



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 9ª REUNIÃO, EXTRAORDINÁRIA, DA COMISSÃO DE DIREITOS HUMANOS E LEGISLAÇÃO PARTICIPATIVA DA 3ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 07 DE ABRIL DE 2025, SEGUNDA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR NILO COELHO, PLENÁRIO Nº 2.

Às dez horas e onze minutos do dia sete de abril de dois mil e vinte e cinco, 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, Giordano, Sergio Moro, Marcos do Val, Plínio Valério, Cid Gomes, Jussara Lima, Mara Gabrilli, 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 15/2025 - CDH, de autoria Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF). Finalidade: Ciclo debates sobre: "Os direitos das pessoas com deficiência e doenças raras". Participantes: Claudio Drewes José de Siqueira, Procurador Regional da República da Procuradoria Regional da República da 1ª Região; Valdenize Tiziani, Diretora Executiva do Hospital da Criança de Brasília José Alencar; Santusa Pereira Santana, Presidente do Instituto DNA Saúde; Eduardo Nunes Queiroz, Defensor Público Federal; Dra. Maria Teresinha de Oliveira Cardoso, Médica especialista em Genética Clínica, Coordenadora da Sociedade Brasileira de Genética Médica da Região do Centro-Oeste e Professora do Curso de Medicina da Universidade Católica de Brasília (UCB); Natan Monsores, Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde; Lauda Santos, Vice-Presidente da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras - FEBRARARAS; Gabriel Yamin, Líder do Movimento #somosTODOSgigantes; Adriana Vilas Boas, Ex-coordenadora de doenças raras do Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos, pessoa rara, mãe de rara e filha de pai raro; Jaqueline de Araújo Silva, Mãe do Isaac Bruno Passos Araújo Silva, diagnosticado aos 10 anos com Adrenoleucodistrofia; e Dr. Salvatore Rinaldi, Instituto Fontani na Itália. Resultado: Audiência Pública realizada. Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às treze horas e doze 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/multimedia/eventos/2025/04/07>

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Fala da Presidência.) – Declaro aberta a 9ª Reunião, Extraordinária, da Comissão Permanente de Direitos Humanos e Legislação Participativa do Senado Federal da 3ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura.

A audiência pública será realizada nos termos do Requerimento nº 15, de 2025, de minha autoria, para a realização do ciclo de debates sobre "Os direitos das pessoas com deficiência e doenças raras".

Eu acho que todos os senhores entenderam "ciclo de debates". Então, doutor, nós teremos aqui uma série de debates sobre pessoas com deficiências e doenças raras à luz dos direitos humanos. Nós estamos sempre brigando lá na CAS, na Comissão de Assuntos Sociais, na comissão de saúde, mas aqui nós vamos trabalhar sob a luz dos direitos humanos, sob a luz dos direitos, não só do paciente como da família. Então é um ciclo, e a gente inaugura hoje o primeiro... nós inauguramos hoje o ciclo com o primeiro debate. E por que no mês de abril? O mês da saúde, o mês destinado à saúde.

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](http://senado.leg.br/ecidadania), ou pelo telefone da Ouvidoria, 0800 0612211. Essa ligação é gratuita.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nós vamos fazer duas mesas. A primeira mesa é composta pelos seguintes expositores, em que cada um terá dez minutos. Nós temos um cronômetro lá atrás para os nossos expositores da mesa acompanharem, e nós vamos soar a campainha para quem estiver *online*. São dez minutos, mas eu sou extremamente generosa. A Comissão fica brava comigo, o Secretário fica bravo, mas eu sou extremamente generosa. Se precisar passar de dez minutos, eu acho que o tema é tão delicado, a gente ficar limitando minutos para a gente debater direitos eu acho extremamente complicado. Mas a gente vai tentar se manter no prazo, porque nós temos dez oradores. São duas mesas de cinco oradores cada uma.

