Diane Ruschel Marinho, Fabio Coelho Guarany, Giovana S. Turra.

(1) Hospital de Clínicas de Porto Alegre e Universidade Federal do Rio Grande do Sul, (2) Universidade Federal Fluminense, (3) Universidade Federal do Rio de Janeiro, (4) Universidade Federal da Bahia

Introdução

Mucopolissacaridoses (MPS) são raras doenças lisossomais, com incidência estimada de 1,9 a 4,5 por cem mil nascidos vivos (no Brasil, estima-se uma população de 510 pacientes, segundo a Associação Paulista de MPS). São distúrbios crônicos, graves e multissistêmicos, com alta morbimortalidade na infância. Casos leves podem ter cognição e sobrevivência normais. O envolvimento somático acaba por diminuir a QV, mas há poucos estudos envolvendo QV nessas doenças. Não há instrumentos específicos apropriados para avaliar a QV desses pacientes.

Objetivos

- Construir instrumentos específicos de avaliação da QV para pacientes brasileiros com MPS (MPS-QOL) e avaliar suas propriedades psicométricas.
- Apresentar os resultados finais da fase piloto do estudo.

Métodos

- O projeto é multicêntrico e compreende cinco fases: reunião de especialistas, grupos focais (GF), pré-piloto, piloto e validação.
- Foram elaboradas três versões do MPS-QOL: para crianças (MPS-QOL-CR, 8 a 12 anos), para adolescentes (MPS-QOL-AD, 13 a 17 anos) e para adultos (MPS-QOL-ADU, 18 anos ou mais).
- Fase de Grupos Focais (finalizado em 2009):
 - Contou com N=41 e cinco grupos (tabela 1).
 - Após os GF, instrumentos obtidos foram analisados e complementados por especialistas, gerando as versões CR, AD e ADU, com 50, 49 e 60 itens, respectivamente (figura 1).
- Fase Pré-Piloto (finalizado em setembro/2010):
 - Consistiu na aplicação conjunta dos instrumentos específicos (MPS-QOL-CR, AD e ADU) e de instrumentos genéricos – aquiescência, CHQ (8-12 anos) e WHOQOL-BREF-ID (≥ 13 anos) com anotação de dúvidas para posterior ajuste dos questionários (tabela 2).
 - Em pacientes com déficit cognitivo significativo, os instrumentos de QV foram aplicados por procuração. Caso contrário, eram auto-aplicados.
- Fase Piloto (finalizado em setembro/2011):
 - A amostra contou com 53 pacientes das três faixas etárias, de diversas regiões do Brasil (tabela 3).
 - Seguiu metodologia semelhante a da fase pré-piloto.
 - Propriedade psicométrica foram avaliadas por análise de frequência (efeitos *ceiling* e *floor* e percentual de “missing value”), confiabilidade (coeficiente alfa de Cronbach) e validade de construto (convergente com WHOQOL e CHQ).
- Fase Validação (início previsto para 2011/2):
 - Serão aplicados instrumentos genéricos (PedsQL e WHOQOL-BREF-ID) e específicos (MPS-QOL-CR, MPS-QOL-AD e MPS-QOL-ADU).
 - As variáveis qualitativas serão descritas na forma de frequência simples e as quantitativas na forma de média, limites e desvio padrão.
 - Serão testadas as principais propriedades psicométricas do instrumento (confiabilidade, validade de construto, validade concorrente, validade discriminante).

