

Quem sou eu? Afetada por uma doença rara Filha de um casal de raros, numa família rara Presidente da Associação Carioca de Distrofia Muscular



### 2) Quantos somos?

Não há dados epidemiológicos sobre a prevalência dessas doenças no Brasil, estima-se que sejamos 10 milhões de brasileiros

## O que são medicamentos órfãos?

Aqueles que se destinam a um número pequeno de pacientes, são em geral muito caros.

## Por que são órfãos?

A indústria farmacêutica tem pouco interesse em desenvolver e comercializar medicamentos destinados apenas a um pequeno número de doentes.

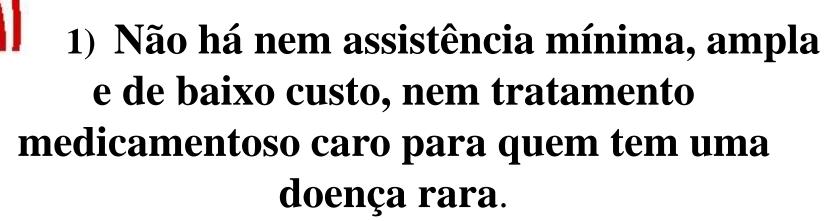
### **CUSTO ALTO**



# Por que ocorre a judicialização? Pacientes e Associações são os vilões da judicialização?

# •O que tem sido feito pelo governo brasileiro?

O governo brasileiro historicamente vem tratando o atendimento aos pacientes com doenças raras de forma negligente e com enorme descaso.



Exames laboratoriais

Equipamentos e aparelhos

Atendimentos especializados de
fisioterapia, psicologia, fonoaudiologia,
terapia ocupacional, embora nada dicerción de acesso fácil no SUS

Ausência de Protocolos e Diretrizes Clínicas (PCDTs) ( sem protocolos os medicamentos não podem ser incorporados nem distribuídos no SUS)





# ASPECTO NEGATIVO DA JUDICIALIZAÇÃO PARA O PACIENTE

- -Longo tempo de espera
- Descontinuidade do tratameno

#### -PARA O GOVERNO

- torna o medicamento ainda mais caro
- \*dificuldade de negociação
- \* planejar para lidar com estoques
- •sujeita-se a monopólios de distribuição dos medicamentos
- •perde a capacidade de administrar compras



#### AINDA ALGUNS QUESTIONAMENTOS:

Por que tanta dificuldade para a incorporação de medicamentos que já passaram por rigorosíssimos testes de segurança e efetividade nos órgãos internacionais FDA (EUA) e EMA (Comunidade Europeia)?

Será que não há necessidade de uma profunda revisão no processo de aprovação de medicamentos pela Anvisa?



•É correto negar o acesso a um medicamento que faz a diferença entre a vida ou a morte, ou mesmo àquele que apenas melhora a qualidade de vida, em especial quando não há no mercado nenhuma alternativa tão eficiente como aquele medicamento?

•Não é relevante o fato de um medicamento ser capaz de poder manter o paciente em boas condições para ter acesso à geração seguinte de medicamentos que virão; certamente mais eficientes?



### Soluções:

Implantar imediatamente as ações previstas na Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras

Desenvolver e implementar em caráter de urgência o maior número possível de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas para doenças raras.



Melhorar a eficiência e agilidade da ANVISA o que evitaria muito a judicialização por pura lentidão e burocracia.

Rede Nacional de Vigilância Epidemiológica específica para doenças raras.





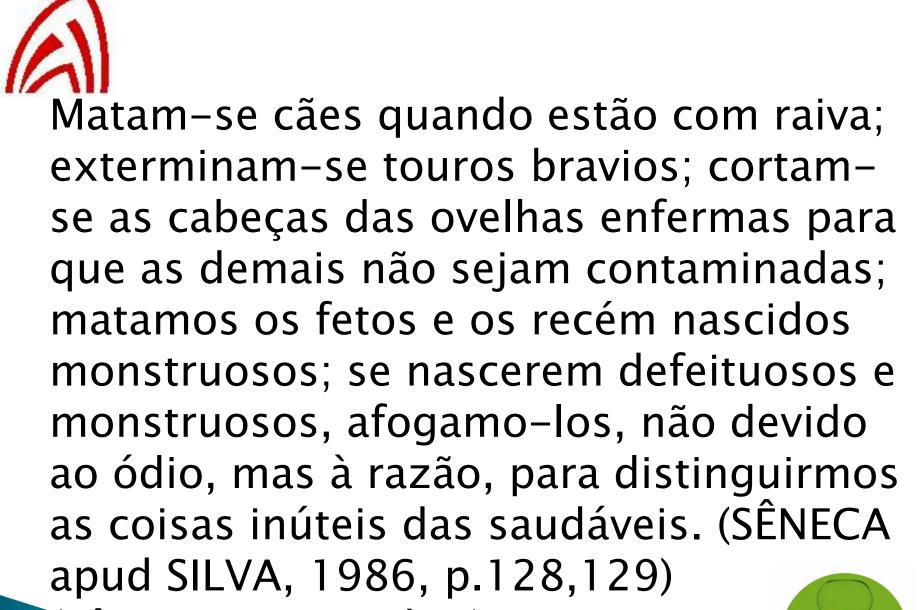
Novos modelos de incorporação de medicamentos órfãos (não podemos incorporar à lista do SUS apenas aqueles que são custo-efetivos)

Investir no desenvolvimento e na pesquisa de medicamentos para doenças rara

O país precisa definir quais são as prioridades

Acabar com a corrupção





(Sêneca- 4 a 65 d.C.)



### Boaventura de Souza Santos:

"Temos o direito de ser iguais quando a nossa diferença nos inferioriza; e temos o direito de ser diferentes quando a nossa igualdade nos descaracteriza. Daí a necessidade de uma igualdade que reconheça as diferenças e de uma diferença que não produza, alimente ou reproduza as desigualdades."



# OBRIGADA! e-mail:

acadim@uol.com.br

Tel: (21) 97673-6651

