



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 26ª REUNIÃO, EXTRAORDINÁRIA, DA COMISSÃO DE DIREITOS HUMANOS E LEGISLAÇÃO PARTICIPATIVA DA 4ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 23 DE ABRIL DE 2026, QUINTA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR NILO COELHO, PLENÁRIO Nº 2.

Às dez horas e doze minutos do dia vinte e três de abril de dois mil e vinte e seis, no Anexo II, Ala Senador Nilo Coelho, Plenário nº 2, sob a Presidência da Senadora Damares Alves, reúne-se a Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa. Deixam de comparecer os Senadores Ivete da Silveira, Eduardo Braga, Sergio Moro, Marcos do Val, Plínio Valério, Cid Gomes, Jussara Lima, Mara Gabrilli, Ana Paula Lobato, Jaime Bagattoli, Magno Malta, Marcos Rogério, Astronauta Marcos Pontes, Fabiano Contarato, Rogério Carvalho, Humberto Costa e Tereza Cristina. Havendo número regimental, a reunião é aberta. Passa-se à apreciação da pauta: Audiência Pública Interativa, atendendo ao requerimento REQ 41/2026 - CDH, de autoria Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF), Senador Styvenson Valentim (PSDB/RN). Finalidade: "Debater a equidade no acesso ao tratamento do Raquitismo Hipofosfatêmico Ligado ao Cromossomo X (XLH) no Sistema Único de Saúde (SUS), especialmente no que se refere à continuidade do cuidado ao longo do ciclo de vida e à análise das políticas públicas relacionadas ao acesso terapêutico para pacientes adultos". Participantes: Maria Helena Vaisbich, Médica Nefrologista. Mestre e Doutora em Nefrologia pela EPM/UNIFESP; Gabriela Hidalgo, Assessora do Departamento de Atenção Especializada e Temática do Ministério da Saúde; Maria Lúcia de Almeida Moura Gomes, Paciente, irmã e tia de paciente; Isaura Terezinha da Silva, Paciente e mãe de paciente; Rafaelli Cardoso Silva, Mãe, cuidadora e diretora da instituição Mundo XLH – Associação de Apoio à Família e Pessoas com Raquitismo Hipofosfatêmico Ligado ao Cromossomo X e Outras Doenças Raras; Rodrigo de Araújo da Silva, Secretário da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte e Nordeste - FEDRANN; e Rafael Poloni, Tecnologista - Representante do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde - SECTICS/CONITEC/MS. Resultado: Audiência pública realizada. Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às treze horas e dois minutos. Após aprovação, a presente Ata será assinada pela Senhora Presidente e publicada no Diário do Senado Federal, juntamente com a íntegra das notas taquigráficas.

Senadora Damares Alves



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Presidente da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa

Esta reunião está disponível em áudio e vídeo no link abaixo:
<http://www12.senado.leg.br/multimidia/eventos/2026/04/23>

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Fala da Presidência.) – Bom dia!

Declaro aberta a 26ª Reunião, Extraordinária, da Comissão Permanente de Direitos Humanos e Legislação Participativa da 4ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura, que será realizada nesta data, 23 de abril de 2026.

A audiência pública será realizada nos termos do Requerimento 41, de 2026, aqui, da CDH, de minha autoria, para discutir a equidade no acesso ao tratamento do raquitismo hipofosfatêmico ligado ao cromossomo X (XLH) no Sistema Único de Saúde, especialmente no que se refere à continuidade do cuidado ao longo do ciclo de vida e à análise das políticas públicas relacionadas ao acesso terapêutico para pacientes adultos.

A reunião será interativa, transmitida ao vivo e aberta à participação dos interessados por meio do Portal e-Cidadania, na internet, em senado.leg.br/ecidadania, ou pelo telefone da Ouvidoria, 0800 0612211 – e nós já estamos recebendo muitas perguntas via internet.

O relatório completo, com todas as manifestações, estará disponível, assim como as apresentações que forem utilizadas pelos expositores.

Antes de passar a palavra aos nossos convidados, antes de chamá-los para a mesa, eu comunico que, na exposição inicial, cada convidado poderá fazer o uso da palavra por até dez



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

minutos, e ao final a gente devolve, para agradecimentos e considerações finais, porque é possível que um convidado fale alguma coisa e queira completar ou tenha uma pergunta. Então, ao final, a gente devolve, para as considerações finais.

Nós teremos uma mesa única, que será composta por cinco pessoas presenciais e uma pessoa que participará via *online*.

Assim, eu tenho a honra de convidar, para compor a mesa, para se sentar ao meu lado – à direita, que é um bom lado... Falei nada. Vocês estão rindo do quê? (*Risos.*)

A Dra. Maria Helena Vaisbich, médica nefrologista, Mestre e Doutora em Nefrologia pela EPM/Unifesp.

Doutora, que alegria recebê-la na Comissão! (*Pausa.*)

Que honra, Doutora! É uma honra ter a senhora com a gente. Uma honra!

Para se sentar ao meu outro lado, eu convido Maria Lúcia de Almeida Moura Gomes, paciente, irmã e tia de paciente.

Que alegria recebê-la aqui, Maria Lúcia! Que bom que você está aqui, com a gente hoje! Seja muito bem-vinda!

Gente, no meu tempo, quando a gente chamava alguém para a mesa, a gente batia palmas. (*Palmas.*)

Que alegria que a senhora esteja aqui!

Sente-se aqui, Maria Lúcia.

Convido também, para compor a mesa, Isaura Terezinha da Silva, paciente e mãe de paciente.

Palmas para a Isaura também. (*Palmas.*)

Bem-vinda, Isaura.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (*Fora do microfone.*) – Quero mostrar as...



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Isso! Tem que mostrar – tem que mostrar.

Pode até ficar de pé na hora da sua fala também.

Bem-vinda.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (*Fora do microfone.*) – Que é isso! Isso aqui é uma conquista.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Vamos mostrar conquistas.

Quero convidar à mesa também Rafaelli Cardoso Silva, mãe, cuidadora e diretora da instituição Mundo XLH – Associação de Apoio à Família e Pessoas com Raquitismo Hipofosfatêmico Ligado ao Cromossomo X e Outras Doenças Raras.

Que prazer, Rafaelli! (*Palmas.*)

(*Intervenção fora do microfone.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Aqui é um bate-papo entre a gente, fique tranquila. Aqui é uma conversa, um bate-papo.

Tenho a alegria de convidar meu amigo, parceiro de luta, que está aqui nos corredores com a gente, já merece até um bóton de Senador: Rodrigo de Araújo da Silva (*Palmas.*), Secretário da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte e Nordeste.

Bem-vindo, Rodrigo.

Nós ainda temos a honra de chamar para compor a mesa, de forma *online*, Rafael Poloni, tecnologista, Representante do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde.

Rafael já esteve com a gente em outra audiência.

Rafael, seja bem-vindo.

Já quero agradecer ao Ministério da Saúde por tê-lo enviado como representante.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Prepare caneta e papel aí, Rafael, porque nós vamos fazer um monte de pedidos para você.

Bem-vindo.

Por uma questão de lógica, Rafael, nós vamos deixá-lo por último, não porque você está longe. Por quê? Seria interessante, Rafael, a gente ouvir as famílias, a instituição, a sociedade civil primeiro, que, com certeza, eles têm demandas para o Ministério da Saúde. Então, a gente vai deixar você para falar por último, a não ser que você tenha uma agenda e precise muito falar antes, mas, para um bom andamento da audiência, nós vamos deixar você por último.

Se você precisar falar antes, faça contato no *chat* com a Secretaria.

Composta a nossa mesa, eu quero explicar por que esta audiência está acontecendo na Comissão de Direitos Humanos do Senado Federal e não na Comissão de Saúde.

Esta é a Comissão que discute direitos. Esta é a Comissão que tem, como uma de suas atribuições, o cuidado com a família, o direito da família, o cuidado com o paciente, os direitos do paciente. Então, é por isso que nós estamos fazendo aqui.

Nós vamos fazer este debate à luz dos direitos: quais direitos estão sendo violados dos pacientes? Quais direitos das famílias estão sendo violados?

Nós não vamos nos debruçar aqui no tratamento, no remédio – é claro que eles vão falar do não acesso ao tratamento –, nós não vamos ter um debate técnico, científico sobre a doença. Nós vamos falar sobre os desafios que as famílias e os pacientes estão encontrando no Brasil.

Temos uma médica que vai nos dar uma abordagem mais científica, mas ela vai falar do coração.

Quero desafiá-la, Dra. Maria Helena, a falar mesmo do coração. O que é que a senhora está vendo no dia a dia? Como os seus pacientes têm sido tratados no dia a dia? Quais são as maiores reclamações dos seus pacientes? Como a senhora tem visto o desafio das famílias, no dia a dia, para manter os seus filhos, para manter o tratamento, para não desistir do tratamento? E o que é que a gente pode melhorar no Brasil?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nesta Comissão, depois desta audiência, nós faremos encaminhamentos: nós vamos produzir um relatório desta audiência.

Não é só uma audiência para a gente debater e está aparecendo na TV – e eu espero que a gente esteja bem bonitinho na TV –, mas nós não temos muita coisa bonita para falar hoje. Com certeza, nós vamos ter grandes desabafos aqui. Nós vamos ter tristezas para colocar na mesa, mas a gente vai colocar nossas tristezas, os nossos desabafos, os nossos desafios, numa perspectiva de esperança de que esta audiência possa trazer para as famílias um norte, possa trazer para as famílias uma porta, possa trazer para as famílias – quem sabe? – o início de um grupo de trabalho dentro do Senado, se for preciso, Rodrigo. Que esta audiência pública seja um marco na história dos pacientes, das famílias e dos médicos também.

Debater a equidade no acesso ao tratamento do raquetismo hipofostatêmico – olha, eu estou ficando boa. Falei certinho?

(Intervenção fora do microfone.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ligado ao cromossomo XXLH, no Sistema Único de Saúde, especialmente no que se refere à comunidade do cuidado ao longo do ciclo de vida e análise das políticas públicas relacionadas ao acesso terapêutico para pacientes adultos, é necessário e oportuno fazer este debate.

A Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa do Senado realiza a presente audiência no exercício de suas competências constitucionais e regimentais, com objetivo de promover o debate qualificado sobre matérias de relevante interesse público, em especial aquelas relacionadas à promoção e à proteção dos direitos humanos.

O tema que hoje nos reúne à equidade no acesso ao tratamento do raquetismo hipofostatêmico, ligado ao cromossomo X, no âmbito do Sistema Único (SUS), insere-se no núcleo essencial do direito fundamental à saúde, previsto no art. 196, da Constituição Federal, e faz diálogo diretamente com os princípios da dignidade da pessoa humana, da integralidade, da assistência e da justiça social.

A patologia conhecida como XLH é uma doença genética rara, crônica e progressiva, que compromete o metabolismo do fosfato e afeta a mineralização óssea ao longo de toda a vida,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

com repercussões significativas na mobilidade, na autonomia e na qualidade de vida dos pacientes.

Embora se trate de uma condição rara, é importante lembrar que o tema das doenças raras envolve um conjunto amplo e complexo de enfermidades.

Segundo definição adotada no Portaria do Ministério da Saúde 199, de 2014, essas doenças afetam até 65 pessoas por 100 mil indivíduos, e o próprio Ministério dos Direitos Humanos e da Cidadania registra uma estimativa de que existe entre 6 mil e 8 mil doenças raras documentadas.

No caso específico do XLH, embora a sua prevalência seja reduzida, trata-se de uma doença rara com ocorrência estimada em aproximadamente um caso para cada 20 mil indivíduos, conforme dados da Endocrine Society. Seus impactos são profundamente relevantes. Pacientes adultos frequentemente enfrentam dor crônica, deformidade óssea, limitação funcional progressiva e perda de capacidade laboral, com repercussões diretas sobre suas inserções social e econômica.

Inclusive, uma de nossas pacientes veio com uma bermuda até a altura do joelho porque ela quer mostrar – ela está sentada aqui – exatamente o que eu li aqui. Talvez algumas pessoas que ouviram eu falar que é um caso em cada 20 mil indivíduos devem estar dizendo: "Ah, mas é um em 20 mil". Você só fala isso porque esse um não está dentro da sua casa, porque esse um não é você.

Sob a perspectiva dos direitos humanos, estamos diante de uma situação que afeta de forma desproporcional um grupo em condição de vulnerabilidade que depende da atuação coordenada do Estado para garantir acesso equitativo a diagnóstico, tratamento e acompanhamento contínuo. A ausência ou interrupção de tratamento adequado compromete não apenas a saúde física, mas também a autonomia, a dignidade e o projeto de vida desses pacientes.

No plano de saúde pública, os impactos são igualmente significativos. A não continuidade do tratamento pode resultar em agravamento do quadro clínico, aumento da demanda por procedimentos ortopédicos, maior utilização de serviços especializados e elevação dos custos



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

indiretos associados à incapacidade laboral e à dependência assistencial. Estudos internacionais indicam que as doenças raras representam uma carga econômica significativa para os sistemas de saúde e para a seguridade social, podendo gerar custos até dez vezes superiores aos observados em doenças de maior prevalência, sobretudo quando não há acesso a tratamento adequado.

É neste contexto que se evidencia uma lacuna relevante na política pública atualmente vigente. O medicamento burosumabe encontra-se incorporado ao SUS para tratamento pediátrico, conforme deliberações da Conitec. Entretanto, não há previsão de continuidade terapêutica para pacientes adultos, o que gera uma ruptura assistencial no momento da transição da adolescência para a fase da vida adulta. Essa descontinuidade não representa apenas uma limitação técnica, mas um descompasso entre política pública e a realidade clínica da doença, que persiste ao longo de toda a vida.

Conforme evidenciado nos documentos que fundamentam esta audiência, há evidência científica de que o uso do medicamento em adultos pode promover melhora da dor, da mobilidade e da qualidade de vida, além da normalização dos níveis séricos de fosfato. Desta forma, o debate que ora se propõe não trata da criação de uma nova política pública, mas da necessidade de garantir coerência, continuidade e integralidade à política já existente, à luz dos princípios que regem o Sistema Único de Saúde.

Nesse cenário, a realização desta audiência pública se revela instrumento essencial para o aprimoramento do debate legislativo e para o fortalecimento do diálogo entre o Parlamento, o Poder Executivo, a comunidade científica e a sociedade civil. Reafirmamos, portanto, o compromisso desta Comissão com o acompanhamento dessa matéria, com a promoção de políticas públicas baseadas em evidências científicas e com a defesa intransigente da dignidade da pessoa humana.

Com base em tudo isso, desde que publicamos a realização da audiência, nós estamos recebendo perguntas e comentários que surgiram no Brasil inteiro. E aí, queridos convidados, querido Governo, mostra o quanto esse tema chamou atenção e a necessidade de discussão de forma séria sobre esse tema. É isso que nós vamos fazer nesta audiência.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E aí, Dra. Maria Helena, já fazendo o seguinte desafio: como ter uma política pública eficiente, eficaz, para atendimento aos seus pacientes, num país deste tamanho, num país com uma fronteira enorme, num país em que a gente recebe imigrantes a cada minuto? Nós já tivemos um momento em que entravam, por dia, lá na fronteira da Venezuela com Brasil, lá na Operação Acolhida, 980 pessoas por dia, em torno de 30 mil pessoas por mês entravam no Brasil. Como discutir o atendimento a esses pacientes num país com tantos povos tradicionais? Como discutir sobre tratamento e atendimento às pessoas que estão em aldeias indígenas? Como é que está o diagnóstico das crianças na aldeia indígena com raquitismo? Foram diagnosticadas? Como está a vida dessa criança em aldeia indígena?

Eu tenho uma história muito triste, não vou colocar agora essa história, mas, se preciso, no final da audiência, eu falo o que aconteceu com uma criança de que eu cuidei, identificada com raquitismo numa aldeia. Só vou iniciar dizendo que tem povos que não aceitam, tem povos que não as querem porque elas não vão caçar, pescar na mesma qualidade que os outros meninos, que as outras meninas.

Como a política de atendimento desse paciente está chegando à aldeia? Como está sendo o diagnóstico nos quilombos? Como está, Rodrigo, sendo o atendimento desses pacientes na região ribeirinha? Estou falando aqui agora com um grupo de pessoas que vivem em área urbana e acho que alguns moram aqui no grande centro. Dra. Maria Helena, como estão os pacientes na região ribeirinha? Eles estão tendo acesso a medicamento? E é aí que eu quero que o nosso representante de Governo tenha uma atenção especial. Em áreas indígenas, quilombos, áreas ribeirinhas, áreas de fronteiras, como esses pacientes estão sendo alcançados?