A primeira mesa eu convido para se compor, e já está conosco o Dr. Claudio Drewes José de Siqueira, Procurador Regional da República da Procuradoria Regional da República da 1ª Região. Um companheiro, um amigo já de alguns anos, parceiro na luta pelos direitos das pessoas com deficiência, um profissional que nos inspira e que, quando a gente está querendo desistir, o Dr. Claudio vem, puxa a orelha da gente e fala "não desista, vamos embora, temos muito pra fazer". Dr. Claudio, seja muito bem-vindo, é uma alegria recebê-lo nesta Comissão.

Convido para compor a mesa a Sra. Valdenize Tiziani, Diretora Executiva do Hospital da Criança de Brasília José Alencar. Que prazer, Doutora, que prazer. Uma honra recebê-la conosco – essa mulher que Brasília ama, o Brasil ama, as crianças amam. É uma honra tê-la conosco. Obrigada por tudo que a senhora está fazendo pelas nossas crianças em Brasília e do Brasil, porque a gente sabe que são crianças do Brasil inteiro que são cuidadas por vocês.

Está conosco também – e eu convido para compor a mesa – a Sra. Santusa P. Santana, Presidente do Instituto DNA Saúde, outra guerreira, que agora está com uma missão nacional comigo de motivar todos os Prefeitos, Vereadores, Prefeitas que foram eleitos a terem, em seus municípios, ações voltadas para as pessoas com doenças raras.

Dr. Claudio, nós tivemos um treinamento recente, há duas semanas, com mais de 700 Vereadoras, Prefeitas e Vice-Prefeitas eleitas só do meu partido, e a Dra. Santusa apresentou para elas 50 ações que as nossas Prefeitas podem fazer nos seus municípios, 50 ações práticas, para as pessoas com doenças raras, para as famílias atípicas, para as pessoas com deficiência. E o nosso objetivo, Doutora, é que nenhuma criança com doença rara, com autismo, com deficiência, com nanismo, Gabriel, nesses municípios, fique para trás. E quem está nos assistindo



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

*online* e ouviu esta minha fala, se quiser depois conhecer as ações da Dra. Santusa, vá lá às redes sociais do Instituto DNA Saúde. Nós queremos fazer uma revolução lá no município, porque é lá onde as crianças estão, é lá no município, uma revolução para cuidar das crianças com doenças raras, dos adultos com doenças raras, dos adultos com autismo, das crianças com autismo, das pessoas com deficiência.

Inclusive, Santusa, eu recebi, final de semana, um monte de mensagem de Vereadoras dizendo o seguinte: nunca na minha cidade tinha acontecido uma marcha com as famílias das crianças com autismo, uma marcha, uma caminhada, um evento. Aí teve uma que escreveu assim: "Senadora, o Executivo não foi, nem o Prefeito, nem o Vice-Prefeito, nem o Secretário de Saúde, nem o Secretário de Educação, mas eu fiz, lá na Câmara, o primeiro debate na Câmara desta cidade, uma cidade pequenininha, o primeiro debate sobre os direitos das pessoas com doenças raras". Obrigada, Santusa, por estar nos ajudando. Depois, vocês conversem com ela, levem para os seus municípios as 50 ações práticas para na ponta cuidar das pessoas com doenças raras.

Convido para compor a mesa o Sr. Eduardo Nunes de Queiroz, Defensor Público Federal, representante da Defensoria Pública da União, nossa Defensoria, que tem sido a porta da busca das oportunidades para tantas pessoas no Brasil. Obrigada, Dr. Eduardo, obrigada. Obrigada por tudo que a Defensoria está fazendo. E eu tive o cuidado de não colocar o senhor ao lado do Ministério da Saúde, exatamente para o senhor não brigar com o Ministério da Saúde (*Risos.*) , mas pode ficar ao lado do Dr. Claudio, porque vocês...

*(Intervenção fora do microfone.) (Risos.)*

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Pode ficar ao lado do Dr. Claudio, Dr. Claudio é parceiro na luta. Muito bem-vindo.

