



CÂMARA DOS DEPUTADOS

COMISSÃO DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA

REQUERIMENTO Nº _____ DE 2023
(Da Sra. Erika Kokay)

Requer a realização de **Audiência Pública** nesta Comissão dos Direitos das Pessoas com Deficiência, vistas a discutir **Doenças Raras: desafios econômicos, sociais e de saúde pública.**

Senhor Presidente,

Com fundamento no disposto no art. 255 do Regimento Interno, requeremos a realização de Audiência Pública nesta Comissão dos Direitos das Pessoas com Deficiência, vistas a discutir Doenças Raras: desafios econômicos, sociais e de saúde pública.

Sugerimos que sejam convidados para a mesa da audiência pública:

- I. Marina Domenech, Estudos Clínicos, Pesquisadora e Presidente da Intrial e vice presidente da Abracro;
- II. Dr Roberto Guigliani, Médico Geneticista e Pesquisador - Hospital de Clinica do Rio Grande do Sul;
- III. Dra Ana Maria Martins, Medica Geneticista – Hospital São Paulo e IGEIM;
- IV. Representante da Anvisa;
- V. Representante da Febrararas.

JUSTIFICATIVA

As doenças raras são condições de saúde que ocorrem com baixa frequência e apresentam dificuldades de diagnóstico devido à sua raridade. Essas





CÂMARA DOS DEPUTADOS

doenças podem ser graves, crônicas, degenerativas e progressivas, representando risco de morte e necessidade de tratamento contínuo. No Brasil, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, e estima-se que haja cerca de 13 milhões de pessoas com essas condições no país.

A maioria das doenças raras tem origem genética, enquanto uma parcela menor resulta de infecções, alergias, tipos raros de câncer ou causas ambientais. O baixo número de pacientes dificulta a prevenção, o diagnóstico precoce e o tratamento dessas doenças, sendo que muitas delas ainda não possuem tratamento disponível. O diagnóstico tardio traz consequências negativas para os pacientes e dificulta a pesquisa e aprovação de novos tratamentos.

No Brasil, há dificuldades para aprovar novos tratamentos para doenças raras devido ao número reduzido de pacientes para participar das pesquisas clínicas. Os investimentos em pesquisa e desenvolvimento de medicamentos para essas doenças são considerados altos e arriscados, tornando-se um problema não apenas de saúde pública, mas também econômico e social.

Um dos desafios das pesquisas clínicas em doenças raras é encontrar pacientes para os estudos, devido ao número limitado de casos. Além disso, a legislação atual não leva em consideração a raridade da doença, dificultando o acesso antecipado a novas tecnologias e inovações.

Além do acesso ao tratamento, é necessário promover campanhas de conscientização sobre as doenças raras para aumentar o conhecimento sobre essas condições. O diagnóstico precoce, por meio do teste do pezinho ampliado, pode contribuir para prevenir complicações graves e reduzir o sofrimento e os custos associados às doenças raras. Em resumo, as doenças raras apresentam desafios significativos em termos de diagnóstico, tratamento e acesso a novas terapias. A baixa prevalência dessas condições, a falta de investimento em pesquisa e desenvolvimento, a dificuldade em encontrar pacientes para estudos clínicos e as barreiras regulatórias são alguns dos obstáculos enfrentados. Para melhorar a situação, são necessários investimentos em pesquisa, políticas públicas que considerem a raridade das doenças e maior.





CÂMARA DOS DEPUTADOS

Por fim, é fundamental a realização desse debate e a construção de políticas públicas para o devido cuidado das pessoas acometidas das doenças raras no país.

Sala da Comissão, em _____ de _____ de 2023.

Deputada Erika Kokay – PT/DF

Apresentação: 19/06/2023 11:29:26.080 - CPD

REQ n.24/2023



exEdit