Tabela 1: Descrição dos Grupos Focais

	Grupo Focal de Profissionais de Saúde	Grupo Focal de Cuidadores de Pacientes com MPS	Grupo Focal de Adultos com MPS	Grupo Focal de Adolescentes com MPS	Grupo Focal de Crianças com MPS
Número de participantes	14	10	6	3	8
Origem	RS- 10 RJ- 4	RS- 6 RJ- 4	RS- 3 RJ- 3	RS- 2 RJ- 1	RS- 6 RJ- 2
Tipo de MPS		MPSI=1 MPSII=5 MPSIII=2 MPSIVA=1 MPSVI=1	MPSI=2 MPSII=3 MPSVI=1	MPSIV=2 MPSVI=1	MPSII=2 MPSIVA=2 MPSVI=4
Média de Idade	41	42,2	24	16	11
Amplitude	(24-58)	(21-62)	(18-33)	(15-17)	(9-13)
Gênero (%)					
Masculino	02 (14,3)	03 (30)	03 (50)	02 (66,6)	06 (75)
Feminino	12 (85,7)	07 (70)	03 (50)	01 (33,3)	02 (25)
Emprego (%)					
Sim	12 (100)	07 (70)	02 (33,3)	03 (100)	08 (100)
Duração em horas	03h e 20 min	02h e 40 min	02h e 15 min	01h e 10 min	01h e 15 min

Resultados

- Os itens que demonstraram efeitos *ceiling* e *floor* > 60% e “missing value” > 2 respostas foram excluídos do instrumento final, sendo 21 no MPS-QOL-CR, 24 no MPS-QOL-AD e 21 no MPS-QOL-ADU.
- MPS-QOL-AD e MPS-QOL-CH apresentaram solução de 5 fatores (89,8% da variância).
- Instrumentos finais:
 - Os resultados da análise de confiabilidade estão descritos na tabela 4.
 - Validade de construto:
 - MPS-QOL-CR: apresentou correlação de -0,430, P=0,022 e -0,400, P= 0,026 entre o domínio social do MPS-QOL-CR e os domínios saúde e família do CHQ respectivamente.
 - MPS-QOL-AD: apresentou uma forte correlação entre seus domínios (físico, social, psicológico e geral) e os domínios (físico, social, psicológico e geral) do WHOQOL.
 - MPS-QOL-ADU: apresentou uma boa correlação entre seus domínios (social, psicológico e geral) e os domínios (social, psicológico e geral) do WHOQOL.

Conclusões

- Nas três versões houve questões excluídas pelos efeitos *floor*, *ceiling* e por “missing value”.
- Os instrumentos a serem validados demonstraram boas propriedades psicométricas.
- Os dados necessitam ser confirmados em amostras maiores.
- Há dificuldade em recrutar pacientes para compor a amostra, dada a baixa prevalência da doença.

Tabela 2: Amostra do Pré-Piloto

Nº de pacientes	8
Média de idade	16 anos
Amplitude	8 - 21 anos
Tipo de MPS	MPSI=2 MPSII=4 MPSIVA=1 MPSVI=1
Local de aplicação	Salvador- 6 Porto Alegre- 2

	Não	Às Vezes	Sim
42. Você é bem atendido quando sente-se mal?	1	2	3
43. Você tem acesso aos meios de transporte de que necessita?	1	2	3

Figura 1: Exemplo de questões do MPS-QOL-AD

Tabela 3: Amostra da fase piloto

VARIÁVEIS	CRIANÇAS	ADOLESCENTES	ADULTOS
Nº de pacientes	22	16	15
Origem	Região Sul= 12 Região Centro-oeste=1 Região Nordeste=9	Região Sul=10 Região Centro-oeste=2 Região Sudeste=1 Região Nordeste=3	Região Sul=8 Região Sudeste=3 Região Nordeste=4
Média de idade	9,6 anos	14,4 anos	26,5 anos
Tipo de MPS	MPSI=3 MPSII=8 MPSIII-B=2 MPSVI=9	MPSI=2 MPSII=5 MPSIII-A=1 MPSIVA=4 MPSVI=4	MPSI=3 MPSII=6 MPSIVA=5 MPSVI=1
Em Tratamento – TRE	16	9	10
Instrumento aplicado por Proxy	12	6	3
Sexo	Feminino=6 Masculino=16	Feminino=5 Masculino=11	Feminino=7 Masculino=8

Tabela 4: Análise de Confiabilidade

Grupo	Cronbach's Alpha	Cronbach's Alpha Based on Standardized Items	N of Items
MPSQOLCR	,877	,872	29
MPSQOLAD	,743	,749	24
MPSQOLADU	,864	,875	38