



DIAGNÓSTICO

Lacunhas no tratamento de doenças raras

O grupo de patologias consideradas raras reúne mais de sete mil condições, mas cerca de 95% ainda não tem tratamento disponível. Cenário que pressiona sistema de saúde e amplia papel do país em pesquisa clínica global para os casos raros

» RAFAELA BOMFIM

Divulgação



Cerca de 13 milhões de brasileiros convivem com doenças raras, grupo que reúne mais de sete mil condições, das quais aproximadamente 95% ainda não possuem tratamento disponível, segundo dados do setor de saúde e da indústria farmacêutica. O cenário evidencia desafios no diagnóstico, no acesso a terapias e na incorporação de inovação, ao mesmo tempo em que coloca o Brasil como peça relevante em estratégias globais de pesquisa clínica.

Em entrevista ao **Correio**, Marc Dunoyer, presidente global da Alexion e diretor de Estratégia da AstraZeneca, afirmou que o impacto dessas condições é mais amplo do que a classificação sugere. “De cada 10 pessoas, uma é afetada por doenças raras, então não é algo tão raro assim”, explica. Segundo o especialista, além da raridade da doença, o tratamento também é um desafio a ser superado. Diante de cerca de 10 mil enfermidades identificadas, “existem mais ou menos 500 produtos aprovados”, o que evidencia um intervalo entre demanda e oferta terapêutica.

Os pacientes também enfrentam problemas para identificar a doença. No Brasil, o tempo médio para fechar um diagnóstico preciso supera os cinco anos, período em que pacientes passam por diferentes especialistas até identificar a condição correta. “Esse tempo acontece porque há diagnósticos equivocados até se chegar à definição correta, podendo levar até mais de 10 anos em alguns casos”, afirmou. Segundo ele, “o momento mais importante na vida do paciente é quando recebe o diagnóstico correto”, etapa que define o início do tratamento, quando disponível.

O sistema público de saúde concentra a maior parte da assistência, financiando mais de 84% dos exames e 86% dos tratamentos. Ainda assim, o acesso a medicamentos permanece um dos principais entraves. Levantamento do setor aponta que os protocolos aprovados ainda aguardam inclusão nas diretrizes clínicas, com tempo médio de 14 meses. “Os melhores sistemas de seguridade social são aqueles que são receptivos à inovação”, disse. “Se um desses

elementos estiver faltando, a coisa não funciona”, completou, ao citar a necessidade de integração entre sistema público, especialistas e centros de referência.

O custo também representa um fator crítico. Dados internacionais indicam que famílias afetadas podem enfrentar despesas até seis vezes maiores do que aquelas associadas a doenças crônicas. “É impossível que os pacientes arquem com esses custos sozinhos”, afirmou o executivo, ao defender modelos sustentáveis para ampliação do acesso.

Nesse contexto, o Brasil tem sido incorporado como eixo estratégico em pesquisa clínica. O país é o segundo maior mercado internacional da AstraZeneca, atrás apenas da China. Em 2025, foram investidos R\$ 315 milhões em estudos clínicos, com resultados positivos em 16 pesquisas de fase 3. Para 2026, a empresa projeta mais de 100 ensaios em andamento, distribuídos por mais de 200 centros em 23 estados, com investimento superior a R\$ 368 milhões e participação de mais de 1.500 novos pacientes.

Na área específica de doenças raras, estão previstos 18 estudos clínicos no país, com aumento de 22% na participação de pacientes brasileiros. O objetivo é atingir 3.651 pessoas tratadas até 2030. “A capacidade de realizar pesquisas no nível local é imprescindível para que a inovação chegue aos pacientes”, disse Dunoyer.

Mais investimentos

A aquisição da Alexion pela AstraZeneca, concluída em 2021 por US\$ 39 bilhões, ampliou a atuação



De cada 10 pessoas, uma é afetada por doenças raras, então não é algo tão raro assim...Precisamos multiplicar o número de produtos aprovados e garantir acesso global. O desafio não é apenas desenvolver medicamentos, mas assegurar que eles cheguem de forma efetiva a quem precisa”

Marc Dunoyer,
presidente global da Alexion

correta da doença até iniciar terapia adequada. “Após o tratamento, ela retomou atividades e chegou a correr a maratona de Tóquio”, relatou, ao destacar a mudança de trajetória após a intervenção médica.

Além da pesquisa, o debate envolve a incorporação de terapias no sistema público de saúde. Um exemplo é o ravulizumabe, indicado para hemoglobinúria paroxística noturna, que recebeu recomendação de incorporação, mas ainda aguarda inclusão formal. Estudos apontam que sua adoção pode gerar economia de R\$ 528 milhões em cinco anos, em comparação ao tratamento atualmente disponível.

Para Dunoyer, o avanço depende da combinação entre inovação científica, estrutura de atendimento e políticas públicas. “Precisamos multiplicar o número de produtos aprovados e garantir acesso global”, afirmou. Ele acrescentou que países como o Brasil podem contribuir para a próxima geração de soluções biomédicas, desde que haja integração entre pesquisa, financiamento e assistência.

O cenário, que reúne demandas de saúde pública e estratégias de negócios, coloca o país no centro de discussões sobre desenvolvimento científico, acesso a medicamentos e sustentabilidade do sistema de saúde, em um campo onde a maioria das doenças ainda não possui resposta terapêutica.