Agora, nós temos algumas pessoas *online*, e eu quero dizer que, desde que nós anunciamos esta audiência, nós estamos recebendo perguntas do Brasil inteiro, participações e comentários por meio da internet. E, à medida que a gente for conduzindo, nós vamos também registrando as perguntas que já chegaram, as que estão chegando. E nós vamos registrando também a presença e a participação das instituições que estão conosco aqui no plenário.

Sejam todos muito bem-vindos e obrigada.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Inclusive, eu sei que nós temos aqui na mesa pessoas que estão com a agenda muito cheia hoje. Nós vamos fazer o seguinte: depois da exposição, os senhores que precisarem sair, fiquem à vontade, mas seria bom ficar até o final, porque, às vezes, surge uma pergunta, uma dúvida. E uma outra informação também aos nossos expositores: se chegar um Senador, ele pode requerer a palavra a qualquer momento, então a gente não deixa o Senador para falar por último, depois das exposições; a gente pode intercalar a fala dos senhores com a fala dos Senadores, e eles podem entrar *online* também.

Vamos começar o nosso debate – por dez minutos, mas eu sou generosa – com o Dr. Cláudio Drewes José de Siqueira, Procurador Regional da República, da Procuradoria Regional da República da 1ª Região.

Muito bem-vindo, Dr. Cláudio.

**O SR. CLÁUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (Para expor.) – Obrigado, Senadora, muito honrado em representar aqui o Ministério Público Federal numa causa tão importante. Gostaria de, na pessoa da senhora, cumprimentar toda a mesa e cumprimentar todos também que estão aqui, senhoras e senhores, e dos guerreiros que estão aqui prestigiando essa discussão muito importante.

Quando recebi o convite, na hora eu fiquei muito encantado pela temática, porque eu sei que é um tema muito caro, doenças raras são inúmeras, hoje a gente não consegue dimensionar a quantidade, que são vários casos, todos de grande importância, e, é claro, tem doenças raras que ocasionam uma condição de deficiência, ou seja, em que a gente tem que aliar o conceito de doenças raras ao conceito de deficiência, que é o da Lei Brasileira de Inclusão. Então, não basta ter uma doença rara, mas tem que se enquadrar no conceito universal dado pela Lei Brasileira de Inclusão, que trouxe a Convenção Internacional sobre os Direitos das Pessoas com Deficiência para que a gente possa compreender que aquela doença é uma deficiência, que, a partir do impedimento, com a interação com as barreiras e a limitação da participação, é que nós veremos que, efetivamente, aquela doença compromete a qualidade de vida daquela pessoa, a dignidade de participação dela no âmbito social, dela e da sua família.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então eu acho que é uma temática – desculpa que eu tenho muitos espaços –, mas é uma temática que é muito cara à sociedade, e o início dos debates me deixa muito alvissareiro, porque nós temos que efetivamente ter um olhar especial para essas inúmeras doenças raras, que mexem com a sociedade como um todo: a infraestrutura social, econômica, parte de saúde, assistência social, então nós temos que ter um cuidado, o Estado tem que ter um cuidado, o Ministério Público tem que ter um cuidado, a Defensoria Pública tem que ter um cuidado, ou seja, todos os Poderes e a sociedade civil também tem que ter um carinho especial.

E a temática, vemos que, Senadora, as pessoas com deficiência são pessoas vulneráveis, no âmbito social, e são pessoas que precisam ter a presença enaltecida, para que a pessoa com deficiência seja colocada em destaque nessa sociedade, porque a pessoa com deficiência agrega à sociedade. Por que ela agrega? Com a deficiência dela, ela permite que o ambiente aprenda com ela. Se você coloca uma criança com deficiência numa sala de aula, os outros colegas vão aprender a lidar com aquela condição, vão saber lidar com aquela condição e acolher aquela pessoa. Então, uma pessoa com deficiência sempre vai agregar, seja com uma rampa, que vai mudar o ambiente, o espaço social, como também com a forma de agir daquela pessoa em relação às outras pessoas.

Então, Excelência, eu fico muito embevecido e muito honrado de poder compor aqui o início dos debates, até porque nós temos aqui o art. 5º da Lei Brasileira da Inclusão, que fala que toda pessoa com deficiência tem que ser protegida de qualquer violência, e a temática...

