



Mundo XLH

Audiência Pública

Equidade no acesso ao Tratamento da XLH

Senado Federal - 23/04/26



Audiência Pública

Senadora Damares Alves

Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa

Presencial e Remota

Demais Palestrantes

Organizações





Cenário das Doenças Raras

Não são casos isolados / Milhares de famílias

- ✓ Busca pelo Diagnóstico / Diagnósticos tardios
- ✓ Dificuldade de acesso ao tratamento
- ✓ Falta de informação
- ✓ Descontinuidade de cuidados essenciais

Essa Realidade se repete em inúmeras histórias pelo nosso país





Importância do Debate

Transformar experiências em:

- ✓ Pauta pública
- ✓ Discussão qualificada
- Políticas concretas

BUSCA

Privilégio — É equidade

PESSOAS com XLH tenham acesso contínuo ao tratamento adequado





Qualidade de Vida

Doença genética rara, crônica e progressiva

Deformidades ósseas

Dor crônica

Fraqueza muscular

Fadiga intensa

Limitações funcionais ao longo da vida

Doença permanece **ATIVA**

Doença pode se **AGRAVAR** na fase adulta





Situação atual no SUS

- ✓ Avanço: Único tratamento disponível até 18 anos

Limitação de acesso pela idade

- ✓ Cria barreira significativas
- ✓ Não considerar a natureza permanente da doença
- ✓ Negligenciar os relatos de vida real
- ✓ Ignorar os estudos clínicos

Consequências

- ✓ Pacientes adultos permanecem com dor
- ✓ Perda de mobilidade
- ✓ Complicações progressivas e graves
- ✓ Compromete o cuidado integral

Adultos possuem necessidades clínicas tão relevantes quanto as crianças e adolescentes





Impactos Sociais

Sem tratamento específico:

- ✓ Incapacidade funcional
- ✓ Afastamento do trabalho
- ✓ Redução da produtividade
- ✓ Cirurgias frequentes
- ✓ Dependência de cuidados

Impacto ampliado:

- ✓ Famílias
- ✓ Sistema de saúde
- ✓ Sociedade





Chegamos aos 18!

Continuidade do Cuidado Integral

- ✓ Interrupção aos 18 anos:
- ✓ Perda de ganhos terapêuticos
- ✓ Agravamento dos sintomas

Transição para vida adulta:

- ✓ Momento crítico

Tratamento contínuo é essencial





Reflexões

- ✓ XLH acompanha toda a vida do paciente
- ✓ O acesso e cuidado deve refletir essa realidade da sua jornada
- ✓ Palavra chave: EQUIDADE

A ampliação do acesso para pacientes de todas as idades é o reconhecimento que todos os indivíduos, têm direito ao melhor cuidado disponível e a uma vida com menos dor e mais possibilidades





Muito Obrigada!

Agradeço mais uma vez pela escuta e espero ter contribuído para esse debate.

E reforço: à frente de cada diagnóstico de XLH, há uma vida, há uma pessoa, há uma família.



Conectando Famílias

