

## INTERFARMA

O paciente com doença rara no Brasil enfrenta diversos desafios. O primeiro está no diagnóstico, muitas vezes tardio pela falta de conhecimento do próprio médico. Depois surgem as dificuldades de acesso aos tratamentos de alto custo, que podem se tornar uma árdua jornada para toda a vida. E isso tudo em meio à falta de todo o tipo de informação acerca da doença, além das dificuldades e eventuais limitações impostas pela enfermidade.

Por isso, a INTERFARMA (Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa) lançou o estudo “Doenças Raras – A Urgência do Acesso à Saúde”, que traz um panorama do problema no país, sob diversas perspectivas. O lançamento coincide com o Dia Mundial das Doenças Raras, celebrado neste 28 de fevereiro, e aconteceu em evento reservado para jornalistas. [Download gratuito aqui.](#)

“Precisamos aumentar o conhecimento em torno dessas questões e vocês, jornalistas, são fundamentais nesta missão”, disse Maria José Delgado Fagundes, diretora da INTERFARMA, em sua apresentação na Casa do Saber, no Itaim Bibi, São Paulo, durante o lançamento.

A publicação mostra que existem quase oito mil doenças raras no mundo, que afetam em torno de 13 milhões de brasileiros. Cerca de 80% é de origem genética, enquanto as demais têm causas infecciosas, virais ou degenerativas. Até hoje, quase a totalidade dos tratamentos é feita com medicamentos paliativos e serviços de reabilitação. Apenas 2% dos casos são tratados com os chamados medicamentos órfãos, capazes de interferir na progressão da doença.

“Desde a publicação da Portaria 199, de 2014, contamos somente com sete hospitais habilitados, localizados nos estados de São Paulo, Pernambuco, Goiás, Rio de Janeiro, Paraná e Rio Grande do Sul, além do Distrito Federal”, apontou Maria José. Além de não compreenderem todas as regiões do País, as instituições habilitadas não se encontram, em alguns casos, na capital do Estado, o que dificulta o acesso dos pacientes.

## Judicialização

O estudo traz também um panorama sobre a judicialização da saúde no Brasil, que é impulsionada principalmente pela busca por acesso a tratamentos contra doenças raras. “De um lado, a judicialização compromete o planejamento do orçamento público para a saúde. De outro, pacientes e familiares se encontram com alternativas restritas de acesso a tratamentos, o que os leva a reivindicarem seus direitos constitucionais de acesso a medicamentos por meio das ações judiciais”, explica Maria José.

Desde 2011, os gastos do Ministério da Saúde cresceram 610% com judicialização da saúde. “A participação dos medicamentos órfãos nos gastos da União por via judicial já representa 90% do total. Em 2016, dez dos 20 medicamentos mais demandados judicialmente estavam ligados às doenças raras”, mostra o estudo.

## Próximos passos

Embora recentes avanços tenham favorecido as pessoas com doenças raras, como a criação de alguns protocolos clínicos e serviços de saúde especializados, ainda faltam aprimoramentos às políticas públicas de saúde. Faltam recursos para a área, assim como sobra burocracia para a promoção de estudos clínicos que poderiam oferecer acesso às novas tecnologias e também promover o bem-estar dos pacientes.

O levantamento traz propostas e mostra modelos que podem ser utilizados para buscar soluções a esses pontos críticos, como a formação de grupos técnicos para solucionar o fenômeno da

judicialização da saúde, a elaboração de processos de regulação sanitária que considerem as peculiaridades dos medicamentos órfãos e mais parcerias entre os setores público e privado da saúde.

### **Outros palestrantes**

O evento para jornalistas contou também com a participação da Dra. Ana Maria Martins, médica geneticista no Instituto de Genética e Erros Inatos do Metabolismo (IGEIM) e na Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP), além de Vice-Presidente da Sociedade Brasileira de Triagem Neonatal Erros Inatos do Metabolismo (SBTEIM). “O médico não está preparado para o diagnóstico de doenças raras, que costumam ser investigadas depois das doenças frequentes. Assim, muitos pacientes acabam vivendo por anos com o diagnóstico equivocado”, disse ela.

Além dela, houve palestra da Dra. Dafne Horovitz, médica geneticista no Departamento de Genética do Instituto Fernandes Figueira/Fiocruz (IFF/Fundação Oswaldo Cruz) e vice-presidente da Sociedade Brasileira de Genética Médica (SBGM). “Faltam políticas públicas que poderiam melhorar o atendimento. Nem todos os tratamentos para doenças genéticas são caros. Há casos em que um suplemento alimentar pode resolver”, afirma ela.

Também estiveram presentes no evento: Sr. Antoine Daher, da Casa Hunter - composta por pais de crianças com doenças raras e médicos especializados em estudos genéticos, é uma instituição sem fins lucrativos que tem o objetivo de oferecer suporte aos portadores de doenças raras. E Dra. Ana Lúcia Langer, pediatra, ex-diretora clínica da ABDIM-AACD, médica do Centro de Estudos do Genoma Humano do Departamento de Genética e Biologia Evolutiva do Instituto de Biociências da Universidade de São Paulo. Ambos trouxeram mais informações especialmente sobre a perspectiva do paciente e de seus familiares, na luta pelo diagnóstico correto, por acesso aos tratamentos necessários e por mais qualidade de vida.

**Fonte:** Interfarma, em 28.02.2018.