RADAR DOS RAROS

Pesquisa de monitoramento sobre o cenário das doenças raras no Congresso Nacional

Desafios para ciência e indústria

Convidados do *CB Talks*, médicos e representantes de entidades farmacêuticas destacam dificuldades para o setor no Brasil

» RAPHAEL PATI*
» EDUARDA PAZ
» Especial para o **Correio**

Na avaliação de médicos e entidades farmacêuticas que participaram, ontem, do *CB Talks* — evento promovido pelo **Correio Braziliense**, em parceria com a Vertex, são necessárias soluções rápidas para aumentar a eficiência dos tratamentos e das pesquisas relacionadas às mais de 8 mil doenças raras conhecidas pelos cientistas no Brasil.

Convidado do debate,no coordenador da Comissão de Doenças Raras da Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), Paulo Henrique Feitosa, afirmou que o tempo para se realizar um diagnóstico ainda é considerado alto — algo que impacta diretamente na saúde do enfermo.

"Temos doenças pulmonares raras que levam 10 anos para ter o diagnóstico. É muito ruim para o paciente, ele perde oportunidade de tratamento, piora sua doença", destacou o especialista.

Desde 2008, a Comissão de Doenças Raras da SBPT atua para evoluir na assistência, tratamento e identificação do problema. Feitosa explicou que o trabalho do grupo contribui para os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) das condições. Esses são documentos que orientam médicos, enfermeiros, técnicos de enfermagem e outros profissionais da saúde sobre como realizar o diagnóstico, tratamento e reabilitação dos pacientes.

De acordo com a *2ª Edição da Pesquisa de Monitoramento Sobre o Cenário de Doenças no Congresso Nacional*, do Radar dos Raros, já foram criados 36 protocolos. Paulo Henrique Feitosa aponta a necessidade de liberar verbas públicas para a compra de medicamentos para a população. "Ter o remédio já é uma esperança", ressaltou.

Outro ponto de destaque é a assistência social especial para doenças raras. O atendimento deve ser mais sensibilizado. Por isso, os especialistas frisaram a necessidade de formar profissionais qualificados na temática. Treinamento, conhecimento e divulgação de informações relacionados ao cenário das doenças raras no Brasil são essenciais para aumentar o acesso ao diagnóstico e ao tratamento.

Minervino Júnior/CB/D.A.Press

Paulo Henrique Feitosa aponta necessidade de diagnóstico rápido

Alcance

O acesso dos pacientes de baixa renda ao tratamento especializado também é um desafio para o país. Segundo especialistas, existem doenças que precisam de acompanhamento por tempo indeterminado, que geram custo de deslocamento até o atendimento. "Não adianta só a assistência ambulatorial. As doenças raras são maiores que o atendimento simples que costumamos fazer. Por isso, precisamos de sensibilização", disse Paulo Henrique Feitosa.

No *CB Talks*, o médico ainda reforçou a urgência de mais atenção do governo para o contexto das doenças raras no país e conta as experiências profissionais com a fibrose cística, que foi incluída na triagem neonatal, conhecida como o Teste do Pezinho, pelo Ministério da Saúde, em 2013.

Minervino Júnior/CB/D.A.Press

Renato Porto diz que setor está preparado para o avanço de tratamentos

Farmacêuticos

O presidente da Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa (Interfarma), Renato Porto, afirmou que a indústria farmacêutica está preparada para impulsionar o avanço do tratamento de doenças raras no Brasil.

"A indústria farmacêutica está pronta para ajudar em todas essas etapas, como a gente tem diversos movimentos na Interfarma, inclusive de elaboração da própria qualificação dessa tensão especializada que é preciso ser dada", comentou.

Pesquisas

Porto lamentou o fato pelo que considera o Brasil ser "o pior" para se fazer pesquisas clínicas. Para ele, "concepções ideológicas" ainda travam esse avanço. "Somos o maior país da América Latina, nós temos o maior número de pacientes, nós temos universidades capazes de começar a absorver essa tecnologia, porque ninguém vai fazer isso da noite para o dia, isso tem que ser um processo paulatino e progressivo, e nós não estamos fazendo isso", disse.

Segundo Porto, o custo para promover pesquisa nesse âmbito no país ainda é muito alto. Além disso, ele cita o fator do dólar alto, já que quase todas as tecnologias utilizadas durante o processo de pesquisa são adquiridas na moeda norte-americana, que hoje está na casa dos R$ 5.

***Estagiário sob a supervisão de Luana Patriolino**

Foco na pesquisa

» FERNANDA STRICKLAND

Um dos pontos levantados no debate foi a discussão do Projeto de Lei 7.082/2017, que busca regulamentar a pesquisa clínica com seres humanos e estabelecer um Sistema Nacional de Ética em Pesquisa Clínica. A discussão foi aberta pelo presidente executivo do Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos (Sindusfarma), Nelson Mussolini. Ele avaliou que esse é um ponto carente e que precisa de uma melhoria no país.

De autoria da ex-senadora Ana Amélia (PSD-RS), a matéria visa assegurar direitos e princípios éticos na relação entre patrocinador da pesquisa, pesquisador e paciente e, ao mesmo tempo, conferir agilidade na análise e no registro de medicamentos no país.

