

Em 2023, foram distribuídas pela Pasta 74 milhões de unidades farmacêuticas para o tratamento de doenças raras, representando um investimento superior a R\$ 4 bilhões

Ministério da Saúde está avançando para garantir acesso ao diagnóstico precoce e assistência adequada e de qualidade às pessoas com [doenças raras](#) no país. Em 2023, a Pasta distribuiu mais de 74 milhões de unidades farmacêuticas para o tratamento dessas condições, correspondendo a um investimento de mais de R\$ 4,1 bilhões.

Como parte desse esforço, o [Sistema Único de Saúde \(SUS\)](#) disponibiliza uma lista de 152 medicamentos para o tratamento de doenças raras, acessíveis por meio das farmácias do [Componente Especializado da Assistência Farmacêutica \(CEAF\)](#). Desse total, 96 medicamentos são utilizados exclusivamente para tratar as 54 doenças raras atendidas de forma ambulatorial pelo CEAF. O Ministério da Saúde é responsável pela aquisição de 66 desses medicamentos exclusivos, enquanto o financiamento de 26 é de responsabilidade das secretarias estaduais de saúde e do Distrito Federal.

Além disso, 56 dos 152 medicamentos são utilizados também no tratamento de outras doenças atendidas pelo CEAF, incluindo as crônicas não transmissíveis.

Ainda como parte dos avanços no tratamento das doenças raras, foram incorporados e implementadas terapias inovadoras no SUS. Alguns exemplos notáveis incluem os seguintes medicamentos:

- Eculizumabe - utilizado no tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna;
- Elexacaftor 50 mg/Tezacaftor 25 mg/Ivacaftor - utilizado no tratamento de pacientes com fibrose cística;
- Alfavestronidase - para o tratamento de pacientes com mucopolissacaridose tipo VII;
- Alentuzumabe - tratamento de pacientes com esclerose múltipla; e
- Selexipague para o tratamento de pacientes com hipertensão arterial pulmonar.

Em 2023, o Ministério investiu R\$ 27,3 milhões nos serviços habilitados para o tratamento de doenças raras, um aumento de R\$ 4 milhões em relação ao investimento de 2022, que foi de R\$ 23 milhões.

Para agilizar o acesso ao diagnóstico precoce e à assistência adequada, o Ministério da Saúde disponibilizou um aumento de mais de R\$ 30 milhões por ano para ampliar o [Programa Nacional da Triagem Neonatal \(PNTN\)](#). Em 2024, celebra-se os 10 anos da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, após paralisações no rastreamento neonatal e dificuldades na implantação da política nos últimos anos.

Incorporações

Para reforçar o acesso ao tratamento, o Ministério da Saúde vai financiar diretamente a compra de quatro medicamentos para tratamento das doenças raras. A decisão foi pactuada em março entre gestores municipais e estaduais de saúde durante a 3ª reunião plenária do ano da [Comissão Intergestores Tripartite \(CIT\)](#).

Os medicamentos recentemente incorporados ao SUS e que terão o financiamento centralizado são:

- Rituximabe para tratamento da vasculite;
- Cladribina para tratamento da esclerose múltipla;
- Beta-agalsidase para tratamento da doença de Fabry;
- Ustequinumabe para tratamento da doença de Crohn, nas apresentações de 45 mg e 130

mg.

Entre 2023 e 2024, o Ministério da Saúde incorporou 18 tecnologias para o tratamento de doenças raras, sendo 15 medicamentos e três produtos ou procedimentos. Entre eles, destacam-se o medicamento alfa-galactosidase para tratar a doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, o emicizumabe para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A moderada ou grave, e anticorpos inibidores do fator VIII, sem restrição de faixa etária.

Na área de procedimentos, foram incorporados o teste de detecção de HLA-B27 para indivíduos com suspeita de espondiloartrite axial e para avaliação prognóstica da doença, além da adoção de calprotectina fecal no monitoramento de pacientes com doença de Crohn envolvendo o cólon e a dosagem de porfobilinogênio urinário para confirmação diagnóstica ou prognóstico de porfirias hepáticas agudas.

As doenças raras

Sob uma perspectiva epidemiológica, estima-se a existência de 6 a 8 mil doenças raras únicas e afetando entre 3.5% e 5.9% da população.

Fonte: Ministério da Saúde, em 22.05.2024