Se os pacientes, que estão aqui na mesa, que moram em área urbana, que têm acesso a uma Senadora, que têm acesso ao Senado Federal, que têm acesso às instituições, como a que o Rodrigo preside, que têm acesso a uma médica extraordinária, têm tanto a reclamar, como estão os pacientes que estão em lugares distantes?

Nós vamos fazer essa discussão, e essa discussão, senhores, é pensando nos senhores que estão aqui na mesa, mas pensando naqueles que não têm voz, lá na ponta, naqueles que nunca conseguiram chegar perto de um Parlamentar ou de uma autoridade para contar sobre a



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

interrupção do tratamento, sobre a dor, sobre o sofrimento do dia a dia. Que possamos fazer um bom debate a partir de agora!

Nesse sentido, eu passo a palavra por dez minutos para a nossa querida médica, a Dra. Maria Helena. Doutora, eu falei certo o seu nome: Vaisbich?

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH (*Fora do microfone.*) – Vaisbich.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Eu estou ficando boa nisso. Vaisbich.

Ela é médica nefrologista, Mestre e Doutora em Nefrologia da Unifesp. Imagine a qualificação dessa mulher, imagine o que ela tem para colaborar com este debate.

Doutora, dez minutos. Muito bem-vinda e obrigada por ter aceitado o convite para estar conosco nesta mesa hoje.

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH (Para expor.) – Eu agradeço imensamente, Senadora Damares. Eu sou uma admiradora sua. Eu tenho um Instagram que se chama Iluminando Raras, e eu tenho até publicada uma fala sua sobre as doenças raras. Eu acho admirável e acho uma oportunidade.

Infelizmente, eu vou passar do tempo. Não vou conseguir falar em dez minutos, porque, além da parte técnica, eu sou uma batalhadora dos pacientes que têm doenças raras, eu sou nefrologista, então, principalmente de quem tem envolvimento renal.

Eu participo dessa empreitada de tratamento dos pacientes com XLH já há muitas décadas e eu vi a falta de tratamento específico. A vantagem de se ficar velha é esta: a gente tem história. Então, eu vi o que era antes de existir o tratamento específico, o que acontecia com essas pessoas, e a gente tem a possibilidade agora de ter um tratamento-alvo. Eu já participei de várias reuniões da Conitec e, na Conitec, muitas vezes você escuta falar: "Não vem com essa história, porque o remédio está agindo na fisiopatologia". Gente, o remédio tem que agir na fisiopatologia. Então, a gente tem que ir com essa história.

Então, esse é o único remédio, no momento, disponível no mundo para tratar efetivamente pacientes com XLH. Eu não vou falar das crianças, porque, quando foi incorporada



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

a medicação para as crianças, eu fui a médica que participou da reunião da Conitec. Eu fiquei parcialmente feliz, porque foi incorporado para as crianças, mas parcialmente decepcionada, porque a gente fez um grande esforço naquela ocasião para já mostrar o quanto os pacientes adultos sofrem. E não só sofrem na sua parte óssea, porque essa doença é sistêmica, ela envolve uma fisiopatologia que não é só o fósforo baixo.

Vou aproveitar para apresentar os meus milhões de eslaides, mas que têm bastante fotos. Então, não vou...

Eu acho que a primeira coisa aqui que eu gostaria de mostrar é a foto que eu coloquei – isso aqui não aponta, não é? –, porque eu acho que isto está faltando para os pacientes que têm doenças raras: está faltando a Justiça ser equilibrada e cega.

E o que é o XLH?

Voltou o eslaide.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Quer que eles passem, Doutora?

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Ah, quero.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Não é melhor vocês passarem para ela?

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Bom, eu também falo até sem eslaide.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Está bom.

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – O XLH é uma doença em que a gente tem a perda da regulação do fósforo no sangue – que é o sérico –, na corrente sanguínea. E por que o fósforo é importante? Porque o fósforo, além de ser, em grande parte, em estoque ósseo e em estoque dentário, simplesmente faz parte do ATP. Quem já ouviu falar do ATP? O ATP é a molécula de energia do nosso organismo, é o que faz o suprimento energético. Ele está nas membranas celulares de todas as células – e subcelulares –, além de ele ser parte do material genético.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, ele é... Já fiquei até com a boca seca, porque você falou para eu falar com o coração. (Risos.) Então, o material genético é composto pelo fósforo. O fósforo tem que ser mantido no nosso organismo... Pode passar. Ele tem que ser mantido numa faixa estreita. Agora, pode passar todos os eslaides.

Quando a gente tem uma diminuição do fósforo que a gente ingere, cai o fósforo no sangue. E o que o nosso organismo faz? Ele ativa a produção da forma da vitamina D ativa, que vai no intestino e aumenta a absorção de fósforo e cálcio. Ao mesmo tempo, do lado direito, a gente vê, na célula renal, aumentar a absorção tubular renal – por isso que eu sou nefrologista – e diminuir a perda do fósforo urinário. Tudo isso é o objetivo do nosso organismo quando cai o fósforo no sangue, para tentar recuperar o fósforo que está sendo perdido.

Porém, nos pacientes que têm XLH, surpreendentemente, esses mecanismos não funcionam. Então, cai o fósforo, mas a gente não tem um aumento da produção da forma ativa da vitamina D, e o rim continua sempre perdendo o fósforo na urina. Quando eu fazia o tratamento que era proposto anteriormente, que era dar a vitamina D e o fósforo, eu não resolvia o problema, porque eu dava o fósforo, mas o paciente continuava perdendo aquele fósforo urinário. Então, aquele aumento no sangue era, na verdade, transitório, por quê? Porque eu não resolvia o problema. O que aconteceu na... Posso ficar em pé?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Pode, Doutora. Tem microfone para ela?

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Na verdade, foi descoberto depois que o que gera... Eu estou acostumada a dar aula em pé.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Sim, Doutora.

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – O que gera a doença é um fator de crescimento que se chama FGF23. Então, a partir do momento em que a gente identificou essa glicoproteína, que é a causa da... É um hormônio fosfatúrico, isto é, estimula a perda do fósforo na urina. E ela inibe a síntese da forma ativa da vitamina D. Aí, ficou extremamente claro...

Maravilha.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Pode usar também aqui a frente se quiser, Doutora.

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Está bem.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Está na sua sala. Não é isso, gente? (*Risos.*)

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Estou me achando já.

Então, e aí... Esqueci.

E isso aqui é muito importante porque essa é a causa da doença. Não adianta eu querer tapar o sol com a peneira; só dar vitamina D ou só dar fósforo.

Pode passar para o próximo.

Esse é o problema. O FGF23, o que ele faz? Ele inibe... Fiquei na frente?

(Intervenção fora do microfone.)

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Ele inibe a reabsorção, os transportadores que carregam o fósforo da luz, onde se forma a urina, para dentro da célula renal. Então, ele inibe aqui, que é a absorção, os transportadores que absorvem o fósforo que for filtrado, e ele inibe a enzima que age formando a vitamina D ativa, que é quem vai ao intestino e absorve o fósforo e o cálcio. É muito simples o problema, a gente só precisa dar o remédio certo.

Além disso, ele estimula uma enzima que degrada a forma ativa da vitamina D. Então, o que acontece com esse paciente? Ele fica permanentemente com a vitamina D baixa e o fósforo se perdendo na urina, com hipofosfatemia.

Pode passar. Pode passar todos. Pode ir para a frente.

E essa é uma paciente, eu tenho o histórico dela, ela me permite... Eu vou tentar passar. E ela me permite mostrar as fotos dela.

A doença começa na infância. Sorte de quem é diagnosticado na infância, porque tem muito paciente que fica perambulando por serviços médicos sem diagnóstico, como a senhora



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

lembrou, não só essas populações mais específicas, mas muitas pessoas em cidades grandes, porque tem falta de educação médica em relação à doença. Começa pequenininha a ter essa dificuldade da marcha, entortamento dos membros. E a vida da pessoa é essa, até que ela chega a mais de 30 anos de idade tendo feito dez cirurgias nos membros inferiores e tem uma dificuldade e anda de muleta. Isso dificulta para qualquer pessoa trabalhar, estudar, fazer uma família, criar os filhos.

Limitações, dificuldade... Várias limitações, várias cicatrizes. Essa é a perna de uma paciente com várias cirurgias.

O que acontece então? A doença não é uma doença da pediatria; por isso, quando foi incorporada para as crianças, eu fiquei parcialmente feliz, porque é uma doença que persiste no adulto. A hipofosfatemia é crônica, e essa substância, que é o FGF23, permanece desregulada. Então, essa doença não tem fim. A doença óssea e odontológica persiste, mas também esses pacientes têm outras manifestações.

Isso é um paciente adulto. Então, na criança a gente fala raquitismo, mas no adulto a gente fala osteomalácia, porque já se fecharam as cartilagens de crescimento, mas a doença é a mesma. A gente tem, olhe, o osso totalmente frágil, desmineralizado, cheio de fraturas e pseudofraturas, que são a quebra do osso em cima dele mesmo, por fragilidade, que podem acometer vários lugares, mas veja isto: 40% dos casos, no quadril e nos pés. Como é que as pessoas vão se movimentar?

Não dá em dez minutos.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Fica tranquila.

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Aí, olha isto: desalinhamento e defeito na cartilagem. Essas pessoas, se você comparar... Aqui é animal, mas só para mostrar que o doente tem uma cartilagem, uma espessura da cartilagem menor do que os controles. Ele tem uma fragilidade enorme.

Uma das complicações que acontece na idade adulta, gente, é calcificação de ligamentos e tendões. Isto aqui, esta proeminência é calcificação do tendão de Aquiles. Isso, eu vou mostrar



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

em paciente meu com trinta e poucos anos de idade. Essa pessoa merece ter a oportunidade de ser tratada, porque isto aqui é uma dor tremenda. É uma pessoa incapacitada. Olha: 74% acontecem nos tornozelos e mais de 50% nos joelhos.

E a gente ainda pode ter a calcificação de um ligamento na coluna, que leva a uma compressão com estenose da medula. Essa pessoa tem que ser operada para liberar a medula espinhal.

Então, eu estou enfatizando e falei que eu ia passar dos dez minutos, porque a doença não é só o osso. Ela é muito grave, não é, Lúcia?

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – É, Doutora.

A SRA. MARIA HELENA VAISBICH – Isto é outra complicação. Esta é aquela mesma moça que eu mostrei desde criança. Esta complicação é gravíssima. Isto aqui é a malformação de Chiari. Eu coloquei um desenho aqui, mas eu vou mostrar na paciente. Aqui a gente tem, olha, o cerebelo, que desce para a coluna espinhal. Nesses pacientes, pela fragilidade óssea, a gente tem uma entrada, como se fosse uma hérnia, saindo do cerebelo para dentro da coluna. Isto aqui tem que ser operado. Em muitos pacientes que têm cefaleia crônica e que são diagnosticados como se fosse enxaqueca, pode ser essa malformação de Chiari. Essa paciente era diagnosticada com enxaqueca. Eu pedi o exame dela, olha o que eu vi. O cerebelo entrando dentro da coluna.

Então, a doença é extremamente grave.

Isto aqui é o pai de uma paciente, 38 anos de idade. Foi tratado, diagnosticado com quatro anos. Olha isto. Isto aqui é a calcificação, olha. Isto não é do livro, não é da internet. Isto aqui é um paciente que permitiu que eu mostrasse a radiografia dele. Olha isto. Várias cirurgias. É uma pessoa de 38 anos de idade, na fase ativa da vida dele. Esse paciente começou a ser tratado. Ele já usa medicação, via judicial obviamente, há mais de dois anos. Ele perdeu peso. Hoje em dia, ele faz atividade física.

Como é que eu vou dizer que o remédio não funciona, gente, se eu acompanho o paciente? Eu estou aqui por causa disso. Eu parei aqui, eu estava a caminho de Recife, fiz uma



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

baldeação aqui, Senadora, para falar para a senhora: ajuda essas pessoas. Porque não é justo a pessoa ter uma vida assim.

Olha a parte dentária. Eles têm alterações dentárias superimportantes.

Eles perdem os dentes, fazem abscessos espontâneos. Olhem o que eu vou mostrar para vocês. Olhem a fístula que saiu da gengiva para o céu da boca. Aspiramos. Sabem o que era? Pus. Então, os pacientes têm abscessos espontâneos.

Novamente. Olhem. Autorizado pela paciente.

Os pacientes querem mostrar, por isso que ela veio de bermuda. Por quê? Porque eles não estão só pensando neles, estão pensando naqueles que também estão chegando, em outras pessoas diagnosticadas.

E aqui começam algumas coisas que estão sendo recentemente descobertas. Além da surdez, que a gente pode ter em um grupo grande de pacientes adultos, de 48% a 82% de adultos e só 9% de crianças.

Outra coisa importante: a gente está estudando se esses pacientes têm maior propensão a doenças cardíacas e vasculares. Por quê? Por causa do FGF23. O problema do FGF23 é que ele não age só no osso, não age só no fósforo. Ele age, quando aumentado, nos cardiomiócitos e isso é uma coisa que ainda está sendo explorada. Então, o que os japoneses acharam?

Esse é o aumento da massa do ventrículo esquerdo.

Olhem, esse é o trabalho japonês que eu quero mostrar. Olhem isso: 22 pacientes e pacientes controles em azul. Olhem a hipertensão arterial. De 20 a 29 anos já é maior do que nos controles normais; de 30 a 39 anos. E olhem aqui. Quando chega à década de 40 anos, olhem o que acontece: a gente tem uma proporção muito maior de pacientes com hipertensão arterial do que na população geral.

Então, a doença XLH não é uma doença só de criança, é uma doença de adulto. O FGF23 permanece desregulado e os estudos clínicos têm evidências suficientes para recomendar o tratamento com burosumabe não somente para as crianças, mas para os adultos, tanto que é



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

aprovado na Anvisa e em outras várias agências reguladoras de saúde no mundo. O Nice, o FDA, o EMA, todos recebem a medicação.

Para mostrar a importância, a gente fez um estudo brasileiro, que foi publicado. Esse estudo mostrou... Exatamente aqui. Foi um critério que a gente fez, brasileiro... Porque a gente não dispõe de todos os exames que tem fora do Brasil, então a gente criou um critério de gravidade de acordo com o comprometimento da mobilidade, a necessidade de uso de analgésicos – porque essas pessoas acabam tendo doença renal secundária de tanto anti-inflamatório não hormonal que causa problema renal – os problemas odontológicos, o número de fraturas e o número de cirurgias. Tudo isso a gente computou no critério de gravidade. E o que a gente observou?

A gente viu aqui que tinham 13 mulheres, gente...

É o anterior.

Volta.

A gente tinha 13 mulheres e 6 homens. Idade do diagnóstico: 6 anos e meio. Gente, os pacientes evoluíram, 100% deles, com dificuldades de mobilidade.

E, olha aqui, escore de moderado a grave, juntando aqueles dados, mais de 60% dos pacientes.

Próximo.

Nefrocalcinose.

Complicação gravíssima que pode ser relacionada à doença, mas tem sido incriminado o tratamento anterior.

Pode ir passando.

Hiperparatireoidismo.

Metade dos pacientes.

Então, o que nós vimos? Esses pacientes que tomavam burosumabe, como eles evoluíram?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Pode passar.

Essa foi a parte laboratorial, tá?

Olha o fósforo inicial. Eles tiveram cerca de um ano e meio, em média, de tratamento. É lógico que isso variou, mas a gente teve um aumento de 1,9 para 2,7. Isso aqui é a significância estatística, só para mostrar que isso foi avaliado.

Vitamina D ativa, que normalmente é baixa.

Antes da medicação. Olha isso! Final, normalizou.

E, aqui, é uma técnica que a gente faz para ver o aumento da absorção renal, naquele lugar que o rim perdia, mostrando que houve aumento significativo. Quando p é menor que 0,05, é porque foi estatisticamente significativo. Além de outros marcadores de complicações, como eu mostrei, que pode ter, da paratireoide, em que a gente teve normalização também.