Deixe-me tirar os óculos, por favor. Desculpa. A gente tem que tirar óculos para ler, põe óculos para falar; a idade vai chegando. Só um pouquinho; mais um pouquinho.

O art. 5º diz...

Eu vou só mais, mais, mais um pouco.

Desculpa. Só um pouco, desce, mais.

Aqui, art. 5º da Lei Brasileira de Inclusão: "A pessoa com deficiência será protegida de toda forma de negligência, discriminação, exploração, violência, tortura, crueldade, opressão e tratamento desumano ou degradante". Esse é um artigo fundamental nessa lei, porque mostra a importância e o cuidado que deve ter a sociedade com as pessoas com deficiência. Não só o



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Ministério Público, nem a Defensoria Pública, mas todas as pessoas na sociedade devem se preocupar com isso. Tanto é que – só mais um pouco – o art. 8º enaltece bem essa posição, porque diz:

É dever do Estado, da sociedade e da família assegurar à pessoa com deficiência, com prioridade, a efetivação dos direitos referentes à vida, à saúde, à sexualidade, à paternidade e à maternidade, à alimentação, à habitação, à educação, à profissionalização, ao trabalho, à previdência social, à habilitação e à reabilitação, ao transporte, à acessibilidade, à cultura, ao desporto, ao turismo, ao lazer, à informação, à comunicação, aos avanços científicos e tecnológicos, à dignidade, ao respeito, à liberdade, à convivência familiar e comunitária, entre outros decorrentes da Constituição Federal, da Convenção sobre os Direitos das Pessoas com Deficiência e [...] outras normas que garantam seu bem-estar pessoal, social e econômico.

Peço desculpas por ter lido, porque eu entendo que é um artigo fundamental, que tem que ser de conhecimento de todos, principalmente de quem não lida na prática jurídica. Então, entendo que o papel do Ministério Público e da Defensoria Pública é trazer esse esclarecimento. Esses dois artigos, o 5º e o 8º, são fundamentais para a pessoa com deficiência.

Então, entendo que esse debate, Excelência, Senadora, é muito rico e nós temos... eu tenho a manhã, o dia todo para ficar aqui, para a gente debater ao máximo e sempre poder colher ao máximo.

Sinto-me muito honrado; muito obrigado, e vou tentar aproveitar meus três minutos depois, para usar em outra ocasião.

Obrigado. (*Palmas.*)

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

Dr. Cláudio, o senhor na verdade leu para nós uma poesia. Eu estava aqui rindo com o Dr. Eduardo Nunes, e como é lindo no papel, né, Doutorinhas? Como é lindo, como os nossos direitos são lindos no papel! Que beleza, Doutor! O senhor leu uma poesia para os nossos ouvidos.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E a gente vai continuar esse debate, nós vamos continuar, mas nós nos esquecemos de fazer a nossa audiodescrição. Deixem-me fazer a audiodescrição, já que a mesa está posta, né? Está toda composta aqui.

Eu sou uma mulher branca, de pele clara, cabelo meio dourado – eu tenho que falar meio dourado porque eu fiz uma transformação, e as pessoas que ouvem a minha audiodescrição agora ficam na dúvida, mas foi uma transformação. Eu estou vestida com uma roupa preta, estou com brincos e um colar dourado. Eu estou com o rosto inchado porque eu fiz um procedimento, o meu rosto está enorme, e as pessoas estão olhando para mim um pouquinho assustadas. Eu estou sentada numa mesa de madeira, e do meu lado direito está o Dr. Eduardo; e ao lado dele, o Dr. Cláudio, que já falou. Ambos estão de ternos escuros. E ao lado do Dr. Cláudio está a pessoa que o apoia no trabalho, a pessoa que cuida dele, que o apoia, segurando o microfone, ajudando com a cadeira. À minha esquerda está a Dr. Valdenize, do Hospital da Criança; e ao lado dela, a Dra. Santusa. A Dra. Valdenize está com uma roupa linda, uma cor maravilhosa, que eu vou chamar essa cor de coral, mas não tenho certeza se é coral. E a nossa querida Santusa está com *blazer* verde-escuro. A Santusa usa óculos; e a Dra. Valdenize, não. Essa é a nossa audiodescrição.