O projeto é pensando levando em conta a burocracia e os prazos para aprovar a realização de um estudo clínico em território nacional — que são vistos como entraves — e não permitem que o setor atinja o potencial máximo para beneficiar economicamente e socialment e a população.

Questionado pelos representantes farmacêuticos, o deputado federal Pedro Westphalen (PP-RS), que integra a diretoria da Comissão Permanente de Saúde da Câmara, afirmou que deseja ser um facilitador para a aprovação da proposta. "Temos a obrigação de dar a nossa contribuição nessa causa, é muito importante que as associações cobrem os parlamentares para que esse projeto seja aprovado", disse o parlamentar.

Legislação como prioridade

» MARINA DANTAS*
» VITÓRIA TORRES*

Convidado do *CB Talks*, o presidente executivo do Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos (Sindusfarma), Nelson Mussolini, destacou a necessidade de a sociedade brasileira compreender a gravidade das doenças raras que afetam milhões de pessoas, incluindo crianças. Ele citou a criação da lei que instituiu o direito dos recém-nascidos em realizarem o Teste do Pezinho.

O exame é realizado com a coleta de gotas de sangue dos pés do recém-nascido entre o terceiro e o quinto dia de vida. O objetivo é detectar qualquer doença ainda pré-sintomática ou pré-patológica para fazer um diagnóstico precoce e intervir para evitar a mortalidade e sequelas ao longo da vida da criança.

No Brasil, o teste é realizado há mais de 50 anos e encontra amparo legal. Todo recém-nascido tem direito a realizar a triagem neonatal, segundo a Portaria nº 822, do Ministério da Saúde, de 06 de junho de 2001.

Nelson Mussolini acredita que as leis sobre as doenças raras é uma das funções importantes do parlamento sobre o assunto, mas que estão em falta diante do cenário atual. Um dos principais desafios apontados por ele é a demora na aprovação de pesquisas clínicas no Brasil, o que impede o acesso a novos tratamentos de doenças raras.

Discussão ampla

Para o especialista, melhorar o sistema de saúde direcionado aos portadores de doenças raras é discutir o assunto com profundidade. Expor formas de colaboração entre o setor público e o setor privado são fundamentais para o avanço do tema no cenário político. Mussolini lembrou da reforma tributária e a necessidade de reduzir ou isentar a carga de impostos sobre produtos de saúde, principalmente medicamentos.

Segundo ele, é necessário a cooperação entre o setor público e privado, junto às mudanças na legislação, para enfrentar os desafios da iniciativa privada na pesquisa e no desenvolvimento de tratamentos para doenças raras no Brasil.

"Precisamos ter um olhar tributário diferenciado no nosso país, pois países desenvolvidos, não cobram tributo na saúde. O tributo na saúde precisa ficar muito claro. Eu falei outro dia, em uma audiência pública no Senado, que é um tiro na cabeça do gestor público, do paciente e da indústria farmacêutica", concluiu.

***Estagiárias sob a supervisão de Luana Patriolino**

Minervino Júnior/D.A Press

Presidente do Sindusfarma ressalta tributação de medicamentos no país

> **O tributo na saúde precisa ficar muito claro. Eu falei outro dia, em uma audiência pública no Senado, que é um tiro na cabeça do gestor público, do paciente e da indústria farmacêutica"**
>
> ***Nelson Mussolini,*** *presidente do Sindusfarma*

Panorama

Existem cerca de 13 milhões de indivíduos com algum tipo de doença rara no Brasil, de acordo com a OMS

Como se dá a cadeia de uma política pública bem estruturada

Diagnóstico

Em 2010, a fibrose cística foi incluída na Triagem Neonatal, o chamado Teste do Pezinho, possibilitando identificar o risco para a doença. O Teste do Suor pode confirmar o diagnóstico.

Tratamento

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Fibrose Cística, atualizado em 2022, é um documento oficial do SUS, que estabelece critérios para o diagnóstico e orientações para o tratamento; mecanismos de controle clínico; acompanhamento e verificação dos resultados terapêuticos.

Centros de referência

Existem hoje centros de referência para o tratamento da fibrose cística no país.

Registro brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC)

Base de dados, com acesso protegido, e conta com dados demográficos, diagnósticos, genéticos, terapêuticos e de evolução da doença.

Mapeamento genético

Com o apoio da iniciativa privada, cerca de **80%** dos pacientes com fibrose cística incluídos no registro brasileiro já foram testados geneticamente.

Valdo Virgo/CB/D.A Press

É considerada rara a doença que afeta 65 pessoas por grupo de 100 mil

Há cerca de **8 mil** doenças raras diagnosticadas

13 milhões Estimativa de indivíduos com doenças raras no Brasil

75% Porcentagem de pacientes crianças

30% Percentual de doentes que morrem antes de completar 5 anos

80% das doenças raras ocorrem por fatores genéticos

20% das doenças são devido a fatores ambientais, infecciosos ou imunológicos

Características das doenças raras

- São caracterizadas por uma ampla diversidade de sinais e sintomas, que variam de pessoa para pessoa
- Geralmente, são doenças crônicas, progressivas e incapacitantes
- Não têm cura, mas, para algumas, os sintomas podem ser tratados com medicamentos e outras terapias auxiliares

Fonte: Radar dos Raros