Então, essa é uma medicação sobre a qual estou mostrando os nossos dados brasileiros. Não é dado de outro país, de outra genética, de outra situação, nem de outra geografia. É do Brasil. Isso está publicado. Está a referência aqui. A gente está tentando dar continuidade a esse trabalho e o que a gente observa é que os pacientes adultos aumentaram a estatura significativamente.

Então, assim, você não esperava mais que essas pessoas fossem crescer. Aumentou a estatura dos pacientes adultos. Olha, significativo.

O que mais? Os pacientes tiveram uma normalização, praticamente, da reabsorção renal do fósforo.

Então, a medicação funciona adequadamente.

As minhas considerações finais estão representadas aqui, que são justamente a razão de a gente estar na Comissão de Direitos Humanos. Acredito que isso significa que todos temos direitos, independentemente do que nós somos.

Então, a nossa perspectiva é que, de uma vez por todas, entendam que essa é uma doença da criança e do adulto e que nós precisamos, pelo mínimo de dignidade, ter um



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

tratamento adequado e de monitorização dos pacientes. Os pacientes precisam ser acompanhados clinicamente. Não só os adultos, mas também as crianças. Não só as crianças, mas também os adultos.

Era isso que eu tinha para falar.

Desculpem por passar do tempo. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dra. Maria Helena, muito obrigada.

Eu acho que, no tempo que a senhora usou – eu nem contei tempo, apaguei aqui –, a senhora deu uma aula de mestrado e doutorado. Foi ou não foi, gente?

Inclusive, para as pessoas que estão nos assistindo ao vivo, quantas vezes ouvimos nossa mãe dizer: "Come, senão tu vai ficar raquítico!"; Quantas vezes usaram essa palavra de uma forma tão banal? Ainda hoje, pejorativa.

E quando a senhora mostrou o que acontece com os ossos, com os dentes, com a coluna, e eu tenho pacientes aqui que são mães, eu fiquei imaginando: Como é que essa mulher aguentou uma gravidez com tudo aquilo? Eu entrei em desespero aqui. Eu entrei... Eu consegui sentir a dor no meu tornozelo, enquanto a senhora mostrava; e a gente vai precisar falar sobre isso.

Eu acho que hoje, nesta audiência pública... E eu quero avisar a todos que estão nos acompanhando, esses eslaides vão ficar à disposição do Senado. Ela sabe disso. Na hora em que ela apresenta, eles se tornam públicos, com autorização dos pacientes dela. E acredito, doutora, que seus eslaides vão ser procurados por médicos, por cientistas, pesquisadores, alunos, imprensa... Esse é o tipo de material com o qual a senhora contribuiu para o Brasil inteiro, para a pesquisa. – com o Brasil inteiro.

E a senhora trouxe aqui uma coisa que a gente subestima muito: pesquisa brasileira. São dados com pesquisas realizadas com o nosso povo, observando a nossa realidade.

Dra. Maria Helena, a senhora mudou a minha forma de pensar sobre a doença, me desafiou. Eu acho que a causa agora vai ter mais uma aliada. Eu sou aliada de todas as causas



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

das doenças raras, todas elas – o Rodrigo sabe –, mas, gente, eu estou impactada, doutora, impactada.

E nós agora vamos ouvir os pacientes; depois o Rodrigo, sociedade civil; e, por último, o Governo. Eu espero que o Rafael tenha anotado tudo, Rafael. Rafael do céu, se eu fosse você, não tinha vindo para esta audiência, porque hoje nós vamos conversar. E sei, Rafael, que você tem limitação para dar respostas, mas a gente vai ter que conversar com a Conitec. Ah, Conitec... Quando eu falo da Conitec, eu sinto arrepio da cabeça aos pés. Conitec...

Fui Ministra da pasta das Pessoas com Deficiência. A palavra que mais me incomodava era economia, porque o Ministro da Economia brigava comigo todo dia... e Conitec. Eram as duas palavras que me incomodavam.

Mas, doutora, obrigada, viu? E, gente, ela estava em viagem. E eu quero dizer, gente, que, para as pessoas que estão aqui, o Senado não pagou um centavo. Vieram com recursos próprios e se esforçaram para estar aqui.

Dra. Maria Helena, muito obrigada. Eu acho que ela merece mais palmas, gente. (*Palmas.*)

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – Dra. Maria Helena, a senhora faz toda a diferença.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Faz toda a diferença.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – A senhora é a doutora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O.k. Eu estou emocionada.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – Além de ser sua fã, sou sua...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Vamos ouvir agora, na sequência, Maria Lúcia, que já está aqui elogiando a Dra. Maria Helena;



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

vamos fazer os elogios no microfone. Maria Lúcia de Almeida Moura Gomes, que é paciente, irmã e tia de paciente.

Maria Lúcia, antes de você falar, eu preciso fazer o registro de perguntas que chegaram aqui, via internet. Eu vou registrar e, se algum de vocês puder responder a uma dessas perguntas, só cite depois: "Quero responder à pergunta dessa pessoa".

Aline, do Distrito Federal, pergunta: "Como assegurar que o orçamento destinado às doenças raras seja protegido de contingenciamentos?".

Ana, de São Paulo: "Como os profissionais do Direito podem contribuir para ampliar o acesso ao tratamento dessa doença no Sistema Único de Saúde?".

Kaila, da Bahia – de vários lugares, estão vendo? –: "A continuidade do cuidado é um direito. O que está sendo feito para garantir que o paciente adulto com XLH não perca o suporte do SUS?".

Felipe, de Sergipe: "Como o SUS pretende assegurar continuidade do cuidado ao adulto com XLH, evitando agravamento e desigualdade no acesso ao tratamento?".

Bianca, de São Paulo, pergunta: "Como a falta de um protocolo clínico atualizado para XLH impacta a segurança jurídica e o acesso contínuo aos medicamentos?".

E nós temos três comentários.

Um vem do Paraná, de Natália: "Paciente adulto com XLH apresenta nefrocalcinose decorrente do tratamento convencional. O burosumabe pode ser a única alternativa para salvar".

Andreia, do Rio de Janeiro: "A cronicidade da doença XLH, suas sequelas incapacitantes, a necessidade de tratamento contínuo justificam a oferta de tratamento pelo SUS".

Paulo, do Mato Grosso: "Equidade no SUS exige acesso ao tratamento do XLH em todas as idades, garantindo continuidade do cuidado e dignidade aos pacientes adultos".

E estão chegando novas perguntas que daqui a pouco eu leio. Vejam como o Brasil inteiro está interessado. E que perguntas bem feitas, diretamente ligadas ao tema aqui exposto.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nossa Dra. Maria Helena já nos deixou, ela estava com a gente em passagem, realmente, veio para esta audiência, mas já teve que seguir em viagem.

Nós vamos ouvir agora a Maria Lúcia de Almeida Moura, paciente, irmã e tia de paciente.

Bem-vinda, Maria Lúcia.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (Para expor.) – Exma. Senadora Damares Alves, membro da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa, muito obrigada por abrir esse espaço e por compreender com tanta clareza a importância da equidade do acesso ao tratamento para as pessoas com doenças raras. Eu sou uma delas.

Eu vivi a maior parte da minha vida sem saber o que eu tinha, mas sempre convivendo com dor, com limitações e passando por muitas cirurgias. Ao total, dos 5 anos aos 15, 12 cirurgias. Eu senti que tinha algo errado, mas ninguém conseguia explicar. Segui trabalhando, vivendo, fazendo o que era possível, mas sempre com dor – com muita dor. E isso vai cansando a gente. Cansa o corpo, cansa a alma, cansa tudo, gente.

O diagnóstico veio depois de muitos anos. Quando o diagnóstico chegou, aproximadamente, eu tinha 58 anos. Não foi fácil. E, quando esse diagnóstico chegou, eu pensei: "E agora? O que é que eu vou fazer da minha vida, da vida da minha família?". Não sou só eu, éramos cinco, hoje somos três. Graças a Deus, tivemos o diagnóstico com a Dra. Juliana Maia e o apoio da ONG Amor e Carinho, que nos deu essa qualidade de vida com a medicação, porque, até então, não sabíamos aonde chegar. E, quando ele chegou, foi um misto de alívio e de revolta: o alívio por finalmente entender a minha história, e a revolta por saber que tudo aquilo poderia ter sido diferente.

Hoje, eu não falo só por mim, eu falo pela minha família, porque o XLH está em nós – em mim; na minha irmã, Rejane; e no meu sobrinho, João Vítor –, mas o acesso ao tratamento não é o mesmo: eu tenho acesso, João Vítor tem acesso, mas a minha irmã Rejane não tem acesso. Rejane está aqui, hoje, sentada conosco, e teve o acesso ao tratamento negado. Isso é muito difícil de aceitar, porque não é só a doença que muda, é o acesso ao tratamento.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Quando, finalmente, eu consegui o tratamento, foi em 2021, e foi pela Justiça. E eu quero dizer isto com muito respeito: a Justiça é um instrumento importante, ela garante direitos quando o sistema falha, mas ela não deveria ser o caminho.

O ideal é que todas as pessoas com diagnóstico de XLH, sejam crianças ou adultos, também tenham acesso ao tratamento de forma garantida, contínua e segura, porque, quando o tratamento depende da judicialização, ele não traz a segurança de que a gente precisa para viver; ele vem acompanhado de muita incerteza sobre a continuidade, sobre a interrupção, sobre conseguir manter o avanço que a gente conquistou. Quando o tratamento chega, ele muda as vidas. Mudou a minha vida. Ele não apaga tudo, porque, no meu caso, já era tarde para muitas coisas, mas ele mudou muita coisa em mim: diminuiu a dor, melhorou os movimentos, devolveu algo muito importante – a dignidade. Ele não mudou em diminuir a dor, ele parou as minhas dores! Eu não sei mais o que é sentir uma dor. Hoje, eu ando com saltinho; hoje, eu limpo minha casa, eu trabalho com...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Você falou que samba?

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES – Não, veja, hoje...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dança?

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES – Vou chegar a essa agora; veja: uma vez, há cinco anos, eu falei a Wesley qual era o meu maior sonho – dançar uma valsa. Você já pensou uma pessoa chegar a tantos anos da vida sem dançar uma valsa, sem dançar? Hoje, eu danço samba! Gratidão. (*Palmas.*)

E mudou muito a minha história.

Excelência, eu não sei o que é sentir uma dor mais, eu não sei. Eu subo e desço degraus. Eu trabalho com a construção civil hoje. E aí me perguntam: "Qual é o seu trabalho na construção civil?". V. Exa., Senadora Damares, me convida para fazer a sua casa. O seu arquiteto me dá a planta, não interessa quantos metros quadrados ela tenha, não interessa nada. Eu



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

tenho uma equipe, a gente forma uma equipe. E eu lhe entrego sua casa pronta, limpa e arrumada – sem sentir uma dor.

Antes, eu tomava de 10 a 12 comprimidos por dia, para trabalhar, para fazer as minhas coisas. Hoje, eu não sei o que é tomar um comprimido, eu não sei mais o que é isso, depois do tratamento. Só que, no intervalo de 2022, no fim de 2022, para 2024, ficamos nove meses sem a medicação. Voltamos à estaca zero, né, gente? Vocês sabem disso.

E hoje, eu me sinto Maria Lúcia...

Isso é tão importante para a gente, Senadora, que a senhora não imagina.

E a minha história continua com coisas tão boas. E eu não quero isso só para mim, eu quero para todos. Eu também preciso reconhecer que, nesse caminho, eu não estive sozinha. Agradeço profundamente ao Presidente do Instituto Amor e Carinho, Wesley Pacheco, aqui presente; à Dra. Carolina, à Patrícia, que nos deram tanto apoio nessa época. Agradeço o apoio do acolhimento, com tanto compromisso e cuidado comigo e com a minha família. E acredito que tenha sido com todos, porque, muitas vezes, antes de chegar ao tratamento, a gente precisa de ser acolhido – e nós fomos. Agradeço também à Dra. Maria Helena por toda a dedicação.

Cadê ela? Já foi? *(Pausa.)*

Ah, então, beijo, Dra. Maria Helena.

Mesmo assim, dentro da minha própria família, o acesso ainda não é igual. Eu tenho, João Vitor, que tem; mas Rejane não tem, a ela foi negado. E isso não pode ser normal. O acesso ao tratamento não pode depender...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Pode continuar.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES – O acesso ao tratamento não pode depender de um processo judicial, não pode depender de sorte, e não pode depender de idade. A doença não para, então, o tratamento não pode parar. E é por isso que este momento é tão importante para a gente, é tão, assim, louvado...



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu quero reconhecer aqui todas as organizações que fazem parte desse movimento: o Instituto Amor e Carinho; a Rafaelli, do Mundo XLH; a Fátima Xavier, da ABSQF, e também a Rita Domingues, do Instituto Contemplo, que nos acompanham pelo canal da TV Senado, e todas as pessoas e organizações que participam desse movimento colaborativo por equidade, porque essa é uma união que permite que a gente esteja aqui hoje falando, sendo ouvida, dando visibilidade a uma realidade que ainda é pouco vista.

Hoje, eu estou aqui como paciente, mas também como irmã, como tia e como alguém que vive essa desigualdade dentro da própria casa. E o que eu peço, neste momento, é simples: equidade, a continuidade do cuidado e da segurança ao tratamento, para que ninguém precise viver o que eu vivi.

Mas eu vou dizer uma coisa para vocês: Vamos lá! Uma adolescente que, com 15 anos, não tinha um dente – um dente essa adolescente não tinha, os dentes caíam –, essa pessoa que viveu a vida inteira sem conseguir dormir com as costelas quebradas, com dores de cabeça, sem ter mobilidade. Só que eu trabalhei em uma empresa multinacional, fui muito bem acolhida – gratidão à Líbia Regina, que foi minha chefe, ao Domingos, que me acolheu –, mas ninguém sabia porque eu tinha medo de falar para as pessoas, eu precisava trabalhar. Era, vamos dizer assim, analgésico, analgésico, analgésico, analgésico... Porque se eu falasse, ninguém me dava o emprego, e eu precisava de trabalhar. Eu não tinha mais pai, eu não tinha mais mãe, eu precisava. Tínhamos nós, as irmãs. Como nós iríamos viver? Eu teria que trabalhar, estudar; Rejane, trabalhar, estudar. Rejane, ainda mais do que eu, teve mais força. Tinha dias que eu desistia, começava e desistia de fazer um curso, de fazer isso, de fazer aquilo.

Gente, o tratamento é muito importante para nós. Quando nós ficamos os nove meses sem a medicação, voltamos à estaca zero. Por exemplo, quando eu tinha 20 anos, eu tinha um corpo de 80. Hoje, eu tenho um corpo de 30, com 66. E hoje eu me sinto empoderada naquilo que eu posso fazer por mim e pelas pessoas, hoje eu posso ajudar não só a mim, mas também a todos.

Hoje, eu digo: me chamo Maria Lúcia. É como dizia Vinicius de Moraes: "Teu nome, Maria Lúcia, tem qualquer coisa que afaga [...] É um doce nome de filha e um belo nome de amada [...]".



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E isso, para mim, hoje... Casei com um homem sem preconceito, um homem com um nível educacional muito bom. Sempre me tratou... Hoje eu sou viúva. Infelizmente, ele faleceu, mas ele me dava forças.

Vocês já imaginaram o que é uma pessoa não conseguir se agachar? Vocês já imaginaram o que é uma pessoa não conseguir limpar os pés, ter chulé nos pés? Porque chulé significa falta de higiene para mim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Está acabando. Pode continuar.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES – Hoje eu lavo os meus pés, eu faço minhas unhas dos pés, eu me cuido, eu me amo, eu me acho bela, hoje eu me acho tudo. Claro, precisando botar um "botoxizinho" por aqui. (*Risos.*) Mas é porque ainda não deu para botar um "botoxizinho" por aqui, mas, assim que botar, vai melhorar um pouquinho, viu, gente? Tive um problema também muito sério na mandíbula. Muito obrigada, Dr. Maurício Gama, que me ajudou muito, um cirurgião plástico em Recife, que ajeitou a minha mandíbula. Mas, em breve, eu vou botar um "botoxizinho", viu, gente, porque, na próxima, eu vou botar mais... (*Risos.*) Não é, Excelência?