Sejam todos bem-vindos!

E quem está sentado na nossa frente, no nosso plenário, estão todos com um olhar com muita alegria e com muita expectativa. Hoje é dia de expectativa, hoje é dia de alegria. O Senado Federal está parando tudo para debater direitos das pessoas com deficiência e pessoas com doenças raras.

Dr. Cláudio, com certeza nós vamos ainda usar os seus três minutos, mas eu precisava muito destacar o papel do jovem que lhe apoia. Como é o nome dele?

**O SR. CLÁUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (*Fora do microfone.*) – Davi.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Davi. Eu já estive com o Davi na última vez que estivemos juntos.

Se Davi não estivesse ao lado de Dr. Cláudio neste momento, o Dr. Cláudio não teria conseguido ler o artigo e não teria conseguido posicionar o microfone na altura em que ele



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

precisava. E nem estaria aqui. Assim é com a nossa querida Senadora Mara e com tantos outros, com tantos outros profissionais com deficiência ou doença rara que ascendem, mas não podem chegar sozinhos. E aqui, Doutor, a presença do Davi nos leva a refletir sobre o trabalho apoiado, sobre o apoio aos senhores e às senhoras que precisam, e sobre o projeto que patina há anos nesta Casa, Doutor. A gente vai ter que tomar uma decisão, a gente vai ter que rever isso.

Tem muita gente que pergunta assim: "Mas se isso é tão simples, se isso é tão fácil...?". Não é, e ousou dizer para vocês que o *lobby* contrário é muito grande, e o senhor sabe disso, Dr. Cláudio. Nós temos empresas que questionam: "Então, na hora em que contratar um, vou ter que contratar dois?".

Nós temos instituições que questionam: "Quem vai formar o cuidador? Nós queremos ser os formadores desse profissional de apoio". Vocês não têm ideia de como é difícil essa discussão. Mas acho que um encaminhamento que nós poderíamos levar desta audiência, tirar desta audiência é pedir a urgência da discussão da matéria na Câmara e no Senado. Mas pedir a urgência e todos nós acompanharmos esse debate. Seja bem-vindo, Davi, que alegria tê-lo conosco nesta audiência. Você sabe o quanto você está, com o seu trabalho, contribuindo para um debate desse nível dos direitos das pessoas com doenças raras e das pessoas com deficiência. Sinta-se parte deste debate. Você é importante neste debate, com o seu trabalho, apoiando o Dr. Cláudio.

Eu acho que o Davi merece palmas, não é, gente? (*Palmas.*)

Na sequência, vamos ouvir a Diretora Executiva do Hospital da Criança de Brasília, Dra. Valdenize Tiziani.

Muito bem-vinda. Dez minutos, mas eu serei generosa.

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** (Para expor.) – Muito obrigada, Senadora, pelo convite. É uma honra estar aqui hoje. Na sua pessoa eu cumprimento toda mesa e cumprimento também toda a audiência. É um prazer e uma honra estar aqui hoje. Eu acho que essa iniciativa é de extrema importância e temos muito trabalho pela frente, não é, Senadora?

Então, eu gostaria de projetar os eslaides, por gentileza.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Você vai passar? Por favor, então, pode ir passando um rapidinho aí.

Eu preparei uma apresentação, primeiro, para a gente falar rapidamente sobre doenças raras, sobre as políticas públicas e os direitos, os desafios para prover os direitos, desafios para os pacientes e familiares e a experiência do Hospital da Criança de Brasília José Alencar no que diz respeito a prover esses direitos: acesso, qualidade, assistência especializada, pesquisa translacional, pesquisa clínica e experiência do usuário.

