

REQUERIMENTO Nº DE 2021
(COMISSÃO DE DEFESA DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM
DEFICIÊNCIA)

Requer o envio de Indicação ao Poder
Executivo, sugerindo ao Ministro da Saúde a
liberação de medicamento para tratamento
do estágio intermediário da doença rara
Amiloidose hereditária (PAF-TTR).

Senhor Presidente:

Nos termos do art. 113, inciso I e § 1º, do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, requiro a V. Ex^a. que seja encaminhada ao Poder Executivo a Indicação anexa, sugerindo ao Ministro da Saúde a liberação de medicamento para tratamento de pacientes com o estágio intermediário da doença Amiloidose hereditária (PAF-TTR). A doença **é caracterizada por ser uma doença genética rara**, multissistêmica, progressiva, **debilitante e fatal**.

Sala das Sessões, em 25 de maio de 2021.

Deputada **REJANE DIAS**
Presidente



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Rejane Dias
Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD215298402500>



INDICAÇÃO Nº _____, DE 2021
(COMISSÃO DE DEFESA DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA)

Sugere ao Ministro da Saúde a liberação de medicamento para tratamento do estágio intermediário da doença rara Amiloidose hereditária (PAF-TTR) e, conseqüentemente, o fornecimento pelo Estado.

Excelentíssimo Senhor Ministro da Saúde:

A Polineuropatia Amiloidótica Familiar - PAF é **caracterizada por ser uma doença genética rara**, multissistêmica, progressiva, debilitante e fatal. Essa condição é causada por uma mutação herdada no gene da Transtirretina - TTR, e se manifesta com um acúmulo de fibrilas amiloides TTR, que levam a um quadro de polineuropatia sensitivo-motora, autonômica e disfunção de múltiplos órgãos. **O tratamento da causa subjacente pode retardar a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida dos pacientes.**

A PAF-TTR está associada a uma expectativa de vida média de apenas 10 (dez) anos desde o início dos sintomas, se não tratada a causa subjacente. **O paciente pode ter morte súbita decorrente de acometimento cardíaco ou pode ser resultado de desnutrição, caquexia resultante de perda de peso e massa muscular ou insuficiência renal.** A PAF-TTR tem um impacto negativo na qualidade de vida dos pacientes e de seus cuidadores, incluindo saúde física e bem-estar emocional. O início das incapacidades decorrentes da progressão da doença geram o comprometimento do status financeiro, tanto do paciente quanto do seu cuidador, devido à sua incapacidade de trabalhar com a evolução da doença. Além disso, a doença gera impacto social por perda de produtividade, absenteísmo no trabalho e aumento dos custos com assistência social. Portanto, a preservação e a melhora da qualidade de vida relacionada à saúde em pacientes com PAF-TTR



pode ser considerada uma das principais metas do tratamento para essa população de pacientes.

A prevalência da PAF-TTR no Brasil ainda é desconhecida, contudo, estima-se que aproximadamente 4.800 pessoas sejam acometidas pela PAF-TTR, com base na prevalência de PAF-TTR em Portugal e no número de descendentes de portugueses no Brasil, **qualificando essa condição como uma doença rara**. A Val30Met é a mutação mais comum associada à PAF-TTR no mundo e também é comumente encontrada no Brasil.

As perspectivas da PAF-TTR mudaram nas últimas décadas com o desenvolvimento de novas terapias. Atualmente, no Brasil, o transplante de fígado ou a farmacoterapia com Tafamidis são as únicas estratégias terapêuticas disponíveis para o tratamento de PAF-TTR. No entanto, o transplante de fígado não é comumente realizado devido à escassez de doadores e às possíveis complicações, principalmente durante estágios não iniciais da doença, em pacientes desnutridos, com envolvimento cardíaco ou portadores de uma mutação não Val30Me.

Considerando o disposto no art. 196, da Constituição Federal que diz que a saúde é direito de todos e dever do Estado, garantindo mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação, e o que determina o art. 196, a Constituição Federal.

Considerando a **Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014**, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doença Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema único de Saúde – SUS e institui incentivos financeiros de custeio.

Considerando que a doença Amiloidose hereditária (PAF-TTR) é uma doença genética de potencialidade fatal que pode levar à morte em 10 (dez) anos, ou até menos, dependendo do tipo e se não houver tratamento correto.



Considerando que uma terapia atualmente indicada para o tratamento da doença seria o transplante de fígado, mas há enormes dificuldades no Brasil como a escassez de possíveis doadores e possíveis complicações da doença.

Considerando que há pouquíssimos medicamentos capazes de retardar a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida dos pacientes.

Considerando que as pessoas com Amiloidose Hereditária no Brasil não tem tratamento compatível com seu estágio de doença ou não respondem ao único medicamento disponível no Sistema de Saúde.

Considerando a dificuldade e falta de disponibilização de medicamentos inovadores no Brasil e, conseqüentemente, a inviabilidade da entrada de tratamentos disruptivos para a Amiloidose Hereditária.

Solicitamos a Vossa Excelência que reconheça a situação de desesperança e desespero dos muitos pacientes portadores de Amiloidose hereditária para que possam ter acesso ao tratamento com uma terapia efetiva, que diminua a progressão da doença e melhore a qualidade de vida.

Diante do exposto requeremos a liberação de medicamentos inovadores para a doença da Amiloidose hereditária e atenção integral aos pacientes por meio do SUS, e a constituição de incentivos financeiros de custeio.

Sala das Sessões, em 25 de maio de 2021.

Deputada **REJANE DIAS**
Presidente

