

Audiência Pública

ATUAÇÃO DAS ASSOCIAÇÕES NA DEFESA DE
DIREITOS DAS PESSOAS COM DOENÇAS RARAS

LAUDA SANTOS

PRESIDENTE DA AMAVIRARAS; VICE-PRESIDENTE DA FEBRARAS E FUNDADORA
DO ESPAÇO MUNDO RARO

“Bom dia!

Falo aqui representando as associações de pacientes com doenças raras.

Associações que nasceram da dor, mas que hoje se transformaram em **atores fundamentais na construção de políticas públicas de saúde no Brasil.**

Nós escutamos o paciente quando ele ainda não tem diagnóstico, quando ele ainda não tem acesso ao sistema, quando ele ainda não tem respostas.”

“As associações de pacientes realizam um trabalho que muitas vezes não aparece nas estatísticas.

Não substituímos o Estado. Mas muitas vezes **impedimos que ele falhe.**”

Doenças Raras: quando o tempo do Estado não acompanha o tempo da doença

Estamos aqui para garantir que nenhum brasileiro com doença rara seja invisível para o sistema de saúde.”

A força das associações de pacientes - atuamos onde o sistema ainda não chega:

- Escutamos o paciente quando ele ainda não tem diagnóstico
- Orientamos famílias perdidas na jornada do cuidado
- Articulamos médicos, pesquisadores e gestores
- Levamos evidências ao poder público
- Defendemos direitos no Legislativo e no Executivo

Somos parte da solução do sistema de saúde.

Inovação em risco no Brasil

O país precisa alinhar **Ministério da Saúde e ANVISA** para estimular inovação.

Sem previsibilidade regulatória:

- investimentos em pesquisa clínica deixam o país
- centros de pesquisa perdem oportunidades
- pacientes perdem acesso antecipado a tratamentos

Inovação em saúde precisa de segurança jurídica.

Quando a burocracia custa vidas

Hoje enfrentamos atrasos graves em registros de medicamentos e dispensação

Exemplo - **ANVISA:**

- Medicamento para **Mucopolissacaridose II (Síndrome de Hunter); Ataxia de Friedreich; Epilepsia.**
- Registro aprovado, aguardando publicação há cerca de **5 anos – para Hunter**

(Mesmo após o cumprimento das exigências técnicas pela agência reguladora)

Exemplo – **MINISTÉRIO DA SAÚDE:**

Publicação de PCDT no DOU e Dispensação do medicamento aprovado (não cumprimento dos 180 dias)

Exemplo – **SECRETARIA DE SAÚDE DO DF**

Falta de Protocolos de Cuidado para pacientes com doença rara do DF

Pacientes raros não podem esperar o tempo da burocracia.

Pesquisa clínica não é custo. É investimento.

A pesquisa clínica traz:

- acesso antecipado à inovação
- desenvolvimento científico nacional
- investimento em centros de pesquisa
- economia significativa para o SUS

Mesmo assim:

O Brasil é o único país no mundo que cobra quatro impostos na importação de medicamentos para pesquisa clínica.

As associações também constroem políticas públicas

Exemplo concreto no Distrito Federal:

Hospital de Referência em Doenças Raras

- obra aguardada desde 2016
- licitação destravada após análise do TCDF
- construção próxima de iniciar

Com apoio de:

- Dep. Eduardo Pedrosa
- Vice-Governadora Celina Leão
- Senadora Damares Alves

Essa é uma conquista da mobilização das famílias e das associações.

Brasília já é referência nacional na Triagem Neonatal

O Distrito Federal é exemplo em política pública:

Triagem Neonatal ampliada

Brasília tria **63 doenças raras tratáveis**, nem sempre lembrada em eventos políticos

Uma das maiores coberturas do país.

Diagnóstico precoce salva vidas e reduz custos para o sistema.

As associações apoiam a formação de profissionais da área de saúde

Programa Institucional de Referência em Doenças Raras Complexas

Diferenciais Estratégicos:

Integração entre clínica, genética e gestão; Ênfase na redução da odisseia diagnóstica;

Simulação estruturada de linha de cuidado; IA aplicada ao apoio diagnóstico;

Formação de articuladores da rede; Potencial de internacionalização

Sem profissionais capacitados, não existe política pública eficaz.

O DF pode deixar de reagir à judicialização e passar a liderar uma política estruturada, inovadora e sustentável em doenças raras

O que precisamos agora

- 1) Celeridade regulatória na ANVISA
- 2) Fortalecimento da pesquisa clínica no Brasil
- 3) Estruturação real dos centros de referência
- 4) Reconhecimento institucional das associações
- 5) Fornecimento de Medicamentos incorporados no SUS
- 6) Publicação do Estatuto da Pessoa com Doença Complexa Crônica Rara – PL 4058/23
- 7) Publicação do Estatuto dos Direitos do Paciente – PL 2242/22

Pacientes raros não podem esperar.

Convite institucional

Em nome do Deputado Distrital Eduardo Pedrosa, convido-os para a

Solenidade de Doenças Raras

13 de março – 14h30

Realização: Frente Parlamentar de Doenças Raras da Câmara Legislativa do

Distrito Federal

Vamos continuar essa construção juntos.

Muito Obrigada e até breve!