

COMISSÃO DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA

REQUERIMENTO Nº , DE 2022

(Da Sra. REJANE DIAS)

Requer a realização de seminário para tratar da dificuldade de acesso dos pacientes no estágio 2 a tratamentos para amiloidose hereditária no Sistema Único de Saúde – SUS.

Senhor Presidente:

Requeiro a Vossa Excelência, com fundamento no art. 24, XIII do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, a realização de seminário, em data a ser agendada, para tratar da dificuldade de acesso dos pacientes **no estágio 2** a tratamentos para amiloidose hereditária no Sistema Único de Saúde.

Para essa finalidade sugerimos que sejam convidados:

- 1) Representante do Ministério da Saúde
- 2) Representante da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec);
- 3) DRA MARCIA CRUZ (Coordenadora do CEPARM - Centro de Paramiloidose Antônio Rodrigues de Mello)
- 4) LIANA FERRONATO, Presidente da Associação Brasileira de Paramiloidose (ABPAR);
- 5) FABIO ALMEIDA, paciente de amiloidose hereditária;
- 6) Maria Amélia de Oliveira Costa - Coordenadora de Epidemiologia da Secretaria de Estado da Saúde do Piauí;
- 7) **Dra. Mônica Aderaldo – Presidente da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro Oeste - FEDRANN**

JUSTIFICAÇÃO



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Rejane Dias

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD223526709800>



A amiloidose hereditária (PAF-TTR) é uma doença genética rara, multissistêmica, progressiva, debilitante e fatal. A PAF-TTR está associada a uma expectativa de vida média de apenas dez anos desde o início dos sintomas se não tratada à causa subjacente.

O tratamento pode retardar a progressão da doença e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. 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 gera 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 (QVRS) em pacientes com PAF-TTR pode ser considerada uma das principais metas do tratamento para essa população de pacientes.

Até pouco tempo, o transplante de fígado ou o tratamento com o medicamento tafamidis eram 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 pacientes com a mutação não Val30Met. Já o medicamento tafamidis meglumina é oferecido aos pacientes do SUS apenas para o estágio 1 da doença.

Nos últimos dois anos, a chegada de novas tecnologias ao Brasil, como o Tegsedi (comercializado pela PTC Therapeutics) e o Onpattro (comercializado pela Alnylam), trouxe aos pacientes de amiloidose hereditária a possibilidade de acesso a um tratamento moderno e mais eficaz, principalmente para o estágio 2, que até o momento não dispõe de nenhum medicamento incorporado no protocolo nacional de Amiloidose Hereditária.



Após serem registrados na ANVISA, os dois novos medicamentos seguiram para definição do preço pela Câmara de Regulação do Preço de Medicamentos (CMED), processo que em razão de questões burocráticas do órgão teve um atraso superior a 2 anos. Após essa longa demora, os pacientes de estágios avançados da doença agora estão na expectativa da aprovação pela Conitec desses novos tratamentos que podem contribuir sensivelmente na melhoria de suas vidas.

Diante o exposto, solicito a realização **de seminário** para debater as dificuldades de acesso dos pacientes a tratamentos para amiloidose hereditária no estágio 2 (PAF-TTR) que estão desassistidos pelo SUS.

Sala da Comissão, em 1 de setembro de 2022.

Deputada REJANE DIAS