Eu só tenho mesmo que agradecer, agradecer muito, muito, muito à Dra. Juliana Maia; ao João Vítor, meu sobrinho; ao Wesley, da ONG Amor e Carinho; à Dra. Maria Helena; e à senhora, que está nos dando esta grande oportunidade, Excelência!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada!

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES – Gratidão!

Deus seja louvado por a senhora existir e todos nós – e todos nós! (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada!

Dona Maria Lúcia, que emoção a sua fala.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu vou resumir: ela estava num poço de dor, sofrimento, sem dente, sem esperança, e o tratamento pega essa mulher e transforma nessa coisa incrível, linda, maravilhosa, com a pele maravilhosa. Que samba! Mas o mais importante, gente: ela está gerando renda e ela está gerando emprego. Então, é só fazer a conta. "Ah, o remédio é caro." Mas ela está evitando estar no hospital, ela não está ocupando o leito de hospital. Ficou mais barato dar o remédio para ela, porque ela não está no hospital e, mais ainda, ela está gerando renda, emprego, ajudando a economia do país. É isto: esses adultos querem contribuir com a economia, mas eles precisam estar saudáveis. Então, a conta é essa. Remédio é caro? Mas o retorno é muito maior.

Sim, Maria Lúcia.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES – Eu vivia internada no hospital. Toda semana, eu vivia internada. Eram dez dias, 15 dias. Todas as vezes em que eu chegava – até antes de tomar o burosumabe – ao hospital, eu estava com pielonefrite, eu estava com infecção urinária, meu fósforo chegou a um, teve um tempo em que chegou a menos um. Eu sou um milagre, entendeu? Eu sou um milagre, porque o fósforo com um ou menos um não é brincadeira. E sempre fui muito produtiva. Nós somos produtivas.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Maria Lúcia, eu acho que este é o debate. O Ministério da Saúde está nos ouvindo. Eu tenho a alegria de informar que também a Assessora do Departamento de Atenção Especializada e Temática do Ministério da Saúde entrou na audiência.

Então, que o Ministério da Saúde entenda o custo que ela dava para o SUS, ficando internada, e que agora ela não dá mais esse custo, ela está produzindo, gerando emprego, gerando renda, como todos os outros que têm acesso ao tratamento. É só fazer a conta.

Eu fiquei muito contente e quero explicar o seguinte, gente: a Maria Lúcia veio de Recife, também com o seu próprio dinheiro, para provocar este debate, e fala por ela e por todos os pacientes.

Eu estou muito feliz em te receber aqui, foi uma alegria.

Agora a gente vai ouvir Isaura Terezinha da Silva.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E, lembro, Rodrigo: ela também está dando economia para o INSS, porque ela não está afastada. Então, assim, é para a gente entender que o custo-benefício do remédio está ali, gente.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – Cada obra gera 30, 40 fornecedores.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Então, cada obra que ela cuida gera 30, 40 fornecedores.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – Fora a mão de obra.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Emprego direto... É impressionante.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (*Fora do microfone.*) – Arquitetura, mão de obra.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Então, nós vamos precisar também fazer essa equação nessa discussão.

Vamos ouvir agora Isaura Terezinha da Silva, paciente e mãe de paciente.

Isaura, só diz de onde você veio, se você é daqui, apresente-se. É uma alegria ter você com a gente, Isaura. Se quiser ficar de pé, fique à vontade também, está bom?

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (Para expor.) – Sim.

Muito obrigada, Senadora Damares. Obrigada mesmo do fundo do meu coração.

Exmas. autoridades, membros deste Senado e todos os presentes, meu nome é Isaura, tenho 43 anos, sou casada e tenho uma filha chamada Valentina...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – A Valentina está aqui.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA – ... que tem 13 anos e está aqui presente. Sou servidora pública da cidade de Gramado, que fica no Rio Grande do Sul, há mais de 18 anos. Sou professora, com pós-graduação em psicopedagogia. No momento, sou servidora municipal readaptada na Secretaria de Saúde do Município de Gramado por conta da minha doença, cujo nome é raquitismo hipofosfatêmico, mais conhecida como XLH.

Venho, desde muito jovem, lutando contra o sistema que cria as leis, porém negligencia ou cria obstáculos – entre parênteses – (humanos) para as pessoas que mais precisam acessá-las. Ocupei o regime de cotas para PcD em uma universidade pública e vaga no concurso público de Gramado. Sofri *bullying* na escola, no ensino fundamental. Fui perseguida em meu local trabalho. Sofri capacitismo.

Esses fatos me forçaram a me tornar uma pessoa empoderada e resiliente de carteirinha. Mas o mais importante é que sofri tudo isso e protejo, luto todos os dias para que a minha filha não passe por isso. A vida foi me capacitando enquanto mãe guerreira que sou, e também enquanto paciente XLH.

Agradeço a oportunidade de representar todos os pacientes XLH, e a todas as mães que lutam todos os dias para conseguir a medicação, o que me possibilitou estar aqui para mostrar, em meu poder de fala, um pouco da minha história e a da minha filha.

Como vocês perceberam, carrego comigo as marcas de uma vida inteira com XLH, psicológica e fisicamente. Por muito tempo, a sociedade e até mesmo a medicina me disseram que a dor era normal e que eu havia de me conformar com as deformidades e as cirurgias. A verdade é que não há nada de normal em sentir os próprios ossos enfraquecerem a cada passo.

O XLH não afeta apenas o meu caminhar; afeta o meu direito de trabalhar, de ser independente, de viver um dia sem dor. Não sei lhes dizer se foi de mim que se iniciou a mutação genética ou de alguém da minha família biológica, pois eu fui adotada. Possuo várias sequelas do XLH: tornei-me uma pessoa com deficiência, em decorrência das 16 cirurgias que tive que fazer; tenho perda auditiva de 50% do ouvido direito; tenho dor crônica, todos os dias, em meus ossos e articulações, incluindo os dentes, os quais me faltam vários.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Minha filha herdou não somente o DNA, mas também a minha luta. Por isso, hoje ela está aqui – e tenho muito orgulho disso –, junto comigo, para ter noção, infelizmente, das batalhas que precisará trilhar ao longo da sua vida. Quero deixar claro que o que torna o XLH ainda mais difícil não é apenas a doença em si – tratamentos adequados, acompanhamento contínuo –, mas, sim, o fato de a minha filha – e prestem bem atenção agora no que eu vou dizer – não estar recebendo em dia, regularmente, todos os meses, e quero salientar que no mês passado ela não recebeu a medicação.

Busco respostas com o farmacêutico da Secretaria de Saúde, que me diz que não há previsão de chegada; ONGs, Ouvidoria do SUS, que não retornam as mensagens ou tentam me enganar para que eu pare de mandar mensagens; Secretário Municipal de Saúde, que me diz que o problema está em Porto Alegre; Coordenadora da 5ª CRS, que fica em Caxias, que não responde quando a medicação irá, e se irá, chegar; número de telefone da 5ª CRS, que não dá sinal; e assim vai. Questiono todas as instâncias.

Agradeço aqui ao Ministério Público e à Defensoria Pública de Gramado, que me ajudaram a fazer as articulações. Foi, inclusive, através deles que consegui alvará para comprar a medicação por duas vezes. Como todos podem perceber, luto de corpo e alma, e vou atrás de respostas, as quais muitas vezes são absurdas. Tenho convicção de que estou lutando contra um sistema que deveria acolher. Contudo, na maioria das vezes, falha e está falhando com a minha filha e com outras famílias também. Nós famílias de pacientes com doenças raras não queremos privilégios; queremos visibilidade, queremos políticas públicas eficazes, queremos que nossos filhos tenham a chance de viver com menos dor. Como vocês podem ver na minha filha, que está aqui, a medicação funciona, e quero que ela tenha o direito de ter a medicação após completar 18 anos.

Eu suplico aos senhores: olhem para nós, escutem nossas histórias, transformem essa escuta em ação, porque, por trás de cada caso raro, existe uma vida única que não pode esperar.

Eu estou aqui hoje pela minha filha, pois quero que, quando ela completar a maioridade, isso seja algo que traga felicidade e que ela se lembre deste dia com grande alegria; um marco enorme, em que a mãe dela e outras tantas pessoas lutaram para que ela e outros pacientes



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

XLH tivessem dignidade na vida, tendo a medicação garantida ao longo da sua vida. E que ela possa ter uma vida plena, com possibilidade de se tornar uma profissional com excelência, de forma a contribuir para a humanidade.

Gostaria de compartilhar com todos que procurei o Vereador Roberto Cavallin – que está ali –, conseguindo seu respeito e empatia, e ele apresentou um projeto para a criação do Dia da conscientização das Doenças Raras, que ocorre no dia 28 de fevereiro e também na última semana do mesmo mês, que foi aprovado.

Quero também agradecer ao Instituto Contemplo, que possibilitou a minha presença e da minha filha nesta audiência pública.

E tenho como sugestão a criação de um aplicativo para o paciente ou cuidador.

Esta é minha fala, gente. Muito obrigada. *(Palmas.)*

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Professora, obrigada por sua fala emocionante, desafiadora. Mas a senhora veio de bermuda para mostrar.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA *(Fora do microfone.)* – Isso.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – A senhora se importaria de ficar em pé aqui?

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA *(Fora do microfone.)* – Nem um pouco. Querem me estudar? Sintam-se à vontade.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O que eu gostaria? Ela disse: "A minha filha está bem". Eu queria que a Valentina viesse ficar ao lado da mãe. Olha o sofrimento que a mãe teve a vida inteira, e a Valentina está bem. Ela não quer que Valentina passe exatamente por tudo o que ela passou.

Olha como a Valentina é linda, gente! Tem 13 anos, Valentina? *(Pausa.)* Você está aqui hoje militando...



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (*Fora do microfone.*) – E ela quer falar depois também.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – E a Valentina vai falar depois. Eu queria que todo mundo aplaudisse mãe e filha. (*Palmas.*)

Obrigada, Professora. Obrigada ao Vereador que a está acompanhando. Obrigada, Vereador, você foi sensível demais. Obrigada. Que sua cidade tenha orgulho dessa militante, dessa mulher, que veio com todas as suas dificuldades, com recurso próprio, e hoje é um dia histórico para a causa. Eu acredito, Professora.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA – Mas que essa cidade também faça o que tem para fazer.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Que a cidade faça, que o estado faça, que o Governo Federal faça. Estou aqui.

Lute, Vereador, lute lá, lute e contagie os outros Vereadores da região...

O SR. ROBERTO CAVALLIN (*Fora do microfone.*) – Somos unânimes.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – ... os outros Vereadores do Brasil. Porque é na ponta que o morador está. Eu estou aqui, mas o senhor está lá, ela está lá. Obrigada pelo que o senhor está fazendo, muito obrigada, que todos os Vereadores do Brasil se inspirem no senhor.

Nesse sentido, gente, eu quero registrar que está presente no auditório Soraya Lopes Sader, Diretora Médica da Ultragenyx. A Ultragenyx está com uma equipe grande, entre médicos, diretores e gerentes, presente na audiência.

Obrigada, Ultragenyx.

Quem é a Dra. Soraya? (*Pausa.*)

Isso, Dra. Soraya. Prazer. Depois, eu quero te dar um abraço.

Está presente Emanuel Nazareno Menezes, Presidente da ACEPDR. Cadê Emanuel? (*Pausa.*)



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Prazer.

Eu só não sei o que é a ACEPDR.

O SR. EMANOEL NAZARENO MENEZES (*Fora do microfone.*) – Associação Cearense dos Portadores de Doenças Raras.

Associação Cearense dos...

Gente, o senhor veio do Ceará?

O SR. EMANOEL NAZARENO MENEZES (*Fora do microfone.*) – Às 4h da manhã.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Às 4h da manhã, para estar nesta audiência!

Muito obrigada.

Está com a gente Wesley Pacheco, Presidente do Instituto Amor e Carinho. Cadê Wesley? Onde fica o instituto, Wesley?

O SR. WESLEY PACHECO (*Fora do microfone.*) – A nossa base é de Campinas, mas a gente atende o Brasil inteiro; temos pacientes acolhidos de norte a sul do país.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Campinas, mas atende pacientes do Brasil inteiro. Você veio de Campinas para esta audiência?

O SR. WESLEY PACHECO (*Fora do microfone.*) – Sim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Eu estou me sentindo honrada com a presença de vocês, que vieram de fora.

Flavio Xavier, Diretor da ABSQF. Cadê Flavio? Está aí? Flavio, o que é ABSQF?

O SR. FLAVIO XAVIER (*Fora do microfone.*) – Associação Brasileira da Síndrome de Quilomicronemia Familiar.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Associação Brasileira de uma síndrome, que ele acabou de falar; não me peça para repetir o nome. (*Risos.*)

Flavio, seja bem-vindo!

De onde você veio, Flavio?

O SR. FLAVIO XAVIER – A gente é daqui, de Brasília.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Daqui, de Brasília?

Muito obrigada.

Nós estamos com Roberto Cavallin, Vereador do Rio Grande do Sul, da cidade de Gramado.

Que Deus te abençoe!

E, depois, a gente tem também o Luiz Carlos Malito Filho, pai da Lúcie, paciente; Adenir Ana Machado, paciente também, está aqui com a gente; nós temos Ariadna Soares Mota, da mesma associação, de que eu não vou dizer o nome, não consigo; e Erica da Silva Vitorino, Diretora da Afag.

Cadê Erica? O que é a Afag, Erica?

A SRA. ERICA DA SILVA VITORINO (*Fora do microfone.*) – Afag é Associação dos Familiares, Amigos e Pessoas com Doenças Graves, Raras e Deficiências.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Associação dos Familiares, Amigos e Pessoas com Doenças Graves, Raras e Deficiências. Onde fica a Afag?

A SRA. ERICA DA SILVA VITORINO (*Fora do microfone.*) – Campinas.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Campinas?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. ERICA DA SILVA VITORINO (*Fora do microfone.*) – Mas já atua no Brasil inteiro.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Muito obrigada.

Gente, todo mundo veio com recurso próprio. O Senado não tem condições de pagar, não pode pagar passagem para os debatedores, para as pessoas que participam de uma audiência.

E Analisa Pontes, Unidade Nacional de Acessibilidade. Cadê Analisa? Está aqui? (*Pausa.*)

Seu nome é Analisa?

A SRA. ANALISA PONTES (*Fora do microfone.*) – Não, a minha letra só tem um... (*Risos.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Eu não acredito, Analisa. Gente, ela é praticamente Senadora no meu lugar; ela está aqui o tempo todo. Ela é da UNA, uma instituição que tem um trabalho incrível, inclusive faz um trabalho com canoagem, aqui em Brasília, e é nossa pré-candidata a Deputada. Que Deus te abençoe! Bom ter você aqui, viu?

Na sequência, nós vamos ouvir agora Rafaelli Cardoso Silva, mãe, cuidadora e diretora da instituição Mundo XLH - Associação de Apoio à Família e Pessoas com Raquitismo Hipofosfatêmico Ligado ao Cromossomo X e Outras Doenças Raras.

Rafaelli, é uma alegria ter você aqui. Apresente-se. Fale de onde você veio.

A SRA. RAFAELLI CARDOSO SILVA (Para expor.) – Bom dia. A alegria é minha.

A Mundo XLH tem sede no Rio de Janeiro, mas a gente também atua no Brasil todo. Eu acho que o nosso maior desafio começa por aí, atuando num país com dimensões continentais.

Primeiramente, eu gostaria de agradecer.

Não sei se ele vai passar ou eu passo.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Você consegue passar a tela?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. RAFAELLI CARDOSO SILVA – Vou falar que eu estou um pouquinho nervosa. Se a voz falhar, vocês me ajudem. Também, por outro lado, tem a vantagem de que muitas pessoas já falaram anteriormente. Então, estou aqui a ecoar esta voz.

Pode passar, por favor.

Primeiramente, eu gostaria de agradecer à Senadora Damares Alves, por esta oportunidade, por este momento mágico para todos nós; agradecer também à Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa; agradecer a todos que estão aqui, de forma presencial ou remota; agradecer a todos os membros da mesa; e, também, agradecer a todas as organizações que acabaram de serem citadas pela Senadora – até fiz a listinha: à ABAMPS, à ABSQF, à ACEPDR, à Afag, à MPSM, à Fedrann, ao IAC, ao Instituto Contemplo, ao IBB e a todos que estão aqui presentes.

Pode passar, por favor.

