

# **COMISSÃO DE DEFESA DOS DIREITOS DA PESSOA COM DEFICIÊNCIA**

**REQUERIMENTO Nº                      , DE 2019**

**(Da Sra. GEOVANIA DE SÁ)**

Solicita realização de Audiência Pública para discussão do tema: “Doenças Raras”.

Senhor Presidente:

Requeiro, com fundamento no art. 255 do Regimento Interno, que seja realizada Audiência Pública nesta Comissão para discutir o tema em epígrafe como destacado:

Doenças Raras e Ultrarraras;

Diagnóstico precoce, intervenção terapêutica e medicamentos órfãos bem como o custeio com saúde pública; medidas necessárias para melhora na qualidade de vida daqueles que padecem vítimas de tais doenças.

## JUSTIFICAÇÃO

As doenças raras e ultrarraras acometem cerca de 13 milhões de pessoas no País, sendo assim consideradas aquelas enfermidades com baixa prevalência na população.

De acordo com a Resolução nº 563/2017, considera-se ultrarrara a doença crônica, debilitante ou que ameace a vida, com incidência menor ou igual a 1 (um) caso para cada 50.000 (cinquenta mil) habitantes. Já as doenças raras, por sua vez, são aquelas que afetam até sessenta e cinco pessoas em cada cem mil indivíduos, conforme definido pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras.

Em 2014 um grande passo foi dado através da publicação da Portaria 199 que instituiu a Política de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Porém, não foi suficiente. Ainda hoje se observam gargalos estruturais que impedem uma melhor estruturação da rede de centros especializados, impossibilitam a evolução e priorização do tratamento de doenças raras e ultrarraras, bem como dificultam a superação dos desafios relacionados aos medicamentos órfãos que causam danosos custos às famílias, ao Poder Judiciário e ao próprio País.

Atualmente, o Ministério da Saúde conta apenas com 8 (oito) estabelecimentos habilitados e especializados para atendimento em Doenças Raras, distribuídos em diversas unidades federativas do Brasil (DF, GO, PE, PR, RJ, RS, SP e BA).

Tais Centros de Referência capacitados, equipados e integrados com a rede hospitalar e pesquisadores habilitados proporcionam economia significativa ao sistema público em comparação com atendimentos fragmentados e pontuais. Isso ocorre pois através de um diagnóstico precoce, com uma intervenção terapêutica oportuno-adequada e de qualidade, acompanhada da adesão ao tratamento por parte do doente/família, pode amortizar em muito o custeio em Saúde Pública.

O desafio torna-se ainda maior considerando que 95% dessas doenças não possuem tratamento específico e dependem de uma rede de cuidados

paliativos bem estruturada, que assegure uma melhor qualidade de vida aos pacientes atendidos.

Deve-se considerar que o usuário doente, não “cuidado” adequadamente, sobrecarrega toda a Rede de Assistência da Saúde, em todos os seus níveis de atenção, buscando solução para suas dores. Essa “peregrinação dolorosa” se dá desde Atenção Básica até assistência Hospitalar e seus Serviços de Urgência e Emergências, com internações hospitalares frequentes e ou internações prolongadas nas Unidades de Terapias Intensivas, mesmo antes da manifestação plena da doença de base, antes do diagnóstico específico ou quando sua doença diagnosticada piora ou complica.

Ademais, universalizar o atendimento a pacientes com doenças raras passa não somente por uma política que atue tanto no cuidado quanto no tratamento, mas também na ampliação da oferta de medicamentos órfãos, indispensáveis para a melhora da qualidade de vida e, muitas vezes, regressão/estabilização dos próprios sintomas da doença.

São conhecidos como medicamentos órfãos aqueles destinados ao tratamento específico de determinada doença rara e que, por sua complexidade, demandam pesquisas científicas avançadas. Porém, com um número baixo de pacientes beneficiados em relação à população, tais medicamentos costumam ter um alto custo, não sendo viável a fabricação ou mesmo sua importação.

Como a legislação brasileira determina que o critério de custo-efetividade dos medicamentos seja levado em conta antes da adoção pelo sistema público (SUS) – entre outras medidas de protocolos clínicos – grande parte dos medicamentos órfãos não é oferecida pelo governo.

Nessas condições e considerando diversos fatores como a extensão territorial do País, a dificuldade de atendimento especializado, o atraso no tratamento, o agravamento dos quadros clínicos com maior utilização de serviços hospitalares, os gastos previdenciários, os atrasos no treinamento, habilitação e credenciamento de serviços geram custo financeiro e desgaste emocional, culminando, em grande parte dos casos, na obtenção de medicamentos por via judicial, o que também acarreta um inchaço do Poder Judiciário.

Assim, necessária se faz a adoção de medidas políticas expressivas no combate às regulações atuais, que desconsideram as especificidades dos medicamentos órfãos, afetando o acesso a tratamentos e impactando negativamente a saúde e a qualidade de vida dessas pessoas.

E não é só, também deve o Poder Público realizar um emprego mais significativo de recursos para criação de um maior número de Centros de Referência em doenças raras, nos quais os pacientes tenham acesso a diagnósticos precisos e tratamento específico. Tal medida, conseqüentemente, acarretará na redução dos gastos públicos com saúde e previdência, conforme previamente exposto.

Ante o exposto, requer-se realização de Audiência Pública para discussão especificamente de quatro tipos de doenças raras, quais sejam: amitrofia muscular espinhal (AME), Síndrome de Duchenne, Lipofuscinose e Síndrome de Wieacker. Além disso, para abordagem de políticas públicas que visem uma melhoria na qualidade de vida desses pacientes, facilitação na abertura de novos centros especializados no atendimento de doenças raras, bem como na facilitação de produção e/ou importação de medicamentos órfãos e conseqüente desafogamento das vias judiciais.

Para tanto, requer que sejam convidados os seguintes especialistas no tema para palestrarem na referida Audiência:

- Dra. Ana Cecília Menezes – Coordenadora do Centro de Tratamento de Erros Inatos do Metabolismo e Doenças Raras (CETREIM) do IMIP;

- Dra. Luana G. Dalla Rosa Vieira ([ldallarosavieira@gmail.com](mailto:ldallarosavieira@gmail.com)) – Neurologista especializada no único caso de Síndrome de Wieacker conhecido no Brasil;

- Dr. Lucas Victor Alves ([lucasvictor@hotmail.com](mailto:lucasvictor@hotmail.com)) **(81) 9811-0411** - Especialista em Pediatria pela Sociedade Brasileira de Pediatria; Neurologista Pediátrico pela Escola Paulista de Medicina (EPM) - Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP); Mestre em Neurologia e Neurociências pela EPM – UNIFESP; Doutorando em Saúde Integral pelo Instituto de Medicina Integral Prof. Fernando Figueira (IMIP); Chefe do setor de Neurologia Pediátrica do Centro de Tratamento de Erros Inatos do Metabolismo e Doenças Raras (CETREIM) do IMIP;

- Ministro da Saúde Luiz Henrique Mandetta;

- Primeira-Dama Michele Bolsonaro – defensora das pessoas com deficiência e doenças raras;

- Dra. Rosângela Moro, advogada e esposa do Min. Sérgio Moro, atuante na área de solicitação de medicamentos via judicial para pacientes acometidos de doenças raras.

Sala da Comissão, em                      de                      de 2019

Deputada **GEOVANIA DE SÁ**