



## Câmara dos Deputados

REQUERIMENTO DE AUDIÊNCIA PÚBLICA Nº \_\_\_\_\_, DE 2015  
(Da Senhora Mariana Carvalho)

Requer a realização de Audiência Pública na Comissão de Seguridade Social e Família para debater doenças raras, dificuldades no acesso ao tratamento e a judicialização sob a ótica do paciente.

Senhor Presidente,

Requeiro a V. Ex.<sup>a</sup>, com fundamento no art. 255 do Regimento Interno, que, ouvido o Plenário, se digne a adotar as providências necessárias à realização de Reunião de Audiência Pública para debater doenças raras, dificuldades no acesso ao tratamento e a judicialização sob a ótica do paciente.

Para tanto, convidamos para o debate os Senhores:

- Juiz **JOAO BAPTISTA GALHARDO JUNIOR**, Assessor da Presidência Tribunal de Justiça do Estado de São Paulo, representando o Conselho Nacional de Justiça e o Poder Judiciário;
- Dr. **Carlos VITAL TAVARES CORRÊA LIMA** – Presidente do Conselho Federal de Medicina;
- Senhor **ANTOINE DAHER** – CASA HUNTER – Representante dos Pacientes portadores de doenças raras;
- Dra. **ANA MARIA MARTINS MARTINS** – do Centro de Referência em Erros Inatos do Metabolismo - IGEIM da Unifesp;
- Senhora **MARIA JOSÉ DELGADO FAGUNDES** – Diretora da Interfarma – Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisas; e

- Dr. **DENIZAR VIANNA ARAÚJO** - Médico e Professor - Departamento de Clínica Médica da Universidade do Estado do Rio de Janeiro.

## JUSTIFICAÇÃO

Cerca de 13 milhões de pessoas no Brasil são portadoras de doenças raras. O número é superior à população da cidade de São Paulo. Entre os dias 22 e 24 de abril, representantes de vários países e macro regiões debateram, no Word Orphan Drugs Congress 2015, realizado na cidade de Washington DC nos Estados Unidos os avanços e desafios que enfrentam desde o desenvolvimento de um medicamento até o acesso do paciente ao tratamento.

Na ocasião participei como mediadora de uma rodada de debates sobre medicamentos órfãos e doenças raras, juntamente com outros representantes brasileiros, quando percebemos que os desafios são maiores do que imaginávamos.

Mesmo com a “Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde”, publicada pela Portaria 199/2014, do Ministério da Saúde, há muito o que fazer. Para avançar nesta questão alguns projetos de lei relacionados às doenças raras ou medicamentos órfãos que estão atualmente em tramitação no Congresso Nacional terão que ter celeridade nas discussões. Hoje 26 proposições fazem parte dos debates.

No mundo estima-se aproximadamente de 7 mil tipos de doenças raras, e se individualmente atinge um número pequeno de pessoas, entretanto o conjunto afeta uma parcela considerável da população mundial – entre 6% a 8%, ou 420 milhões a 560 milhões de pessoas no. Assim, se aplicarmos os mesmos percentuais para o Brasil, já temos mais de 13 milhões de pessoas com doenças raras.

As doenças raras, em sua maioria são genéticas, isso é, a pessoa nasce com um erro que é herdado e em muitos casos há alteração nos cromossomos e podem afetar múltiplos órgãos, sistemas ou funções do corpo humano, sendo que 75% das doenças raras se manifestam em crianças entre 0 e 5 anos de vida.

Destaco ainda, que algumas doenças raras são de manifestação tardia, e pode decorrer de infecções bacteriana e virais, alergias ou causas degenerativas.

O desenvolvimento de pesquisas pela indústria farmacêutica é caro e arriscado. Para viabilizar a produção de medicamentos para o tratamento destas doenças tem que ser levado em consideração, em um grau complexo e

personalizado, características microambientais específicas com possibilidades de mutações, dificuldade para encontrar no Mundo o número suficiente de pessoas com doenças raras que possam atender os critérios mínimos para o desenho do estudo da pesquisa. Nesse sentido, segundo estudo feito pelo Total Orphan Drugs, a pesquisa clínica para medicamentos órfãos para doenças raras custa 2.400% mais por paciente, quando comparado a uma pesquisa para doenças prevalentes<sup>1</sup>[1].

O ritual regulatório no Brasil para fabricação e distribuição destes medicamentos dificulta o tratamento da maioria dos pacientes com doenças raras. Algumas nunca chegarão a ter tratamentos aprovados se não houver uma visão moderna.