Bom, eu vou ser bem breve, porque no assunto muitos vão ser repetitivos. O cenário das doenças raras no Brasil, infelizmente, não é de casos isolados. Temos milhares de famílias que buscam o diagnóstico, muitos casos são diagnósticos tardios, e isso não foge ao XLH. Nós temos aqui exemplos – a D. Maria Lúcia já citou. Temos outros exemplos: a Adenair, por exemplo, só foi diagnosticada depois que o filho foi diagnosticado. Então, são pessoas que passaram praticamente metade da jornada da vida em busca do diagnóstico.

A gente tem dificuldade de acesso ao tratamento, falta de informação e, também – já foi citado aqui, pela Isaura –, descontinuidade de cuidados essenciais. Isso é fundamental nas doenças raras, como em outras doenças também – a continuidade do tratamento. E, infelizmente, essa realidade se repete em inúmeras histórias pelo nosso país.

Qual é a importância do debate? Como a própria Senadora já citou, nós precisamos transformar experiências. Então, nós precisamos da pauta pública e nós precisamos de uma discussão qualificada, que estamos tendo aqui, para quê? Para que daqui saiam políticas concretas, que realmente aconteçam e façam a diferença na vida das pessoas. Então, nós não buscamos privilégio, como também já foi citado; nós buscamos equidade, que pessoas com XLH tenham acesso contínuo ao tratamento adequado.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Como também já foi citado pela Dra. Maria Helena, o XLH é uma doença genética rara, crônica e progressiva. Então, ela gera deformidades ósseas, dor crônica, fraqueza muscular, fadiga intensa e limitações funcionais ao longo da vida da pessoa. E acho que este é o ponto principal da pauta de hoje: a doença permanece ativa durante toda a vida do paciente, a doença pode se agravar na fase adulta. Então, aí está o ponto: por que os adultos estão excluídos? Justamente essa é a chave do debate.

Qual a situação atual no SUS para as pessoas que têm XLH? Nós tivemos um avanço, também já citado aqui, do único tratamento disponível. O único tratamento que trata o XLH está disponível para pessoas com até 18 anos somente. Então, isso gera uma limitação de acesso pela idade do paciente, nisso você exclui inúmeros brasileiros de qualidade de vida, de acesso à qualidade de vida. Você cria barreiras significativas ao você não considerar a natureza permanente da doença, ao você negligenciar os relatos de vida real dos pacientes, ao você ignorar estudos clínicos apresentados também já esta manhã aqui. Então, esse é o ponto. A gente precisa lutar por esse direito que é de todos.

Quais as consequências? Nós temos pacientes adultos que permanecem com dor, eles perdem mobilidade, eles têm complicações progressivas graves, compromete-se o cuidado integral desse paciente. Os adultos possuem necessidades clínicas tão relevantes quanto as crianças e os adolescentes. É isso que a gente precisa reforçar diariamente.

Além de tudo isso, ainda temos os impactos sociais, que também já foram bem citados aqui, como os exemplos da Maria Lúcia e da Isaura. São adultos sem tratamento específico. Aumenta-se a incapacidade funcional daquela pessoa, ela precisa se afastar do trabalho, ela tem uma redução de produtividade, são cirurgias frequentes, dependência de cuidado, além de todo o impacto ampliado: as famílias são impactadas. Muitas vezes, um filho precisa faltar ao trabalho para cuidar de uma mãe, para cuidar de um pai. Impacta-se diretamente o sistema de saúde, como bem colocado pela Senadora; impacta-se a sociedade também, como bem colocado pelo Sr. Rodrigo. Então, está tudo muito alinhado, todas as falas são muito alinhadas com um objetivo comum e claro.

E vem a pergunta, aposto que a Isaura faz essa pergunta, que a sua filha faz essa pergunta: "E quando chegarmos aos 18, o que vai acontecer comigo?". A minha filha faz essa pergunta



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

para mim. Hoje, ela tem noção da qualidade de vida que ela tem, do quanto de mobilidade que ela tem. É nítido: a frequência escolar dela é outra, o boletim melhorou absurdamente, porque a criança está dentro da escola, a criança está ativa. "O que eu vou fazer quando chegar aos 18 anos?" O que vai acontecer com essa pessoa? Ela não vai ter a continuidade do cuidado integral, porque hoje nós temos a barreira da idade do acesso ao tratamento. Ela vai interromper o tratamento aos 18 anos, ela vai perder todos os ganhos terapêuticos que ela teve durante toda a sua jornada da infância e adolescência. Provavelmente, vai ter agravamento dos sintomas, somados, ainda... A transição para a vida adulta já tem muitos desafios para o adolescente, e vão ser somados a essa questão de ele perder o acesso ao tratamento, e toda a jornada dele ser comprometida.

É um momento muito crítico chegar aos 18 anos para quem tem XLH hoje no Brasil. O tratamento precisa ser contínuo, ele é essencial.

Pode passar, por favor.

Então, eu trago aqui algumas reflexões, para que a gente consiga construir juntos uma outra jornada do paciente: uma jornada mais leve, uma jornada mais ativa, uma jornada mais produtiva. O XLH, como já dito, acompanha toda a vida do paciente. Então, o acesso ao tratamento, o acesso ao cuidado integral, deve refletir essa realidade da jornada do paciente, a gente não pode deixá-lo de fora. Então, eu trago como palavra-chave da minha apresentação: a equidade. A ampliação do acesso para o paciente de todas as idades é o reconhecimento a que todos os indivíduos – todos –, sem exceção, têm direito: ao melhor cuidado disponível e a uma vida com menos dor e mais possibilidades. Eu acho que é isso que todos buscam.

Está aqui, exemplo: Maria Lúcia tem acesso ao tratamento, a irmã não tem. Das possibilidades que a Maria Lúcia tem, a irmã está sendo tolhida, está sendo impedida. Está sendo negligenciada a vida dela por conta da falta de acesso a algo que está disponível, a algo que está disponível no Brasil e aprovado. A Conitec aprovou o medicamento também para a fase adulta – o tratamento.

Então, eu agradeço novamente o espaço e a possibilidade de trazer essa voz dos pacientes. Eu não tenho a doença, a minha filha é um caso espontâneo, mas o XLH entrou na minha vida e eu preciso trazer diferenças para todas as pessoas com quem a gente convive.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu agradeço, então, mais uma vez pela escuta e espero ter contribuído para este debate.

(Intervenção fora do microfone.)

A SRA. RAFAELLI CARDOSO SILVA – E reforço: à frente de cada diagnóstico de XLH tem uma pessoa, tem a Adenair, tem a Maria Lúcia, tem uma vida e tem uma família.

Então, eu gostaria – já sei que meu tempo já passou – de mais dois minutos apenas, para mostrar o quanto a jornada do paciente é importante. E falo o quanto a união dos pacientes faz a diferença na vida de todos, até mesmo de quem a gente não conhece. Existem pacientes, existem pessoas com XLH que, com certeza, estão sendo impactadas por este evento e que nem sabem que o evento está acontecendo.

Então, eu gostaria só de mostrar um filme que reflete muito a importância da união das famílias.

(Procede-se à exibição do vídeo.)

A SRA. RAFAELLI CARDOSO SILVA – Isso foi um dos eventos que a gente promoveu junto com as famílias.

(Procede-se à exibição do vídeo.) (Palmas.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Parabéns, Rafaelli, pelo trabalho de vocês. A sociedade civil organizada é isso, gente. Provoca, emociona e traz respostas também.

Leva um abraço para Letícia. A sua filha te arrastou para esse universo e você está arrastando muita gente junto. É bonito não ter a vergonha de mostrar a fé, porque às vezes as pessoas se sentam aqui nessa mesa, falam de forma científica, falam do ativismo e têm vergonha de mostrar que a fé ajuda muito, porque a religiosidade não pode estar separada da fé, da ciência. Parabéns por essa coragem, parabéns!

Eu, como sou a Senadora que todo mundo conhece, que é terrivelmente cristã, não tenho vergonha de falar da fé e de como a fé ajuda. Ciência e fé caminham junto, e você trouxe um eslaide lindo aqui, respeitando todas as outras religiões, mas trouxe a fé, o cristianismo ali como



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

referência. Bonito, parabéns! Parabéns por ter tido essa coragem e parabéns pelo trabalho que o Instituto Mundo XLH está fazendo. Parabéns! Não desista.

Obrigada por estarem nesta audiência. Vieram também com recursos próprios, mobilizaram... muita gente nos assistindo. O sucesso dessa audiência que o Brasil inteiro está assistindo foi porque vocês divulgaram, vocês falaram deste momento, que é um momento histórico para a causa.

Muito obrigada.

Na sequência, vamos ouvir Rodrigo de Araújo da Silva, Secretário da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte e Nordeste. Rodrigo é um grande parceiro. Está comigo em diversas lutas, em diversas frentes, e é uma honra, Rodrigo, ter você aqui junto com a gente, está bom?

O SR. RODRIGO DE ARAÚJO DA SILVA (Para expor.) – Obrigado, Senadora.

Quero agradecer pelo carinho e pelo respeito que você tem por essa pauta, e porque aqui, dentro do Senado, a gente – os pacientes com doenças raras, com deficiência – tem vez e voz através do seu mandato. Uma Senadora que batalha, que luta dia após dia por cada um dos pacientes com doenças raras. E o gabinete dela está sempre aberto para atender cada paciente; ela é essa mulher que dá voz a cada um dos pacientes com doenças raras.

Então, obrigado, Senadora, por estar nos apoiando nessa causa.

Falar depois de várias mulheres empoderadas é bem complicado, e a gente só tem que falar. A gente fala de Sistema Único de Saúde, um sistema desse que foi construído com três pilares, a universalidade, a integralidade e a equidade. Mas a gente vê, através de cada fala aqui, que esses três pilares estão sendo infringidos, estão sendo negados, através disso. Paciente que tem, já por ser doença rara, o diagnóstico tardio, a dificuldade do diagnóstico ainda é muito grande. Para ele chegar ao diagnóstico, leva anos, leva estudos, leva várias questões. Fora isso, a briga por acesso à medicação, ao tratamento, também leva anos. E, cada vez mais, isso vai abreviando o tempo de tratamento que está imposto agora, vai abreviando o tempo da medicação, do uso da medicação, porque muitos dos pacientes sentem medo de acabar o



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

tratamento quando chegar a maioria, como foi falado aqui, os próprios pacientes relatam isso.

Então, a gente não está falando de favor, a gente não está falando de exclusão; a gente está falando de um direito, direito garantido pela Constituição Federal, a mesma que instituiu também o Sistema Único de Saúde. Então o que falar de uma medicação que está sendo interrompida na maioria? Medicação que, muitas vezes, aí eu abro um parêntese, não só para o XLH, mas para outras patologias nas quais o Judiciário está barrando o tratamento, está cancelando liminares. Esse é o cenário no Brasil para as doenças raras. E sobre o XLH, são essas em que a medicação está sendo interrompida, o tratamento não está chegando, não está havendo adesão correta ao tratamento por falta de logística.

E aí, Senadora, a gente poderia, enquanto Comissão, ver um grupo de trabalho efetivo no qual a sociedade civil tenha voz, já que, lá dentro da Conitec, a gente só tem uma voz de usuário. Que esta Casa possa ter, a Comissão, um grupo de trabalho para debater esses tratamentos e propor formas de chegar o tratamento a quem necessita. E aí a gente também já deixa a provocação, Senadora, também para que, na lei orçamentária, a gente consiga uma rubrica para garantir o custeio de medicação para pacientes com doenças raras, assim a gente consegue minimizar o impacto de que tanto o Governo fala, colocando uma rubrica, a gente vai ter segurança de que essas famílias tenham o tratamento garantido.

Muitas das coisas, quando a gente fala sobre o raquitismo sobre a criança, não é falar sobre o crescimento só, não é só falar da maneira estética, como muitos falam. É falar sobre qualidade de vida. É falar sobre, como a Senadora colocou ali, um adulto que vai poder trabalhar, porque cada um aqui gostaria de estar trabalhando, gostaria de estar contribuindo para sua família e não dependendo só de um benefício, porque hoje um salário mínimo mal dá para se alimentar. É falar do que eu posso fazer com as minhas mãos, trabalhando, dando renda, gerando receita, gerando emprego para outras pessoas.

E aí fica uma indagação minha: por que a gente tem pacientes que recebem o tratamento, que têm direito ao tratamento, e outros que têm a mesma coisa e não têm acesso? Isso é a questão da universalidade do tratamento. Na mesma família, uma irmã recebe e a outra não recebe. Que país é este? Será que as duas não têm direito? As duas não têm a mesma



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

contribuição? Por que dessa eliminação, por que dessa segregação entre pacientes? O SUS não foi feito com essas limitações, com essas barreiras, para garantir tratamento de um e de outro; ele foi feito para o povo brasileiro. Agora, cabe a gente também começar a fiscalizar e falar: "Não estamos tendo acesso ao tratamento".

E a adesão às políticas públicas. Um olhar diferenciado para os pacientes com doença rara, um olhar diferenciado, porque isso não impacta só o SUS; impacta a previdência social, o seguro-desemprego, várias outras coisas, vários outros custos. Não é só o custo da UTI, não é só o custo da medicação. Esse paciente, quando interrompe o tratamento, a medicação, muitas vezes não vai ter a mesma eficácia que um paciente que tenha iniciado o tratamento e não tenha interrupção. Isso é fácil de falar. Foi falado da forma científica, tudo isso, mas onde está o nosso direito ao tratamento? Onde está o nosso direito, como cidadão brasileiro, de ter a nossa saúde de qualidade, de ter acesso às nossas medicações? E a gente fala sobre a questão do Ibat, principalmente na continuidade do tratamento, mas também na expansão desse tratamento para todos os outros que necessitam disso.

E a gente tem certeza de que pode contar com essa Senadora, que vai batalhar cada vez mais por essa causa. A gente conta, Senadora, com a senhora para nos apoiar. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Rodrigo. Obrigada por ter sido a voz dos pacientes, de pessoas com doenças raras, dos pacientes raros. E obrigada, porque esta audiência aqui foi provocada por Rodrigo. Rodrigo, ouvindo vocês, nos procurou e brigou. Inclusive, brigou porque a gente tem um calendário enorme de audiências. Ele disse: "Mas essa é urgente, Senadora. Coloca na frente essa audiência". E a gente conseguiu se adequar e estar aqui hoje, num pós-feriado, com a Casa vazia. Esse era um questionamento, assim: "Mas os Senadores não estarão". Os Senadores, hoje, estão de forma *online*; os gabinetes estão acompanhando, os Senadores estão em seus estados, mas o Rodrigo disse: "Não importa, Senadora, que os Senadores não entrem presencialmente. A gente precisa gritar, e a gente tem que falar isso logo. O remédio está faltando, os pacientes estão em desespero". Então, a gente conseguiu se organizar. Acho que o único evento que está acontecendo no Senado hoje é o nosso, né? É o único. Mas nós estamos aqui. Ele tinha pressa, e foi a pressa dele que fez a gente fazer esta audiência. E eu acho que a gente acertou em



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

antecipar esta audiência, porque nós vamos ter desdobramentos desta audiência. Não dá para ficar, Vereador, só nesse primeiro debate – não dá.

Obrigada, Rodrigo, por não ter desistido, por ter brigado. Brigou com muita gente para que esta audiência acontecesse hoje.

Na sequência, vamos ouvir Rafael Poloni, Tecnologista. Ele é representante do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde.

Rafael, você tem a palavra, e eu não sei se você quer fazer uma apresentação ou se você vai, agora, só dar uma satisfação aos pacientes, depois de todas as falas que já ouvimos aqui. E obrigada por estar conosco, Rafael. Você tem dez minutos.

O SR. RAFAEL POLONI (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia, Senadora. Bom dia a todos os demais.

Primeiro, quero agradecer o convite. E eu vou projetar uma apresentação rápida aqui, só um minutinho.

Vocês me escutam bem?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Sim, Rafael.

O SR. RAFAEL POLONI (*Por videoconferência.*) – Perfeito.

Bom, eu vou falar um pouquinho sobre como funciona a Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde), mas quero, mais uma vez, agradecer o convite, Senadora. É muito importante este debate, a participação do Governo, a participação de pacientes, de associações; e é realmente muito difícil ouvir todos esses pacientes, todos esses relatos e não se arrepiar, não ficar impactado com toda essa situação. Então, agradeço o convite.