O conceito de doenças raras: são aquelas que afetam até 65 pessoas em cada 100 mil indivíduos ou uma pessoa a cada 2 mil indivíduos. Afetam 13 milhões de pessoas no Brasil. Destas, 70% são crianças, ou seja, a doença se manifesta ainda no período da infância.

São descritas aproximadamente 8 mil doenças raras, mas temos aí por volta de 300 novas doenças descritas por ano – na verdade, não sabemos quantas temos, porque todos os dias nos deparamos com novas descrições –; 80% decorrem de fatores genéticos e 30% das pessoas com doença rara morrem com menos de cinco anos.

Eu vou destacar aqui o direito aos cuidados de saúde, entre outros. Então, em termos de saúde, essas pessoas têm o direito ao diagnóstico precoce, ao tratamento adequado, ao atendimento por profissionais especializados, ao acesso a medicamentos, dispositivos médicos e tecnologias do SUS, e ao cuidado integral nas suas necessidades físicas e biopsicossociais.

A ONU, em 2015, nos seus Objetivos de Desenvolvimento Sustentável, trouxe saúde e bem-estar como um dos objetivos em que preconiza, como disse o Procurador, que ninguém será deixado para trás.

Próximo.

Em 2021, inclusive por uma participação importante do Brasil, tivemos essa resolução que reconhece a necessidade de promover e proteger os direitos humanos de todas as pessoas, incluindo os 300 milhões de pessoas que vivem com uma doença rara em todo o mundo. Esses marcos são importantes para que a gente possa realmente ter isso como políticas em nível internacional. No Brasil, então, em 2014, nós tivemos instituída a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, e foram aprovadas também as respectivas diretrizes para o SUS.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Quais são os desafios para se prover esses direitos em saúde? Primeiro, as doenças raras são doenças com risco de vida, são complexas, causam deficiência e são doenças crônicas e debilitantes. Então, é um problema complexo para o qual nós não temos soluções fáceis, são sempre soluções complexas.

O outro fator importante é a invisibilidade. Por que a invisibilidade? Porque faltam registros de doenças raras. Nós não dispomos de números, nós não entendemos realmente o que é a demanda. Então, como é que nós podemos fazer política se nós não conhecemos de fato a realidade? Eu falo isso até pelo Hospital da Criança, e eu vou falar daqui a pouquinho como é que essa demanda se apresenta para nós. Devido à baixa prevalência de cada doença, o conhecimento é muito limitado, a *expertise* médica é escassa, o acesso a cuidados adequados é insuficiente e há poucos esforços de pesquisa.

Em relação às opções de tratamento, apenas 5% das doenças raras têm tratamento, e elas consistem também num fardo psicossocial para a família: primeiro, o impacto da notícia; segundo, a falta de cuidado coordenado e integrado. A rede pública não dispõe de mecanismos integrados e é muito fragmentada. Então, é uma verdadeira odisséia para essa família.

Impactos financeiros e sociais. As famílias, que em sua grande maioria são de baixa renda, enfrentam, além de todas as suas questões sociais, uma necessidade de cuidar de uma pessoa com uma doença rara, que é extremamente demandante e que muitas vezes, inclusive, desestabiliza a estrutura familiar.

Os desafios para o sistema de saúde. Primeiro, a porta de entrada no sistema não está preparada para a suspeita diagnóstica. Quando nós falamos da atenção primária, nós lidamos com isso no cotidiano, nós sabemos que a atenção primária não tem capacitação para fazer a suspeita diagnóstica dos casos de doenças raras. Isso contribui para que essa pessoa fique peregrinando em busca de um atendimento que realmente feche o diagnóstico dessa criança. Ela tem sinais, tem sintomas, mas ela não encontra quem lhe dê realmente um diagnóstico.

Nós temos carência de centros de referência multidisciplinares – porque precisa ser multidisciplinar para que a gente realmente tenha um diagnóstico qualificado – que estejam geograficamente distribuídos. Então, nós estamos em Brasília; a Região Norte praticamente não



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

tem nada; a Região Nordeste, grande parte, migra para cá; e eu não vou falar do Sul e Sudeste, que é mais bem resolvido.