Prestar assistência adequada aos pacientes com doenças raras significa formular uma política capaz de combinar as duas principais facetas da questão: cuidados e tratamento por um lado; oferta de medicamentos órfãos, por outro. Na prática, esse binômio requer a organização de uma rede de serviços que mescle tratamentos e medicamentos de alto teor tecnológico com procedimentos de baixa complexidade e possa suprir as principais necessidades dos pacientes: diagnóstico preciso e precoce – um dos grandes problemas enfrentados por essas pessoas; profissionais qualificados.

Há um déficit de conhecimento médico e científico acerca dessas doenças; infraestrutura condizente com as diferentes necessidades de saúde dos pacientes; acesso a medicamentos e acompanhamento dos tratamentos ministrados.

O fato de o Brasil não possuir uma política oficial específica para doenças raras não significa, porém, que os pacientes não recebam cuidados e tratamentos. Os medicamentos acabam chegando até eles, na maioria por via judicial. De uma maneira ou de outra o SUS atende essas pessoas – porém, de forma fragmentada, sem planejamento, com grande desperdício de recursos públicos e prejuízo para os pacientes.

Além de estabelecer diretrizes para um programa nacional para o tratamento de doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) é necessário incentivar as pesquisas e a fabricação de medicamentos como também facilitar a importação das drogas órfãs para atender a demanda. Foram abordadas também questões relacionadas ao direito do paciente, humanização do tratamento e a importância de um diagnóstico rápido e preciso.

[1]Fonte: Total Orphan Drugs, 2014 - Disponível em: <http://www.orphan-drugs.org/2014/02/06/rare-disease-clinical-trials-facts-figures>.

Representantes da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, (Anvisa), Comissão Nacional de Ética em Pesquisa (CONEP), Conselho Federal de Medicina (CFM), Conselho Nacional de Justiça (CNJ), Câmara dos Deputados, Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma), Indústrias Farmacêuticas e Associações de Pacientes, puderam debater durante painéis e mesas redondas quais ações podem ser tomadas para otimizar o acesso de tratamentos para doenças raras e várias questões inerentes como: o tempo para a aprovação de novas pesquisas e tratamentos, os entraves para a obtenção de medicamentos órfãos pelos sistemas públicos de saúde, a falta de amparo a pesquisa, pesquisadores e especialistas em doenças raras e também foi debatida a desarticulação entre setores para a implementação de uma legislação mais inclusiva e eficiente ao atendimento integral do pacientes com doenças raras.

O Brasil também levantou uma série de debates em torno do acesso aos medicamentos órfãos e doenças raras. Ao mediar um painel observei que há muito o que fazer como parlamentar e como médica.

Paralelamente ao Word Orphan Drugs Congress 2015 foi realizado, pela primeira vez, Word Rare Disease Advocacy, onde associações e organizações de pacientes com doenças raras do mundo todo puderam se encontrar e apresentar painéis sobre seu trabalho e a realidade das doenças raras em diversos países. Com o objetivo de promover uma troca de experiências e informações úteis para reforçar luta pelos direitos de pessoas com doenças raras em cada país.

Quando se trata de doenças raras não existe unanimidade sequer em relação ao seu conceito. Em comum, apenas a definição de que pertencem ao grupo das doenças que afetam uma pequena parcela da população. De modo geral, analisando-se os vários conceitos adotados no mundo, é possível situar as doenças raras na faixa das que possuem prevalência máxima variável de 0,5 a 7 por 10.000 habitantes. Esse dado, que aparentemente pode parecer irrelevante, é fundamental para definir o escopo e amplitude das políticas oficiais desenvolvidas por cada país.

No Brasil, a Política Nacional para Doenças Raras do Brasil - Ministério da Saúde, que seguiu as orientações da Organização Mundial da Saúde, as doenças raras são aquelas que afetam até 65 pessoas em um comunidade de 100 mil indivíduos, ou 1,3 para cada 2 mil indivíduos, isto é atingem um número pequeno da população.

Portanto, a aprovação desse requerimento de audiência pública visa que a Comissão de Seguridade Social e Família tenha a oportunidade de debater com profundidade as questões relacionadas a doenças raras, para que possamos dar um passo para melhor qualidade de vida dos pacientes portadores de dessas doenças raras.

Sala da Comissão,        de julho de 2015.

**MARIANA CARVALHO**

Deputada Federal

PSDB/RO