Em relação ao que a senhora falou, Senadora, anotei tudo. Como a senhora disse, eu não tenho poder de decisão, então vim aqui apresentar a Conitec. Anotei tudo de todas as falas – e também fica gravado, né –, para poder passar para os meus superiores. E é muito importante o



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

relatório que a senhora falou, para que dê prosseguimento, no Ministério da Saúde, e encaminhamentos.

Bom, então, estou representando o Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (Dgits), que fica dentro da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde (Sctie), dentro do Ministério da Saúde.

Opa! Espera aí, deixe-me passar aqui. Não é muito fácil. *(Pausa.)*

A Conitec é um órgão colegiado permanente, integrante da estrutura do Ministério da Saúde, e tem por objetivo assessorar a pasta, o Ministério da Saúde, em relação às contribuições... Às atribuições relativas à incorporação, exclusão e alteração de tecnologias de saúde no SUS, bem como à constituição ou alteração dos PCDTs (Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas).

Hoje, a Conitec é estruturada em três grandes comitês e a secretaria executiva: os comitês são de medicamentos, de produtos e procedimentos e de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas; e a secretaria executiva é feita, da Conitec, pelo Dgits, que é esse departamento que eu estou representando dentro da Sctie.

Os comitês são responsáveis pela emissão de relatórios e pareceres conclusivos destinados a assessorar o Ministério da Saúde. Vou já falar sobre a composição dos comitês. Cada comitê é composto por 17 membros, com direito a voto; isso foi modificado pelo último decreto, de dezembro de 2025, o 12.716, que incluiu uma cadeira rotativa para organizações da sociedade civil. Então, a Conitec... Os comitês são responsáveis para avaliar a incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias de saúde, a constituição e alteração do PCDT e, também, a atualização da Rename (Relação Nacional de Medicamentos Essenciais).

Essa é a composição dos 17 membros de cada comitê. Então, todas as oito secretarias do Ministério da Saúde participam, além da Agência Nacional de Saúde Suplementar, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), a Associação Médica Brasileira, o Conselho Nacional de Saúde, que representa os usuários, o Conselho Nacional de Secretários de Saúde, que representa os estados, os secretários estaduais, o Nacional de Secretarias Municipais (Conasems), o Conselho Federal de Medicina, o Núcleo de Avaliação de Tecnologias e, mais



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

recentemente, a Organização da Sociedade Civil. E, em todos os comitês, também tem membros ouvintes do Conselho Nacional de Justiça, do Conselho Nacional do Ministério Público e do Conselho Superior de Defensoria Pública.

As regras de incorporação de tecnologias são feitas por avaliação da Conitec. A Conitec tem 180 dias prorrogáveis por mais 90, então, ao todo, 270 dias para avaliar. Essa avaliação vai levar em consideração evidências científicas, eficácia, segurança, efetividade e, também, estudos de avaliação econômica, por exemplo, de custo-efetividade. Esse prazo de avaliação se encerra com a publicação em *Diário Oficial da União*, seja por incorporação, seja por não incorporação ao SUS pela Secretária da Sctie. Então, a partir daí, dessa publicação, se for pela incorporação, o SUS tem 180 dias para disponibilizar esse medicamento, essa tecnologia, para a população.

Os relatórios técnicos, que são, todos, disponibilizados no *site* da Conitec, têm um amplo escopo. Então eles falam da doença; da tecnologia; de todas as evidências clínicas, de avaliação econômica, do impacto orçamentário; uma ampla busca bem robusta de evidências; experiências internacionais, como foi colocado aqui pela Doutora; monitoramento do horizonte tecnológico, ou seja, daqui para a frente, o que é que a gente pode esperar no tratamento dessa doença; perspectiva do paciente; recomendação da Conitec, se favorável ou não; consulta pública; e a deliberação final e decisão do Ministério da Saúde.

Então, para a tomada de decisão da Conitec, que são aqueles 17 membros de cada comitê, eles avaliam quatro principais aspectos. Quando eu falo de aspectos clínicos, segurança, eficácia, população beneficiada, indicações, efetividades e outros resultados; quando eu falo de econômica, tem o impacto orçamentário, eficiência, custos de oportunidade, que é aquele custo do que você, utilizando aquele valor daquela tecnologia, o tanto que você deixa de gastar em outras, custo-efetividade, custo-utilidade e outros custos; em relação ao paciente, a ética sempre, o impacto social, a aceitabilidade, reações psicológicas, conveniências e outros aspectos; e de organizacional, como é que a rede vai difundir essa nova tecnologia, a logística, a capacitação, a utilização e a sustentabilidade daquela tecnologia no SUS.

Então, quanto a mecanismos de participação social da Conitec, no *site* tem o cadastro de pacientes, associação de pacientes, especialistas e gestores do SUS, que é utilizado para divulgação; a perspectiva do paciente, como bem trazido aí pelo Rodrigo; a consulta pública,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

que a Conitec disponibiliza relatórios, não apenas aquele que eu coloquei para vocês, mas também um relatório para a sociedade, uma fala bem direcionada à população em geral; audiência pública, se for necessária; e organizações da sociedade civil.

Então a Conitec e o Ministério da Saúde prezam sempre pela transparência. O *site* da Conitec é bem robusto. Então todas as gravações das reuniões são disponibilizadas, pautas, atas de reunião, demandas que foram avaliadas, demandas em que foram solicitadas avaliação da Conitec e também vários números de incorporação, de não incorporação, está tudo disponível lá no *site*.

Então é muito importante que todos nós acessemos o *site* da Conitec, para que, caso tenha dificuldade de achar algo ou está sentindo falta de algo, possa comunicar ao Ministério da Saúde, que vai ter o maior prazer, a maior honra de colocar no *site* tudo aquilo que servir para a população.

Em relação à hipofosfatemia ligada ao cromossomo X, de que já foi muito bem falado aqui, que é uma doença ultrarrara e progressiva, que afeta a qualidade de vida, causa baixa estatura, no SUS, o tratamento disponível é a administração oral de sais de fósforo e vitamina D para os adultos.

Aqui eu só coloquei um *print* dos fármacos disponibilizados para essa doença ultrarrara e, como bem colocado aqui, o burosumabe está disponível para crianças e adolescentes com até 18 anos incompletos.

Voltando aqui, em relação aos medicamentos...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Rafael, o seu microfone está ficando baixo, não sei se tem que aproximar o fone. Continue, mas atenção ao seu fone.

O SR. RAFAEL POLONI (*Por videoconferência.*) – Vou falar um pouquinho mais alto.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ótimo, ficou bom agora, melhorou, ficou bom.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O SR. RAFAEL POLONI (*Por videoconferência.*) – Perfeito, vou falar um pouquinho mais perto.

Então, esses medicamentos – o carbonato de cálcio –, todos eles, são encontrados nas unidades básicas de saúde. Já o calcitriol e o burosumabe são via Componente Especializado da Assistência Farmacêutica. O calcitriol quem adquire são os estados, ao passo que o burosumabe é adquirido pelo Ministério da Saúde.

Bom, em relação ao último relatório, que está disponível lá no *site* da Conitec, nas evidências clínicas para pacientes adultos, o burosumabe tinha qualidade moderada a baixa. A avaliação econômica do Custo-Utilidade Incremental foi de R\$2 milhões por anos de vida, ajustados pela qualidade. E aí, com o novo preço do fornecedor, reduziu um pouquinho para R\$2,2 milhões por ano de vida, ajustados pela qualidade.

No impacto orçamentário tiveram variações, então depende do cenário, mas podia chegar até R\$1 bilhão em cinco anos e, aproximadamente, R\$300 milhões em um cenário menor.

A recomendação da Conitec, à época, em 2025, foi, pela maioria simples, a de recomendar a não incorporação para o tratamento de pacientes adultos ligado a cromossomo X, para a hipofosfatemia ligada a cromossomo X em adultos.

Entretanto, é importante lembrar que, em 2021 e em 2025 – em que ambos tiveram recomendação desfavorável da Conitec –, saiu essa informação, inclusive na portaria, de que, então, a matéria poderia ser submetida a novo processo de avaliação pela Conitec, caso fossem apresentados fatos novos que possam alterar o resultado da análise efetuada.

Então, coloco aqui o Ministério da Saúde à disposição. Estou anotando tudo que vocês estão falando para poder levar para os superiores. É muito importante a participação de todos e o relatório que vai sair desta audiência pública vai ser de extrema valia para a Conitec ter conhecimento e tomar as devidas providências.

É isso. Obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Rafael.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A maior providência que todos querem aqui é exatamente o que você colocou nos seus eslaides. O remédio vai até 18 anos de idade, mas essas pessoas não se curam no dia que eles completam 17 anos e 29 dias. Elas não se curam a partir dos 18 anos, elas precisam da medicação depois. Então leve isso, Rafael, e tudo o que você ouviu aqui para a Conitec.

Por exemplo, a Maria Lúcia me disse aqui: "Eu fui diagnosticada aos 58 anos de idade. Eu estou vivendo agora, depois do tratamento". E está vivendo tão bem! Gerando renda, gerando emprego, trabalhando. Já casou. Quer casar de novo. *(Pausa.)*

Era bem jovem, né? Quer um outro marido, né?

Se achar, dá meu telefone para o irmão dele, tá? *(Risos.)*

É isso. Viver. Nós temos o direito de viver, o direito à vida. E vida com qualidade, com dignidade. E a Maria Lúcia está aqui, falando: "Eu fui diagnosticada aos 58 anos". E quem não foi diagnosticado ainda? Como é que está vivendo? Quantas dores? Quanto sofrimento? Quanto preconceito, Isaura? Quanto *bullying* – quanto *bullying*?

Então, Rafael, leva essa revisão. Por que o remédio tem que ser até 18 anos? A Sabrina... É Sabrina, né? A sua filha... *(Pausa.)*

A Valentina. É só até os 18 anos? E depois, Valentina? Como é que ela fica sem a medicação?

Então, Rafael, obrigada. Que bom a sua sensibilidade!

O Rafael é um técnico muito sensível. Leva lá o nosso apelo!

Eu vou para a Conitec. Nós vamos produzir um documento desta reunião para a Conitec, Rafael.

A Gabriela ainda está *online*? *(Pausa.)*

Vamos ouvir agora a Gabriela Hidalgo, Assessora do Departamento de Atenção Especializada e Temática do Ministério da Saúde.

Nós estamos com dois representantes do Ministério da Saúde. Isso para a gente é muito bom.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Gabriela, estamos ansiosos para te ouvir e te ver.

Dez minutos, Gabriela.

A SRA. GABRIELA HIDALGO (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigada, Senadora.

Bom, cumprimento todos.

Eu queria agradecer muito essa oportunidade da audiência pública para a gente conseguir que o cuidado seja realmente equitativo e que atenda a todos conforme as suas necessidades.

Queria também cumprimentar o Rafael, meu colega do Ministério. Estamos juntos aqui para a gente ouvir tudo isso e levar para o Ministério as nossas propostas engajadas com a sociedade civil e o Poder Legislativo.

Como tudo da doença já foi falado, como médica, eu queria falar para as mães que convivem com crianças que têm essa condição de saúde, porque é muito importante entender que, sim, existe diferença no tratamento da criança e no tratamento do adulto para essa condição.

Então, para a criança, a gente precisa trabalhar muito a linha de cuidado para que as crianças recebam um diagnóstico precoce, porque conviver, na fase de crescimento dos ossos, com essa doença ativa muda totalmente a vida dessa criança.

Isso é uma luta. Fiquei bem preocupada de ouvir os atrasos das medicações dentro da fase em que a gente já garante a medicação, que é até 18 anos.

O Rodrigo falou de um grupo de trabalho. Talvez esse seja um bom caminho para a gente conseguir ouvir melhor o que vem acontecendo na ponta. Mas, para a criança, e até 18 anos, essa é a principal fase em que nós precisamos ter essa doença controlada para mudar o curso da doença.

A Maria Lúcia, que teve esse diagnóstico já na fase adulta, conviveu, durante toda a fase de crescimento dos ossos, e depois, com as consequências da doença ativa.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, não é igual tratar a criança e tratar o adulto. A gente precisa evitar a incapacidade permanente, para ter esse crescimento dos ossos concluído, para a gente ter uma redução do impacto da doença nessa fase tão importante.

E, por isso, a gente precisa do apoio de todos para a gente construir uma linha de cuidado. Então, a coordenação de doenças raras, aqui eu falo em nome do Coordenador Natan, tem trabalhado na construção dessa linha de cuidado, para que a gente tenha um diagnóstico precoce e que as crianças convivam com a doença controlada, para que elas não tenham alterações de incapacidade nessa fase tão especial, em que a doença não pode estar ativa. Então, esse é um primeiro recorte.

Agora, qual é a diferença para o adulto? Quando a gente fala de uma doença grave, que tem muito sofrimento, cuidar desse sofrimento e melhorar a qualidade de vida das pessoas se chama cuidados paliativos. Muitas vezes, a gente associa o cuidado paliativo só a quem está morrendo, mas isso não é verdade. A nossa portaria de doenças raras foi uma das primeiras a incluir o cuidado paliativo, ou seja, a importância de reduzir o sofrimento e melhorar a qualidade de vida para todos os pacientes com doenças raras, e, nessa condição, não é diferente. Porém, quando a gente avalia, muitas vezes, os estudos, isso é menos valorizado.

Então, por isso, a gente precisa da voz da sociedade civil, porque a gente não está falando só de curso de doença controlada; a gente tem que começar a falar que não é suficiente só isso, de só o osso já ter terminado de crescer. A gente quer ser um adulto que tenha uma boa qualidade de vida, e isso também precisa ser rediscutido, como a própria Conitec abre o caminho para que a gente traga novas evidências. A gente quer sambar, né, Maria Lúcia? A gente quer que a Valentina, mesmo com os ossos já formados, tratando bem na infância, quando adulta, ela não tenha dores.

Então, cuidar do sofrimento de uma doença grave é incluir o cuidado paliativo precoce para que a pessoa tenha um bom percurso de vida, com dignidade. E a gente precisa incluir que isso também seja uma pauta técnica, o que não é menos importante. A gente tem a Política Nacional de Cuidados Paliativos, que vem em 2024, e a gente precisa enxergar que os adultos que convivem com essa doença, apesar de terem os ossos formados, apesar do tratamento tradicional com fosfato e com a medicação nova, dentro dos estudos, parecerem com



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

proximidade de efeitos dentro do osso, não é só do osso de que a gente está falando, a gente está falando de dor, de imobilismo, de conseguir fazer nossas atividades no dia a dia...

Então, todos os relatos de quem trouxe aqui de como é conviver com a doença são justificativas muito importantes e, através de uma proposta de construir um relatório, como a Senadora trouxe para a Conitec, trazendo a importância do cuidado paliativo dentro das condições graves e das doenças raras, fazem parte da dignidade humana e são pauta de direito humano: conviver sem sofrimento, conviver sem dor, conseguir manter a sua funcionalidade, conseguir envelhecer bem.

Então, é importante, sim, a gente diferenciar, na criança... A gente tem uma importância especial, a gente precisa garantir que isso seja precoce, contínuo e até os 18 anos, sem falta.

Já para o adulto, quando o osso está formado, a intenção é outra, mas ela não é menor, porque a gente precisa de qualidade de vida, a gente precisa de dignidade, a gente precisa que a pessoa não viva internada, como a Maria Lúcia falou. Ela vivia internada, não é?

Então, isso não é menos importante e conte com o nosso apoio, Senadora, para a gente conseguir construir essa condução de uma reavaliação da medicação com esse novo olhar. Estamos à disposição como Departamento de Atenção Especializada e Temática. É isso.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dra. Gabriela, obrigada, viu? Obrigada. É uma médica, gente. Que bom que veio uma médica, Assessora do Departamento de Atenção Especializada e Temática do Ministério da Saúde, e de forma sensível.

Nós vamos construir, sim, Doutora. Eu acho que a gente vai terminar esta audiência com o encaminhamento da criação de um grupo de trabalho. Sabe por quê, Doutora? A sua fala foi muito, muito especial, de a gente apresentar um relatório para Conitec.

