



COMEMORAÇÃO DIA MUNDIAL DAS DOENÇAS RARAS – 2013

Senador Eduardo Matarazzo Suplicy

Tenho me aproximado muito da discussão de políticas públicas e da conscientização social necessária para a temática relativa às pessoas com doenças raras por influência direta do Instituto Baresi, de São Paulo, coordenado por Adriana de Abreu Magalhães Dias e Marcelo Higa. Em Brasília, dialogo com frequência sobre as questões que envolvem as doenças raras com Rogério Lima Barbosa, presidente da Associação Maria Vitória.

Fruto da sensibilização recebida do Instituto Baresi, apresentei três matérias legislativas sobre as doenças raras. A primeira delas é o Projeto de Lei do Senado (PLS) nº 159, de abril de 2011, que institui o último dia do mês de fevereiro como o Dia Nacional de Doenças Raras. Esta proposição encontra-se na Comissão de Educação do Senado Federal, aguardando que o seu presidente marque uma audiência pública para instrução do projeto.

A segunda proposta, apresentada em novembro de 2011, é o Projeto de Lei do Senado nº 711, que institui a Política Nacional de Proteção aos Direitos da Pessoa com Doença Rara. Essa matéria foi distribuída para análise da Comissão de Assuntos Sociais (CAS) e da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa (CDH), sendo terminativa nesta última, ou seja, não terá necessariamente que passar pelo Plenário do Senado para ser enviado à análise da Câmara dos Deputados. O PLS 711/2011,



encontra-se com o relator designado pela CAS, o senador Paulo Bauer, desde 29/Mar/2012.

A terceira matéria é o Projeto de Lei do Senado nº 231, de agosto de 2011, que cria o Fundo Nacional de Pesquisa para Doenças Raras e Negligenciadas. Este projeto foi distribuído para a instrução de três comissões do Senado: Comissão de Ciência e Tecnologia, Comissão de Assuntos Sociais e Comissão de Assuntos Econômicos, sendo terminativo nesta última. No momento, a propositura, que já teve parecer pela aprovação na forma de uma emenda substitutiva da Comissão de Ciência e Tecnologia, encontra-se na Comissão de Assuntos Sociais, aguardando designação de relator.

É interessante destacar que uma doença rara é uma patologia que ocorre com pouca frequência no geral da população. Para ser considerada rara, cada doença específica não pode afetar mais de um número limitado de pessoas de toda a população. Na Europa, a definição para doenças raras abarca as que atingem um em cada dois mil cidadãos (Regulamento CE sobre Medicamentos Órfãos). Nos EUA, são consideradas raras as doenças que atingem menos de duzentos mil indivíduos. No Japão, a definição jurídica de uma doença rara é a que afeta menos de cinquenta mil pacientes no país, ou cerca de uma em duas mil e quinhentas pessoas.

Individualmente, cada uma das patologias tidas como raras compromete menos de uma em cada duas pessoas, mas é preciso salientar: há mais de cinco mil doenças raras identificadas. A etiologia das doenças raras é diversificada: a grande maioria delas é de origem genética (80%), mas doenças degenerativas, autoimunes, infecciosas e oncológicas também podem originá-las. Apesar das dificuldades causadas pelas doenças raras, inúmeras pessoas com essas doenças prestaram e prestam grandes



contribuições para a humanidade. Como exemplo, cito o Presidente John Fitzgerald Kennedy, com a doença de Crohns, o físico Stephen Hawking, com esclerose lateral amiotrófica, o músico Seal, com lúpus infantil, o ator Michael J. Fox, com a doença de Huntingtons, o medalhista olímpico Doug Herland, com osteogênese imperfecta e a aviadora Jessica Cox que, por uma doença congênita, nasceu sem os braços.

As sequelas causadas pelas doenças raras são responsáveis pelo surgimento de cerca de 30% das deficiências (que pode ser física, auditiva, visual, cognitiva, comportamental ou múltipla, a depender de cada patologia). A dificuldade no tratamento médico começa na falta de um mapeamento nacional dessas pessoas. A baixa incidência das doenças raras no Brasil, quando comparada com outros países, leva à suspeita de que muitos casos simplesmente não são diagnosticados, em especial em regiões historicamente não incluídas, como a Norte e a Nordeste. Dados internacionais apontam que a mortalidade infantil entre pessoas com doenças raras chega a 30% em países desenvolvidos. Este percentual pode ser ainda mais alto no Brasil, uma vez que essas crianças não recebem o tratamento adequado. Dados concretos embasariam o desenvolvimento de uma abordagem coerente das necessidades desta parcela da população.

Estudos recentes efetuados pela EURORDIS, organização que auxilia pessoas com doenças raras na União Europeia (EU), comparou dados de oito doenças raras em dezessete países europeus, (num universo de seis mil doentes e familiares), mostrando que 25% dos doentes inquiridos esperou de 5 a 30 anos entre o aparecimento dos sintomas iniciais e o diagnóstico definitivo. Estima-se que, no Brasil, a dificuldade de diagnóstico e tratamento seja ainda maior.



Tanto o diagnóstico quanto o tratamento são dificultados pela falta de conhecimento sobre essas doenças e de protocolos de atendimento específicos. Faltam, ainda, profissionais especializados, capazes de entender as implicações dos tratamentos em um corpo com características especiais. Isto leva ao agravamento de sintomas e sequelas. Muitas vezes, as pessoas com doenças raras ou as associações que as congregam é que são responsáveis por localizar e traduzir as pesquisas mais recentes sobre sua patologia, encaminhando-as para seus médicos.

