

COMISSÃO DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA

REQUERIMENTO Nº /2021

(Da Sr^a. **REJANE DIAS**)

Requer a realização de Audiência Pública para debater o tratamento da amiloidose cardíaca no Brasil.

Senhora Presidente,

Nos termos do art. 255 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, requero a Vossa Excelência, ouvido o colegiado desta comissão, a realização de Audiência Pública para debater o tratamento da amiloidose cardíaca no Brasil.

Para esta finalidade sugerimos que sejam convidados:

1. Representante da Sociedade Brasileira de Cardiologia;
2. Monica Vieira Aderaldo - Presidente da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste (Fedrann);
3. Romilson Volotão - Secretário Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED);
4. Hélio Angotti Neto - Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos (SCTIE) do Ministério da Saúde;
5. Liana Claudia Uriarte Ferronato - Presidente da Associação Brasileira de Paramiloidose (ABPAR);
6. Ringlasia Lino Fonseca - Coordenadora de Atenção à Saúde da Pessoa com Deficiência da Secretaria de Estado da Saúde do Piauí;



JUSTIFICAÇÃO

Amiloidose¹ é uma **doença rara** em que proteínas dobradas de forma anormal formam fibrilas de amiloide que se acumulam em vários tecidos e órgãos, às vezes levando à disfunção ou insuficiência do órgão e morte.

Todos os tipos de amiloidose envolvem uma proteína que se dobra de forma anormal (todas as proteínas são cadeias longas de moléculas que se dobras em um determinado formato). As proteínas dobradas de forma anormal se agrupam e se acumulam em vários tecidos. Os acúmulos são chamados depósitos de amiloide ou fibrilas de amiloide. Todas essas proteínas são produzidas no corpo. Elas não vem da alimentação das pessoas. Algumas proteínas amiloides são versões mutantes de proteínas normais, enquanto outras proteínas normais que simplesmente apresentam uma tendência a se dobrar de forma anormal. Algumas das proteínas são produzidas por várias doenças.

A amiloidose é um grupo de doenças complexas causadas pela deposição extracelular de proteínas insolúveis em órgãos e tecidos, podendo levar à disfunção orgânica grave. Apesar das diferentes causas que podem ocasionar a amiloidose sistêmica, as manifestações clínicas das diferentes formas de amiloidose se sobrepõem amplamente e dependem do órgão afetado. Os sinais e sintomas que devem levantar a suspeita para o diagnóstico potencial de amiloidose geralmente são inespecíficos; portanto, estabelecer o diagnóstico é difícil, e o diagnóstico precoce requer suspeita clínica².

1 <https://www.msdmanuals.com/pt-br/casa/dist%C3%BArbios-hormonais-e-metab%C3%B3licos/amiloidose/amiloidose>

2 Vaxman, Iuliana, and Morie Gertz. "When to Suspect a Diagnosis of Amyloidosis." *Acta haematologica* vol. 143,4 (2020): 304-311. doi:10.1159/000506617



A polineuropatia amiloidótica familiar³ (PAF) associada à transtirretina é uma doença progressiva fatal. É uma amiloidose hereditária rara, manifestando-se como neuropatia sensório-motora e disfunção autonômica. Tem início na idade adulta e é uma doença incapacitante, representando um grande fardo psicológico para os pacientes e suas famílias.

Atualmente, o Ministério da Saúde disponibiliza tratamento medicamentoso para pacientes com essa condição. Além dessa terapia, existem outros tratamentos aprovados recentemente pela ANVISA para a PAF, ainda não disponibilizados no Sistema Único de Saúde – SUS.

Conforme mencionado acima, a amiloidose é um grupo de doenças e, além dessa condição da PAF, **existem pacientes em grande proporção que sofrem da amiloidose cardíaca associada à transtirretina**. Essa é outra doença que acomete os pacientes e que há tratamento aprovado pela ANVISA.

Trata-se de uma doença cardíaca provocada pela infiltração de proteínas insolúveis no coração, levando à rigidez e disfunção do órgão e, conseqüentemente, a insuficiência cardíaca progressiva, aumento da hospitalização, redução da qualidade de vida e morte precoce dos pacientes⁴.

Amiloidose é considerada uma doença rara, de acordo com a definição do Ministério da Saúde⁵. A Organização Mundial de Saúde – OMS estima que as doenças raras afetam 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 para cada 2 mil pessoas, sendo que 75% delas ocorrem em crianças e jovens. Atualmente, a entidade internacional estima que existam cerca 8 mil tipos de condições raras e que pelo menos 80% ocorram por

3 Lopes, Alice et al. "Life paths of patients with transthyretin-related familial amyloid polyneuropathy Val30Met: a descriptive study." *Journal of community genetics* vol. 9,1 (2018): 93-99. doi:10.1007/s12687-017-0338

4 Ruberg FL, Berk JL. Transthyretin (TTR) Cardiac Amyloidosis. *Circulation*. 2012;126(10):1286-1300.

5 <https://www.msmanuals.com/pt-br/casa/dist%C3%BArbios-hormonais-e-metab%C3%B3licos/amiloidose/amiloidose>



alterações genéticas, por isso não têm cura, mas existem tratamentos que amenizam os sintomas e melhoram a qualidade de vida dos pacientes.

O importante para esses pacientes é o reconhecimento precoce da amiloidose cardíaca e ter acesso aos tratamentos, prevenindo o depósito de amiloide nos órgãos, um dos fatores fundamentais para a boa evolução da doença. Assim, a importância de um diagnóstico precoce depende de uma estrutura assistencial adequada para a realização dos procedimentos necessários para o correto tratamento⁶.

Uma vez diagnosticado, no atual cenário, o paciente terá apenas a oferta de tratamento sintomático que, conforme apontado na literatura, não contribui para modificar o curso da doença, ou seja, o paciente experimentará a progressão da doença, o aumento da hospitalização e morte precoce.

O presente requerimento de audiência pública sobre amiloidose cardíaca se faz necessária pois, em pacientes com amiloidose, vários fatores estão implicados em sofrimento psicológico e transtornos psiquiátricos e estes, certamente, são múltiplos e complexos. Muitas pessoas com essa mutação vivenciam, desde muito cedo em suas vidas, alterações no funcionamento familiar, doença em parentes próximos e perda dos pais, entre outros, como consequências da doença.³

Como dito, os pacientes de polineuropatia amiloidótica familiar (PAF) estão sendo assistidos pelo SUS. Diante do princípio de igualdade, equidade e justiça deve ser oferecidos também o atendimento aos pacientes que sofrem com amiloidose cardíaca.

É importante do âmbito dessa Comissão a discussão entre os diversos atores que são impactados pela doença em nossa sociedade é fundamental para trazer à tona iniciativas e tratamentos para diminuir ou controlar os sintomas e as complicações da amiloidose cardíaca para melhorar a qualidade de vidas dos pacientes.

6 Ando Y, Coelho T, Berk JL, et al. Guideline of Transthyretin-Related Hereditary Amyloidosis for Clinicians. Orphanet J of Rare Diseases. 2013;(8):31



Conto com o apoio dos nobres pares para a aprovação deste requerimento e a realização deste importante debate para os pacientes de amiloidose cardíaca.

Sala da Comissão, em de novembro de 2021.

Deputada **REJANE DIAS**
PT-PI