Enquanto nós estamos fazendo esta audiência, Doutora, a senhora não tem ideia, o Brasil inteiro participando e mandando perguntas, sugestões, querendo saber como ajudar, como contribuir. Pessoas aqui dizendo: "Eu estou em sofrimento". Ela acabou de me mostrar uma foto de uma moça aqui que está sentindo dor 24 horas, fazendo contato com ela aqui agora, mora em Campinas, Gracinda. Gracinda, um abraço para você, está nos assistindo.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, assim, vamos fazer um grupo de trabalho, sim, composto pela Comissão de Direitos Humanos, técnicos da Comissão, eu quero participar do grupo, as instituições, a gente formatar um documento, provocar reuniões com a Conitec...

E obrigada, Dra. Gabriela e Rafael. Foram os dois técnicos que vieram apresentando o departamento deles, o trabalho deles, mas eles foram muito sensíveis, porque às vezes a gente vê o Ministério da Saúde mandar técnicos que não têm a sensibilidade que vocês trouxeram na fala. Eu estou muito feliz com a participação do Rafael e da Gabriela, mas agora que vocês se mostraram, falaram, são vocês que a gente vai acionar. São dois técnicos que mostraram muita sensibilidade, muito obrigada.

Eu registro também a participação, aqui no auditório, do Phellip Alcantara, advogado da Federação Brasileira das Associações de Síndrome de Down.

Registro que a Aline, do DF, pergunta o seguinte: "Quais medidas de descentralização ou telemedicina o SUS pretende adotar para garantir equidade no diagnóstico precoce [...]".

Renan, de Pernambuco: "Como garantir acesso equitativo ao tratamento do XLH no SUS e a continuidade do cuidado na transição para a vida adulta?".

Eduardo, de Rondônia, olha que interessante: "Há previsão de incorporação de tratamento para adultos com XLH? Em que estágio está essa análise?". Essa pergunta aí vai muito para o Ministério da Saúde e Conitec.

Helio, de Tocantins: "Por que a dificuldade do SUS em tratar doenças raras? Por que tanta ineficiência na aplicação dos recursos do SUS?".

A gente tem dois comentários do Rio de Janeiro, vem de Josue: "XLH exige tratamento vitalício no SUS. Pacientes devem ser reconhecidos como PcD, com direito à aposentadoria e dignidade".

Emiliano, do Rio Grande do Sul: "Gostaria de solicitar às nossas autoridades para que sejam disponibilizadas medicações especiais de alto custo para o povo brasileiro".



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Gente, nós estamos chegando ao final da nossa audiência, mas nós temos dois pedidos, do auditório, de fala. Um é Luiz Carlos Malito Filho; ele está presente ainda? Malito, pai da Lúcie, paciente XLH.

Dois, três minutinhos, no máximo, pode ser? Tá?

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – É rapidinho.

Todos me ouvem?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Sim, pode falar.

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – Queria agradecer a oportunidade e a realização desta audiência com V. Exa.

Eu sou o Luiz Malito, pai da Lúcie, uma jovem de 3 anos que tem o XLH. Ela tem acesso ao tratamento do SUS.

Como pai, a gente quer cuidar, quer o melhor para os nossos filhos; como pai de uma criança com uma doença rara, esse sentido de proteção aflora, ele fica 24 horas por dia na gente. A Lúcie é uma menina cheia de vida, com 3 anos, totalmente independente: ela gosta de escolher as próprias roupas, os sapatinhos, ela acessa os armários e as gavetas, sobe no carro sozinha – e aí de quem tentar ajudar sem ser solicitado! Vai ter um problema com a Lúcie – e ela é uma menina com XLH.

Hoje, as crianças têm direito e têm acesso ao tratamento no SUS – isso é uma vitória! Isso faz com que a Lúcie tenha todas as oportunidades que as crianças da idade dela têm. Só que a Lúcie vai crescer, ela vai ser uma adolescente. E o que eu vou dizer para ela, ativa – não tenho dúvidas de que vai ser esportista –, na hora em que ela for perder o acesso ao tratamento?

O acesso ao tratamento é fundamental: ele reduz a dor, ele garante a autonomia, ele garante o desenvolvimento e ele evita a progressão da doença! Então, não é questão de partir para o paliativo; eu não posso deixar... Eu preciso evitar a progressão da doença na minha filha! Isso não é só sobre saúde, é sobre o futuro da Lúcie.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O acesso ao tratamento impacta não só a Lúcie, mas toda a família, porque é uma segurança, é uma tranquilidade, é uma esperança. Eu acredito na equidade, e equidade é garantir o que cada um precisa! A equidade no XLH é garantir o acesso ao tratamento na infância, na adolescência, na fase adulta e na velhice – todos precisam.

Eu estou aqui hoje como pai da Lúcie, mas para apoiar a continuidade desse tratamento, para que todas as crianças cresçam e não percam esse cuidado. Então, eu peço a continuidade no tratamento, a equidade no acesso, e eu peço a segurança para que a Lúcie, a Valentina e todas as crianças tenham as oportunidades a que elas têm direito.

Eu agradeço imensamente, Exma. Senadora, a todas as organizações, aos cuidadores e pacientes, que hoje são meus amigos, que estão nesse movimento coletivo. Eu acredito que a gente consegue, e eu estou aqui hoje pela Lúcie e por todos. (*Manifestação de emoção.*)

Obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Luiz, que bom, que bom que a gente te ouviu! A gente não tem como regra ceder a palavra ao Plenário, mas que fala extraordinária, que contribuição, porque nós estávamos com a mesa só com mães, aí veio um pai ali, agora, guerreiro...

Você tem foto da Lúcie?

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – Tenho.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Eu quero ver a foto da Lúcie.

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – Eu tenho dela pulando. Como ela teve uma dificuldade no início da vida, ela foi muito precoce.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ahn?

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – E hoje, ela... Tinha uma linha reta, e as pessoas começam a pular.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Hã-hã.

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – Dois pés de um lado para o outro, e ela não conseguia, mas ela não sossegou enquanto ela não conseguiu.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Que coisa linda!

O SR. LUIZ CARLOS MALITO FILHO – E hoje, para tudo que ela quer, ela vem pulando de ré, ela vem pulando. (*Risos.*) E ela sabe que ela consegue o que ela quiser de mim, dando pulinhos – e ela não desiste de nada. Eu queria dizer que eu sou uma pessoa tímida, eu sou um introvertido. Agora, é o que eu falei: esse instinto de proteção aflora nos pais, no cuidador. Então, eu faço o que for preciso, eu estou disponível para todas as associações, para todas as organizações, para qualquer grupo. Eu estou aqui para o que vocês precisarem.

Eu agradeço novamente.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Luiz, a Lúcie vai ter muito orgulho que o pai tenha largado tudo em casa hoje, para vir aqui ao Senado Federal, na maior Casa de Leis do país, a Câmara Alta, para lutar por ela e por todas as crianças – ela vai ter muito orgulho de você. Esta audiência aqui vai se perpetuar. Já entramos para os *Anais* da história do Senado, nós estamos em notas taquigráficas. Queira ou não queira, o Senado parou tudo hoje para falar de vocês. E Lúcie vai ter muito orgulho desse pai.

Se você puder compartilhar ali com Camila a foto de Lúcie, se você permitir a gente conhecer Lúcie, o senhor ir até o final seria uma alegria.

A Adenair Machado, paciente com XLH, pediu a palavra também. Ela está aí ainda? (*Pausa.*)

Ela está aí, a Adenair. É uma alegria tê-la aqui.

A SRA. ADENAIR ANA MACHADO – Muito obrigada, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Fala de onde você é, tá?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. ADENAIR ANA MACHADO – Eu sou Adenair, sou uma paciente. Eu sou de Rio Bonito, interior do Rio de Janeiro.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Também veio com o dinheiro dela, do Rio de Janeiro. Obrigada por estar aqui com a gente. Chorou a audiência toda, não foi? Foi a que mais chorou aqui.

A SRA. ADENAIR ANA MACHADO – Eu fui diagnosticada tarde, com 37 anos – briguei muito por esse diagnóstico. Por ter um filho que... Eu achei que era uma doença genética, porque eu tive um filho com XLH. E a senhora até pontuou uma coisa muito importante no início desta audiência, sobre como seria uma gravidez. E é um período muito difícil, um período em que a gente é carregado o tempo todo, porque a gente não aguenta, as pernas não aguentam o peso, e existe todo o risco que tem de se ter um bebê prematuro.

Meu filho é prematuro, hoje tem 20 anos. Louvo a Deus pela vida dele, pela vida do pai, que não desistiu, porque a gente vê muitas famílias desistindo – e hoje eu estou aqui por ele. O diagnóstico dele foi no início, foi na infância. Ele começou, teve acesso ao SUS.

E, todas as vezes que a gente pega o medicamento, a nossa pergunta é: mês que vem a gente vai ter o medicamento? Porque a gente sabe que ele não tem mais direito. Eu tomo o medicamento também, mas é por processo judicial e não temos garantia. Ficamos, como Maria Lúcia falou no início, um período sem medicamento, e eu parei de andar nesse período.

Como foi falado aqui pela Doutora, no início, a doença não é curada com esse medicamento, é para nos dar uma qualidade de vida, é uma autonomia. Por isso que a gente está aqui para ser visto e ser ouvido. Não adianta eu agora chegar e falar: meu filho não precisa mais, porque meu filho já tomou e agora ele já tem 20 anos. Só que eu sou prova viva disto: eu tenho XLH e, se eu paro de tomar o medicamento, eu paro de andar, os ossos emborracham. Eu vou voltar a fazer mais cirurgias – eu já tenho 14 cirurgias nas pernas. Para eu não ser dependente, eu prefiro ir para um centro cirúrgico. Então, isso eu ensinei ao meu filho: é uma luta constante! Não adianta parar o medicamento. Se parar o medicamento, eu vou para o pronto-socorro com os dentes necrosando, sem medicamento. Então, a doença não estagna, ela é contínua.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, a gente está aqui para ser ouvido e ser visto, porque é muito difícil caminhar sem a medicação. E eu louvo a Deus pela vida da senhora, pela vida de cada um que está aqui, por cada instituição que não tem só ouvido a gente, mas tem caminhado com a gente, porque isso é muito importante e cada relato aqui deixa a gente chorando... É difícil, porque a gente vive isso e já até ouviu assim: "É melhor aceitar, porque dói menos", mas a gente sabe que tem esse direito, e, com vocês, a gente caminha e vai conseguir uma autonomia, caminharmos juntos para aqueles que ainda não têm o diagnóstico não passem pela luta que nós estamos passando.

Muito obrigada, Doutora. *(Palmas.)*

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Adenair, obrigada! Obrigada por ter vindo, saído de casa, gastado o seu dinheiro, aceitado o desafio de estar aqui – com esse sotaque lindo, carioca – e nos desafiar. Obrigada.

Ministério da Saúde, Dr. Rafael, Dra. Gabriela, espero que tenham escutado com muita atenção o relato da Adenair. É doloroso! Quatorze cirurgias na perna! Quanto custa uma cirurgia? Quanto custam dois dias dela na UTI? Vamos fazer essa conta em relação à dose do remédio que ela toma. Sai mais barato o remédio. Eu sei que o remédio é caro, mas, quando a gente faz essa compensação, sai mais barato mantê-la tomando o remédio do que internando-a para novas cirurgias.

Adenair, obrigada por ter vindo!

Gente, todo mundo quer falar, mas a gente não tem muito tempo. Mas o Instituto Amor e Carinho, Wesley, pediu a palavra. Depois do Wesley, nós vamos ouvir o Vereador e encerrar a participação do auditório, porque a gente está com o horário já bem vencido.

Wesley Pacheco, Instituto Amor e Carinho.

O SR. WESLEY PACHECO – Senadora, muito obrigado pela palavra. Prometo ser rápido e fazer uma colocação para ajudar e contribuir com esta audiência pública que nós estamos tendo aqui.

Pacientes jovens, até 18 anos, incorporado; pacientes adultos, o único acesso é via judicial. E o que está acontecendo no Brasil, hoje? Pacientes que estavam recebendo medicação, hoje,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

por causa dos Temas 6 e 1.234, estão perdendo o direito de acesso. Pacientes que recebiam medicação já há três, quatro anos estão ficando sem medicação.

Eu tenho pacientes lá, no Brasil inteiro, e hoje, por causa de um dos quesitos que se pede dentro desses temas, que é a incorporação pela Conitec, todo o Judiciário está derrubando o acesso dos pacientes com medicação, principalmente burosumabe. Isso é grave!

Nós escutamos aqui a Maria Lúcia falando que ela tem o uso da medicação, ela faz uso da medicação. Se ela ficar sem a medicação, vai ter dores crônicas e vai voltar para o estágio zero. Então, muitos pacientes no Brasil, hoje, com raquitismo, adultos, estão ficando sem o acesso à medicação por causa desse quesito, que é a não incorporação pela Conitec. O Judiciário hoje está negando aos pacientes o direito de acesso à medicação. Isso é grave!

E, assim, a gente precisa brigar para mudar, principalmente essa incorporação. Tem juízes que, às vezes, não estão colocando e falam: "Não dou direito ao acesso porque um dos quesitos é não incorporação pela Conitec". Só que, no que o médico decide, no tratamento, ele está tendo muita dificuldade no Brasil. Então, isso é grave.

Maria Lúcia é acolhida por nós, a irmã dela é acolhida por nós. Qual é o quesito? Não incorporação pela Conitec. Então, a irmã não tem direito ao acesso. Só que, na maioria, os pacientes têm liminar. Na maioria dos pacientes, não foi transitado em julgado. Essas liminares estão caindo, estão voltando para trás. Está sendo grave o direito de acesso aos pacientes.

Então, eu só queria fazer essa colocação para que a Senadora também olhasse para esse lado, porque os pacientes adultos estão sofrendo demais.

Muito obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, obrigada.

E você traz uma outra situação bem grave, Wesley: tem que judicializar.

Imagina a cidade em que a pessoa que tem raquitismo não tem um defensor público, em que a Defensoria Pública é aquela itinerante, que passa uma vez.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu cito muito o exemplo de Marajó. Eu trabalhei muito tempo com Marajó. O defensor público entra num barco – de uma cidade para outra, são sete dias, até chegar naquela cidade –, atende, vai. Quando ele voltar naquela cidade em que ele fez o atendimento... Ele vai demorar 60 dias para voltar naquela cidade de novo, até ele fazer o percurso. Como que essas pessoas judicializam? A comarca mais perto está onde? O fórum mais perto está onde?

Então, gente, é grave. O que nós estamos colocando aqui é extremamente grave e são respostas que o Estado brasileiro precisa dar.

Ao nosso Vereador da cidade de Gramado, Roberto Cavallin, para suas considerações finais.

Obrigada por ter deixado tudo lá na Câmara para estar conosco aqui, hoje.

O SR. ROBERTO CAVALLIN (Para expor.) – Bom dia, Senadora.

Cumprimento a Senadora Damares e também a Comissão de Direitos Humanos.

Estamos aqui discutindo, Senadora, sobre dignidade para essas pessoas.

Também quero cumprimentar o Governo, na pessoa da Gabriela, médica e, acredito, mãe, e do Rodrigo; a Rafaelli; a Dra. Maria Helena; a Maria Lúcia.

Eu quero falar da Isaura, mãe da Valentina. Não tem como não se emocionar – né, Senadora? Mesmo sendo um político. Obrigado por não ter desistido, Isaura, e nunca ter parado pelo caminho na tua luta. Você é orgulho para nós, gramadenses e gaúchos, povo que luta e que, de várias batalhas pela história, Damares, somos conhecidos.

Implorar por medicação, Senadora... A dificuldade não é de apenas hoje, é permanente. Que todos nós possamos lembrar todas as dores e todos que estão aqui por todos os dias.

Gabriela, do Governo, a luta é incorporar tudo isso ao SUS, para que todos – e como eu repeti e vou repetir – dignidade possam ter.

Parabéns ao Wesley, a todas as entidades.

Eu acho que, Damares, a gente precisa sim... Porque eu convidei inclusive o Presidente da Câmara de Vereadores. Eu acho que vocês todos devem ir para dentro das câmaras de



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Vereadores, exigir moções de reconhecimento a essa luta, a essa batalha. Nós temos que levar lá para ponta da linha, como a Isaura fez, entrou dentro da Câmara de Vereadores, dizendo: "Eu não sou escutada". E eu acho que é esse o trabalho, né?

