

Objetivo da data é sensibilizar a população, os profissionais e os serviços de saúde em relação aos tipos de doenças raras e às dificuldades que os pacientes enfrentam.

Este sábado, 29 de fevereiro, é o Dia Mundial das Doenças Raras. O objetivo da data é sensibilizar a população, os profissionais e os serviços de saúde a respeito dos tipos de doenças raras existentes, dos desafios e de todas as dificuldades que os pacientes enfrentam.

Cerca de 13 milhões de brasileiros, segundo dados do Ministério da Saúde, têm alguma doença rara. As doenças raras são definidas, de acordo com a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, como aquelas que afetam até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos, com base em dados oficiais nacionais ou, quando inexistentes, em dados publicados em documentação técnico-científica. Essas doenças não têm cura e as opções terapêuticas são restritas.

A Anvisa, a partir da publicação da [Resolução da Diretoria Colegiada \(RDC\) 205/2017](#), estabeleceu procedimento especial para anuência de ensaios clínicos, certificação de boas práticas de fabricação e registro de novos medicamentos destinados ao tratamento, ao diagnóstico e à prevenção de doenças raras.

Com a regulamentação da norma, foram instituídos mecanismos para encurtar os prazos de análise e alguns requisitos foram flexibilizados sem, no entanto, comprometer a segurança e a eficácia dos medicamentos. Passou a ser admitida, por exemplo, a apresentação de complementação de dados e provas adicionais depois da concessão do registro, por meio da assinatura de um termo de compromisso entre a Agência e a empresa solicitante do registro.

Também é permitida, para medicamentos importados, a supressão da realização de controle de qualidade no Brasil, desde que seja apresentada a comprovação da manutenção de condições adequadas durante o transporte do medicamento.

A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras formaliza, desde 2014, a rede de atendimento para prevenção, diagnóstico, reabilitação e tratamento pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

Conheça mais sobre [a atuação da Anvisa com relação às doenças raras](#).

**Fonte:** ANVISA, em 28.02.2020.