As pessoas com doenças raras enfrentam gigantescas dificuldades sociais, cujas barreiras são muitas vezes intransponíveis. O preconceito contra os sintomas físicos pouco comuns dessas patologias é frequente, assim como a visão assistencialista que considera estes indivíduos um peso para a sociedade e não uma parte integrante dela. Muitos acabam isolados socialmente, devido à falta de estrutura adequada à suas necessidades específicas em escolas, universidades, locais de trabalho e centros de lazer. A grande maioria das pessoas com doenças raras não têm acesso às condições necessárias para atingir seu pleno potencial.

Para aprofundar o estudo dessas questões e estabelecer, em melhores condições, a cidadania das pessoas com doenças raras é preciso contemplá-las em todas as discussões a respeito de suas necessidades. Foi com este grande objetivo em mente que apresentei o projeto de lei que estabelece o Dia Nacional de Doenças Raras, a ser comemorado, como em todo o mundo, no último dia do mês de fevereiro.

Apesar dos recentes avanços científicos e tecnológicos, as doenças infecciosas continuam a afetar desproporcionalmente as populações pobres e marginalizadas.



Contribui para isso um fenômeno denominado “desequilíbrio 10/90” (*The 10/90 Gap*, em inglês), pelo qual, conforme o *Global Forum for Health Research*, menos de dez por cento dos gastos mundiais com pesquisa em saúde são dedicados a doenças e condições mórbidas que representam noventa por cento da carga global de doenças.

Essa “falha de mercado” caracteriza-se por uma situação em que o setor privado investe quase exclusivamente em remédios para o mundo rico e desenvolvido, que serão vendáveis e lucrativos. Como resultado dessa exiguidade de recursos destinados à pesquisa em saúde, relacionada com as doenças da pobreza, proliferam as assim denominadas “doenças negligenciadas”, virtualmente ignoradas em termos do desenvolvimento de medicamentos.

As doenças negligenciadas, tais como dengue, doença de Chagas, esquistossomose, hanseníase, leishmaniose, filariose, oncocercose, malária, tuberculose e tracoma, entre outras, estão associadas a situações de pobreza, a precárias condições de vida e às iniquidades em saúde, ou seja, às desigualdades injustas, desnecessárias e evitáveis.

Apesar de serem responsáveis por quase metade da carga de doença nos países em desenvolvimento, os investimentos em pesquisa e desenvolvimento tradicionalmente não priorizaram essa área. O Brasil, felizmente, é uma exceção a essa regra, em face de já ser considerado um líder mundial em pesquisas sobre doenças negligenciadas.

As ações iniciais do Ministério da Saúde com relação às doenças negligenciadas foram lançadas em 2003, com o primeiro edital temático em tuberculose, seguido pelos editais de dengue (2004) e hanseníase (2005). Em 2006, implantou o Programa de Pesquisa e Desenvolvimento em



Doenças Negligenciadas e financiou 82 pesquisas, com um investimento total de 22,3 milhões de reais.

Em 2008, financiou 58 projetos, mediante investimento conjunto com o Ministério da Ciência e Tecnologia e apoio administrativo do Conselho Nacional de Desenvolvimento Científico e Tecnológico (CNPq) de 17 milhões de reais, perfazendo um total de 39,3 milhões de reais.

Em 2012, anunciou a criação de uma Rede de Pesquisa em Doenças Negligenciadas, com financiamento de vinte milhões de reais. Esses são apenas alguns exemplos de iniciativas governamentais nessa área.

No caso das doenças raras, acontece situação parecida com a das doenças negligenciadas, pois a decisão das indústrias farmacêuticas de investir na pesquisa e na comercialização de produtos é largamente influenciada pela demanda e, principalmente, pelo mercado potencial. Com base nesse raciocínio, a indústria concentra a sua produção em determinadas linhas de produtos, retirando do mercado drogas de pouco consumo, utilizadas em doenças raras, de baixo retorno financeiro ou de preço controlado pelo governo – por ser o maior comprador –, tal como acontece com determinadas doenças endêmicas.

Drogas órfãs são medicamentos usados para o diagnóstico, prevenção e tratamento das doenças raras. Para que um medicamento seja considerado órfão, são utilizados critérios epidemiológicos – baixa prevalência ou incidência da doença em uma determinada população –, e econômicos – presunção de não-rentabilidade do medicamento.

O incremento de investimentos em doenças negligenciadas no Brasil, em face aos sucessos já obtidos, exige, agora, a instituição de



mecanismos de financiamento mais perenes, que também contemplem as doenças raras. Nesse sentido, a criação do Fundo Nacional de Pesquisa para Doenças Raras e Negligenciadas (FNPDRN), proposto pelo Projeto de Lei do Senado nº 231, de 2012, pode significar um importante avanço com vistas a ampliar o financiamento e, consequentemente, o escopo das ações de pesquisa nessa área.

O Fundo proposto funcionará sob as formas de apoio a fundo perdido ou de empréstimos reembolsáveis. As fontes de recursos incluem doações, sendo permitidas doações para pesquisa de doença específica; subvenções e auxílios de entidades de qualquer natureza, inclusive de organismos internacionais; e reembolso das operações de empréstimo realizadas por meio do Fundo, a título de financiamento reembolsável. Ademais, contará com recursos orçamentários anuais de R\$ 50 milhões.

Com essas ideias, finalizo a minha fala, cumprimentando a Câmara dos Deputados e, principalmente, o deputado Romário pela realização deste seminário em comemoração ao Dia Mundial das Doenças Raras e a Associação Maria Vitória pelo apoio ao evento. Avalio que devemos, todos nós, prosseguir nessa luta para fazer valer, para as pessoas com doenças raras, o princípio constitucional que assegura o direito à saúde para todos.