E aí, aqui, eu tenho, sim, Senadora, que fazer um discurso político, tá, Senadora? Porque tanta discussão... E aí a minha estada aqui em Brasília custou R\$210 – o meu hotel –, e nós temos um Presidente da República gastando hoje, na Alemanha, R\$812 mil num hotel de luxo. Então, acho que a gente tem, sim, é que colocar os pés no chão e lembrar a dor de cada um que aqui foi passada.

Que o Senado possa, sim, Senadora, trazer cada um que hoje está aqui lutando pelo seu dia a dia, pelas suas dores; que ele possa arcar com esses gastos; que as pessoas possam ser ouvidas. Isso é política de verdade, e não política politiqueira, lá de discurso de eleição.

Então, que tragam as pessoas para cá, que ouçam as entidades, que ouçam as mães, que ouçam os pais que vêm aqui por dores. E é uma luta pela vida toda: não por um momento, não por uma foto, não por um discurso; e, sim, por dores com que vivem e convivem, como a médica aqui passou. E coloco aqui, e ouvi de várias cirurgias...

Imagine uma pessoa, Senadora: 12, 15, 20 cirurgias pela vida, e saber que isso é uma luta que não vai trazer uma pessoa à normalidade. E ainda o que enfrentam aí de discriminação...

Então, obrigado, Senadora. Obrigado à Comissão.

Que a gente possa voltar, que este debate continue e que seja contínuo, dia após dia.

Obrigado, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Vereador. (*Palmas.*)

E o Vereador deu uma ideia bem prática e que funciona.

Se as câmaras de Vereadores do Brasil fizerem uma moção de apoio e aprovarem, por unanimidade, lá na câmara, apoiando a causa da incorporação... que a medicação seja estendida para o adulto, e essa moção chegar ao Ministério da Saúde... Eu sugiro que mandem uma cópia para esta Comissão, porque eu posso reunir todas.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Aí a gente chega lá e fala: "Olhem, são só 200 milhões de brasileiros pedindo", porque o Vereador representa o povo, entenderam? Então, a gente tem de lançar essa campanha nos municípios.

Atenção, câmaras de Vereadores: envolvam-se com o tema também, mandem moções aqui, para a gente juntar no grupo de trabalho e mostrar que é um pedido da sociedade.

E nós não estamos pedindo nenhum privilégio. Nós estamos pedindo direito, garantia de direito. E também não estamos pedindo esmola, tá? Nós estamos pedindo tão somente a garantia de direito.

E, para encerrar o auditório – eu não podia deixar, gente; eu esqueci –, a Valentina também vai falar.

Por favor, Rafael, ajude a Valentina com o microfone.

Como a Valentina vai embora sem falar?

Não, Valentina, você veio de longe, você vai falar também.

A SRA. VALENTINA ALEJANDRA DA SILVA ESPINOZA – Tá. O meu nome é Valentina, eu tenho 13 anos e hoje estou aqui não só por mim, mas por muitas crianças e adolescentes que não têm chance de serem ouvidos.

Eu nasci com uma doença rara, chamada raquitismo hipofosfatêmico. É uma condição que afeta meus ossos, causa dores constantes e interfere no meu crescimento.

Viver com isso já é um desafio diário, mas não é o único. Na escola, onde eu deveria me sentir segura, acolhida e respeitada, eu enfrento o *bullying*. São palavras, atitudes e olhares que machucam profundamente, mas dói perceber que, muitas vezes, isso acontece sem que haja uma atitude firme de quem deveria me proteger. Machuca quando a direção não age. Machuca quando o problema é ignorado. Machuca quando a gente sente que a nossa dor não importa. E essa realidade não começou comigo.

Eu cresci ouvindo minha mãe contar sobre a infância dela. Ela também sofreu bullying na escola, ela também foi ignorada e hoje, anos depois, eu estou vivendo aqui algo muito parecido. Isso não deveria acontecer; histórias de dor não deveriam se repetir de geração em geração.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Além disso, enfrento uma luta constante: o acesso ao meu tratamento. O medicamento que eu preciso não chega de forma regular; existem meses em que eu fico sem e, quando isso acontece, a minha condição só piora.

Eu peço que olhem para as pessoas com doenças raras com mais cuidado e responsabilidade, que garantam o acesso contínuo aos tratamentos, que as escolas sejam ambientes seguros de verdade, onde o *bullying* seja combatido com seriedade.

Quero que a minha história não seja mais uma história de negligência e quero que nenhuma outra criança precise passar pelo que eu passo hoje.

Muito obrigada. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Uau! (*Fora do microfone.*) Valentina!

Vereador... Você perdeu a cadeira, Vereador! Perdeu! A nossa próxima Vereadora... E eu vou cuidar da minha, porque essa menina vai chegar aqui no Senado.

Valentina, que coisa linda! Obrigada!

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (*Fora do microfone.*) – Orgulho!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Orgulho, mãe! Orgulho!

Eu não posso interromper o tratamento dessa menina, gente.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (*Fora do microfone.*) – Ela é assim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – E, aos 18 anos, ela tem que continuar recebendo remédio. Essa menina tem futuro, inclusive, político, Valentina. Vou te desafiar a ser... Eu vou lá pedir voto para você quando você fizer... Desculpa, Vereador! Você que se candidate a Prefeito porque a minha Vereadora lá vai ser ela.

Que Deus te abençoe, Valentina! Você falou em nome de muitas crianças do Brasil, muitos adolescentes. Que bom que eu passei a palavra para você! Que bom!



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Agora a gente vai para o final, e no final a gente faz o seguinte: eu devolvo a palavra à mesa, por dois minutos, para agradecimentos, considerações finais.

A Dra. Maria Helena já foi embora.

Vamos ouvir por dois minutos a Maria Lúcia, na sequência. Agradecimentos e considerações finais, Maria Lúcia. Dois minutos, que o nosso tempo já foi.

A SRA. MARIA LÚCIA DE ALMEIDA MOURA GOMES (Para expor.) – Sem palavras. Muito obrigada a todos.

Na verdade, é assim: eu nem tenho palavras de tantos agradecimentos. É uma coisa assim, a gente fica sem palavras; eu fico estarrecida porque, quando a medicação falta, o estado psicológico da gente, além das dores, é tão grande, que você não tem palavra para falar.

Muito obrigada, Senadora.

Muito obrigada a todos que fazem parte e um bom-dia bem especial para vocês. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Maria Lúcia! (*Fora do microfone.*)

Obrigada, Maria Lúcia! Leve um abraço para todos de Recife.

Obrigada. É uma alegria ter recebido você aqui, hoje.

Isaura, dois minutos para agradecimentos, se você conseguir, por favor.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (Para expor.) – Eu quero dizer que, para mim, enquanto pessoa com deficiência, foi um desafio muito grande, pela questão da acessibilidade.

Como eu tenho muitas dores, por conta do XLH, então, a questão de ônibus, vindo de Gramado... Como eu tenho perda auditiva, a questão do avião é bem complicada para mim.

Assim, eu agradeço muito a Deus. A senhora falou da fé. Eu estou aqui por causa da fé, porque eu levantei muito ruim hoje, mas escutar a minha filha falar coisas que ela... Ela montou o texto, e é o que a gente está vivendo, a questão do *bullying*, que não deveria existir mais.

Assim...



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Valeu!

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA – ... como a Maria Lúcia disse...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Valeu todo o sacrifício.

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA – ... eu sou uma mãe orgulhosa. Vale a pena.

É isso. Muito obrigada. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Isaura.

Profa. Isaura, a senhora nos emocionou desde o início, e não está fácil para ela ficar sentada três horas aqui, gente, com dor. Sentiu dor na viagem, dor para dormir, dor para ficar aqui, e ficou, mas eu acho que valeu a pena seu sacrifício.

A Isaura me disse uma coisa em segredo aqui, viu, Ministério da Saúde? O que a Isaura me disse – eu nem pedi permissão a ela, mas eu vou falar – foi que a filha recebe a medicação, mas ela não recebe; então, ela tem as dores. E por que ela não recebe? Ela tem medo de pedir a medicação e, na hora de cruzarem o endereço, verem que é o mesmo da filha, e a filha ficar sem a medicação. Não é justo, Ministério da Saúde, não é justo isso: a mãe continuar sentindo dor para que a filha não sinta dor. Vamos falar sobre isso depois, Isaura.

O Instituto Carinho também falou sobre isso; às vezes, na família tem duas pessoas com a doença, mas só uma está recebendo – o Rodrigo também falou. Não é justo a gente escolher quem vai sentir dor – não é justo.

Isaura a gente vai falar sobre o seu caso...

A SRA. ISAURA TEREZINHA DA SILVA (*Fora do microfone.*) – E nem recebendo...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Com medo e já sofrendo, porque, daqui a pouco, ela vai parar de receber.

Rafaelli Cardoso, dois minutos para agradecimentos.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Inclusive, gente, a Rafaelli me mostrou e me entregou as cartilhas que o Instituto Mundo XLH faz, umas cartilhas lindas. Procurem depois o perfil do instituto; o material está lá também, baixem, reproduzam, façam na sua cidade. O Instituto inclusive libera para que você imprima na sua cidade. O material está lindo! Obrigada pelo trabalho de vocês.

Rafaelli, dois minutos para agradecimentos.

A SRA. RAFAELLI CARDOSO SILVA (Para expor.) – Bom, agradeço novamente pelo espaço; o debate foi muito bom. Fiquei surpreendida em ouvir a fala da Dra. Gabriela; à apresentação que o Sr. Rafael fez, eu já assisti inúmeras vezes, mas gostei e fiquei bem feliz com a oportunidade que foi criada aqui hoje.

Muito obrigada, Senadora Damares, pela oportunidade de nos comprometermos com um prognóstico diferente para as pessoas com o XLH.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, muito obrigada.

Rodrigo, dois minutos para agradecimentos, se você conseguir.

O SR. RODRIGO DE ARAÚJO DA SILVA (Para expor.) – Obrigado, Senadora, pelo apoio, pela dedicação, pelo carinho que você tem. Se não fosse a senhora, a gente não conseguiria tratar muito desse tema, e tenho certeza de que, enquanto a senhora estiver na Presidência, a gente vai ter esse apoio da Comissão.

Eu gostaria de solicitar, Senadora... Só queria chamar a Fátima Xavier, que é a Presidente de uma associação nossa. Gostaria de entregar para a senhora uma lembrancinha representando todos os nossos pacientes.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Opa! (*Pausa.*)

Ela também está entregando um documento.

(*Intervenção fora do microfone.*)



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. FÁTIMA XAVIER (Para expor.) – Bom, gente, o que eu vou falar vai ser muito rápido... (*Fora do microfone.*) Vai ser muito rápido o que eu vou falar. Quando eu cheguei aqui, no dia 7 de março, junto com o Rodrigo, encontramos a Senadora no corredor e viemos pedir esta audiência pública.

Dentro do avião, quando eu saí de João Pessoa – porque eu moro em João Pessoa –, pedi a Deus e falei: "Deus, eu não sou merecedora, mas a gente está indo por tantas famílias, por tantas pessoas que estão em sofrimento. Então, abra os caminhos e toque os corações desses políticos", e a gente encontrou a Senadora Damares, que abraçou esta audiência pública, nos ajudou e está nos ajudando. A gente agradece muito a esta Casa e à Senadora.

Também sou portadora de uma doença rara e não estou aqui só ocupando um cargo de Presidente, mas também lutando por toda a comunidade de raros. Então, este espaço aqui, para a gente hoje, é de grande importância. Não podemos conviver com o fantasma da negação e da interrupção. O tratamento é fundamental para todos nós. Hoje em dia, no Brasil de hoje, não pode ser escolhido quem tem que ser tratado; todos têm direito a tratamento. O que a gente está pedindo é ampliação do tratamento para XLH. E o pior já foi feito: ele já está incorporado ao SUS. Então, a gente precisa da ampliação porque a doença é genética e crônica. As sequelas não deixam de existir, e cada vez vão aparecer mais sequelas.

Então, a gente pede, com todo carinho, para a Conitec que analise esse pedido da gente e que ajude essa comunidade, essas pessoas, porque existem famílias que estão em sofrimento, porque não é só o paciente que sofre; toda a família sofre com a dor do paciente, toda a família fica doente, todo cuidador fica doente. Então, a gente está aqui pedindo para que se ajude essa comunidade e que tenha essa ampliação.

Muito obrigada a todos. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Fátima.

Gente, olha! Brasil, olhe que coisa mais linda que eu ganhei, feito por paciente. Olha isso aqui! Olha, eu vou virar assim para a TV Senado mostrar como é colorido. Olha isto aqui! Gente do céu! Todo Senador que quiser ganhar um tem que entrar na causa. (*Risos.*)



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu vou compartilhar com o Ministério da Saúde o documento que vocês encaminharam junto com o relatório da audiência.

Rafael Poloni ainda está conectado?

Rafael, agradecimentos e considerações finais. Rafael, representante do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde.

O SR. RAFAEL POLONI (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom, só queria agradecer mesmo todos os relatos e reforçar que o Ministério da Saúde está à disposição de todos vocês.

A gente aguarda, então, receber o relatório, Senadora, e também o documento deixado aí, para que a gente consiga fazer os encaminhamentos dentro do ministério sobre o tema.

Agradeço-lhe demais. Foi muito rica a discussão, e fiz todas as anotações.

É só agradecer mesmo a todos vocês por compartilharem conosco todos esses relatos de extrema importância.

Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dr. Rafael, assim que a gente montar o relatório e os encaminhamentos, a gente manda-os para vocês, e vamos mandar orando. Eu oro. Eu vou orar em cima do documento: "Deus toque no coração do pessoal da Conitec".

Foi uma alegria, Rafael, ter você, de novo, com a gente.

Dra. Gabriela, ainda está *online*?

Dra. Gabriela, que emocionou todo mundo com sensibilidade, dois minutos para agradecimentos e considerações finais.

E não vai embora porque eu vou mostrar a foto da Lúcie ainda, a gente vai terminar com uma imagem bonita.

A SRA. GABRIELA HIDALGO (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom, faço as do Rafael minhas palavras.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Agradeço-lhe a oportunidade de participar de um espaço tão potente, a todos os relatos, e agradeço especialmente à Valentina, que, tão jovem, trouxe aqui um discurso tão potente.

Nós estamos juntos e estamos ouvindo.

Parabéns, está bom, Valentina?

Obrigada a todos.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Doutora.

A gente vai procurá-la e vai explorar muito a sua sensibilidade, viu, Dra. Gabriela?

E, agora, a gente encerra esta reunião, e, com a autorização do pai, nós vamos mostrar uma imagem da Lúcie, que está bem, que está pulando. E a gente quer todas as lúcies, todos os pacientes pulando e que eles tenham o direito de pular, de rir. E a gente encerra, com essa imagem positiva.

Foi uma audiência na qual a gente falou de coisas tensas, mas a gente quer encerrar de uma forma muito terna.

Obrigada, Luiz, por compartilhar a imagem dela.

Vamos vê-la pulando, feliz da vida?

(Procede-se à exibição de vídeo.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Que linda!

(Procede-se à exibição de vídeo.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – É muito linda!

(Procede-se à exibição de vídeo.)



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ela não cai.

(Procede-se à exibição de vídeo.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ela merece pular a vida inteira.

Obrigada. *(Palmas.)*

Acreditando que nós cumprimos o objetivo da audiência, que foi dar visibilidade ao problema que vocês estão enfrentando, acreditando que nós cumprimos a nossa missão, quero agradecer a todos que vieram de longe – meu Deus, que dificuldade! –, alguns com dores.

Obrigada por terem acreditado nesta audiência pública. Ela não vai ficar apenas neste debate.

Eu delibero, no sentido da Secretaria, que seja criado um grupo de trabalho interno nesta Comissão, convidando a Comissão de Saúde do Senado para participar do grupo de trabalho, para a gente criar um relatório e encaminhar à Conitec; e que não fique apenas no relatório, mas que a gente acompanhe o debate e todos os pacientes.

Obrigada, Brasil, por estarem conectados com a gente. Vieram perguntas de todos os lugares do Brasil. Demos visibilidade, viu, Adenair? Acho que a gente deu um passo diferente hoje. A gente muda a história da luta de vocês, trazendo esta visibilidade.

Desta forma, nada mais tendo a tratar, agradeço a presença de todos e declaro encerrada a nossa audiência pública.

Obrigada. *(Palmas.)*

(Iniciada às 10 horas e 12 minutos, a reunião é encerrada às 13 horas e 02 minutos.)