Diagnóstico tardio resulta no agravamento dos sintomas. Quanto mais a gente demora para fazer um diagnóstico preciso, mais nós vamos demorar para entender qual é a necessidade específica daquela criança e mais nós vamos demorar para começar a tratar. E as consequências vão se instalando.

Número limitado de especialistas para fazer o diagnóstico e tratamento, inclusive nos centros de referência.

Próximo, por favor.

E os desafios para os pacientes e familiares? Não há clareza quanto ao itinerário a ser percorrido para buscar atenção no sistema de saúde. Ninguém sabe. Você vai ao posto de saúde, você vai à UBS, você vai, enfim, a um hospital regional e você não sabe. Ninguém sabe dizer para onde você tem que ir, que caminho você tem que perseguir. Para muitos pacientes, as condições financeiras, clínicas e outros fatores impossibilitam, inclusive, o seu deslocamento para conseguir um especialista. Essa é a realidade que a gente vive todos os dias.

Falta de informação e conhecimento sobre a sua própria condição. Ele não encontra também conhecimento confiável. Vai para a internet, lê um monte de informação lá, às vezes, muito desqualificadas, e essa pessoa também fica sem ter uma fonte segura para se informar sobre a sua condição.

Outro aspecto que me parece muito importante é que não existem organizações de apoio para todos os pacientes com doenças raras, não é? São muitas doenças, tem muitas associações bastante atuantes em diferentes segmentos, mas claro que nós não alcançamos a necessidade de todas as pessoas.

Por favor.

A literatura cita que a prática leva à perfeição. O que significa isso? Que os centros de excelência que concentram elevado número de casos – no caso, aqui, nós estamos falando de hospitais especializados; é desse lugar que eu me posiciono – levam a melhores desfechos



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

clínicos. Por quê? Porque existe uma curva de aprendizagem das equipes. Ela não vai tratar um caso de AME, ela vai tratar, por exemplo, dezenas de casos de AME; ela não vai tratar um caso de Duchenne, ela vai tratar dezenas de casos de Duchenne, e assim por diante. Assim, essa equipe vai construindo conhecimento, experiência e um conhecimento coletivo de equipe para tratar essas pessoas. Isso é completamente diferente de ter profissionais isolados que vão tratar de forma fragmentada um paciente com uma condição dessas.

Próximo, por favor.

E, nesse contexto...

Eu vou pedir licença para me estender, Senadora, porque acho que não vou cumprir em 15 minutos.

Surge aqui em Brasília um modelo que me parece inspirador, que é o Hospital da Criança de Brasília. E como o Hospital da Criança surgiu? Ele surgiu da iniciativa de pais de crianças com câncer e de médicos profissionais da rede pública de saúde que atuavam no Hospital de Base, o maior hospital público do Distrito Federal, que abrigava, no sétimo andar, a área de pediatria especializada. Isso foi há 40 anos, mais ou menos, na década de 80.

E o que estava acontecendo na década de 80? Isso tem tudo a ver com o nosso tema das doenças raras. Até então, a pediatria cuidava, essencialmente, das doenças como diarreia, infecção de garganta, sarampo. Essa era a prática até mais ou menos o início dos anos 80. Então, não havia subespecialidade pediátrica, só que o conhecimento científico foi avançando e, com o avanço do conhecimento científico, foi aparecendo a possibilidade de tratar esses pacientes e, assim, houve a subespecialização da pediatria nos diferentes ramos: oncologia, gastroenterologia, neurologia pediátrica, etc., etc. Então, o Hospital da Criança surge nesse contexto. Essas famílias queriam um lugar em que essas crianças pudessem ser atendidas como crianças, na sua dignidade e na sua integralidade.

Próximo, por favor.