Como parte da estratégia para ampliar o acesso e reduzir desigualdades, Dunoyer defendeu maior integração entre governo, indústria e centros de pesquisa. Além disso, é fundamental acelerar a incorporação de tecnologias e reduzir o tempo entre a aprovação e a disponibilização ao paciente. Segundo ele, o Brasil tem capacidade para liderar esse movimento na América Latina, desde que haja previsibilidade regulatória e continuidade nos investimentos. “A inovação precisa caminhar junto com sustentabilidade, garantindo que o sistema consiga absorver novas terapias sem comprometer o atendimento”, acrescentou. “O desafio não é apenas desenvolver medicamentos, mas assegurar que eles cheguem de forma efetiva a quem precisa”, concluiu o especialista.

Estagiária sob supervisão de Veronica Soares

VANDALISMO

Estátuas da Havan são incendiadas

O empresário Luciano Hang denunciou, na última quinta-feira, que as estátuas símbolos das suas lojas, a rede varejista Havan, está sofrendo vandalismo em diversas regiões do Brasil. Os episódios aconteceram em São Luís (MA), Natal (RN) e São Preto de Aldeia (RJ). O último caso de vandalismo envolvendo uma das estátuas da rede, foi registrado no município de Valparaíso de Goiás, município localizado no Entorno do Distrito Federal. Imagens de câmeras de segurança mostram os criminosos tentando atear fogo no monumento com aproximadamente 35 metros de altura.

Réplica da Estátua da Liberdade, localizada nos Estados Unidos, o símbolo da Havan está instalado em frente a quase todas lojas da

rede em todo o Brasil. Além do vandalismo por parte da ação humana, as estátuas da rede também já sofreram com a ação da natureza. No fim do ano passado, por exemplo, o monumento erguido em frente à loja de Guaíba, na Região Metropolitana de Porto Alegre (RS), desabou devido aos fortes ventos que atingiram a região.

Segundo o relato publicado pelo próprio empresário em suas redes sociais, a ação ocorreu durante a madrugada e teria atingido não apenas a unidade goiana, mas também outras localidades no país. Hang afirmou que, ao todo, pelo menos quatro estátuas da rede foram vandalizadas em diferentes estados, em episódios registrados praticamente ao mesmo tempo.

O caso ganhou repercussão após a divulgação de um vídeo em que o empresário detalha os danos e critica a ação. As estátuas, que fazem parte da identidade visual das lojas da Havan, são inspiradas na Estátua da Liberdade e costumam ser instaladas na entrada das unidades. Até o momento, não há informações sobre a autoria dos atos ou sobre possíveis investigações em andamento.

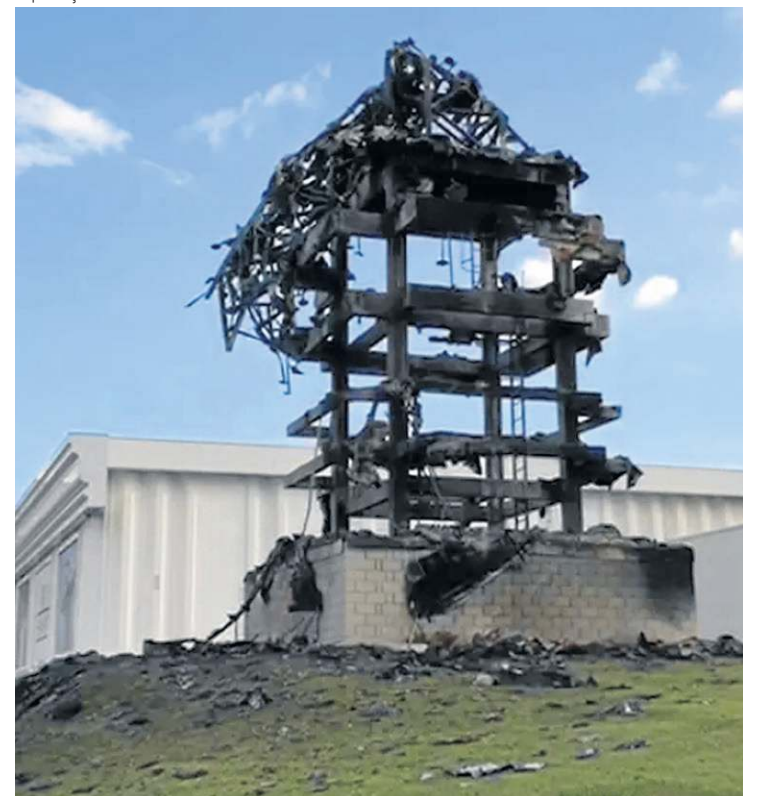
Ocasões diferentes

Não é a primeira vez que o empresário sofre vandalismo nas suas lojas. No ano passado, o incêndio ocorreu na filial de Petrolina (PE). Na ocasião, Hang afirmou que foi um ataque, por causa da sua posição política. “Em

que sociedade estamos vivendo, em que as pessoas não aceitam o contraditório?”, questionou Hang. Segundo o empresário, episódios semelhantes foram registrados em São Carlos (SP) e Porto Velho (RO), sem que os autores fossem identificados. “É a terceira vez que colocamos fogo em nossas estátuas. Até hoje, sem solução”, disse.

Hang destacou, ainda, que a Havan gera atualmente 22 mil empregos diretos e 120 mil indiretos em todo o país, e que a empresa deseja apenas “continuar abrindo lojas, gerando emprego e renda”. “Não podemos normalizar esse tipo de ataque de ódio. E não podemos deixar impune, mais uma vez. Nossa estátua já diz tudo: Liberdade. E é por ela que sempre vamos lutar”, completou.

Reprodução Internet



Em uma das lojas, o fogo destruiu o monumento completamente