Ele surge, então, para assegurar esses direitos de entregar à criança um atendimento médico de qualidade e tratando a criança como criança. Então, hoje temos 210 leitos, 56 leitos de UTI pediátrica e o nosso propósito: acesso às crianças com doenças raras ao diagnóstico em



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

tempo oportuno e a terapias adequadas num centro especializado que reúne tudo aquilo que eu acabei de falar, pessoas que se dedicam a isso 24 horas, buscando a excelência na investigação diagnóstica e no tratamento, organizado em linhas de cuidado, empregando as melhores evidências e primando pelo cuidado centrado na criança e na família.

Próximo, por favor.

Temos aí certificados de excelência. Somos 100% SUS – próximo –, considerados um dos melhores hospitais públicos do Brasil.

Próximo.

Tivemos a visita da Organização Mundial da Saúde, que queria que esse hospital se tornasse modelo para o mundo.

Próximo.

E como é o acesso a esse hospital? Primeiro, ele recebe os pacientes em admissão em programas no HCB da triagem neonatal. O Distrito Federal tem um dos melhores programas de triagem neonatal, são 62 condições que são triadas, e, aí, várias dessas condições são atendidas no Hospital da Criança. Então, nesse caso, a criança tem um trânsito direto para começar o seu tratamento e o acesso às especialidades pelos sistemas de regulação: Sisreg, Sisleitons, etc.

Próximo.

Quais são, então, as premissas? Atenção centrada na criança, que não é um adulto em miniatura, então, ela precisa ser tratada como criança, a biologia é diferente, as necessidades são diferentes; atenção baseada na melhor evidência científica; pesquisa como instrumento da qualificação da assistência; investigação de doenças de difícil diagnóstico, visando compreender o mecanismo da doença a partir da identificação de fatores genéticos, ambientais e do desenvolvimento; acesso a medicamentos e terapias inovadoras, de acordo com Anvisa, Conep e Ministério da Saúde; cooperação interinstitucional visando o avanço do conhecimento e o melhor diagnóstico possível.

Próximo.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Temos 27 especialidades pediátricas, entre as matriciais, as de apoio e assistência complementar essencial. E quase tudo que nós atendemos no Hospital da Criança é doença rara.

Próximo, por favor.

Aí, só para dar alguns exemplos do que a gente recebe da triagem neonatal, em 2024, esses são os números. Isso só os confirmados – próximo –, sem contar todos que nós avaliamos.

Doença falciforme no Brasil não é doença rara, porque é muito prevalente, mas, no resto do mundo, ela é. Então, esses números também são impressionantes.

Por favor, o próximo.

Aí, alguns exemplos de números de doenças raras de origem genética. Nós temos um grande número de pacientes nos três eixos das doenças raras.

Por favor.

A mesma coisa com as infusões. Isso também dá um exemplo. Isso só no ambulatório, no hospital-dia. Aí o número de sessões de infusões que nós fazemos de imunoglobulina, enzimas de mucopolissacaridose, pulsoterapia, doença de Crohn, etc.

Próximo.

Temos um laboratório de pesquisa translacional.

Próximo.

E nós temos que fazer o diagnóstico molecular, para que a gente consiga oferecer medicina de precisão. Não dá para tratar essas doenças se a gente não tiver diagnóstico preciso.

Próximo.

Isso é feito numa integração completa com a área clínica. Temos todas essas bancadas, que permitem um diagnóstico abrangente, preciso e seguro.

A equipe é composta mais por doutores.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Temos agora o sequenciamento de nova geração, que conseguimos com recursos de programa do Ministério da Saúde.

Próximo. Pode passar mais rapidinho.

E aí eu cito um exemplo dos erros inatos da imunidade, como que uma estrutura como essa pode fazer a diferença. Muitos devem lembrar o menino da bolha da década de 70. Então, já em 2020 – próximo, por favor –, essas crianças nascem sem nenhum anticorpo. Nós fizemos o transplante de células-tronco, e essa criança foi salva, curada.

Próximo, por favor.

Aqui, já com teste do pezinho alterado.

Próximo.

Um outro caso: em 29 dias, nós tivemos a primeira consulta.

Próximo.

Quando chegou para a gente, em dois dias nós tínhamos os testes confirmatórios, moleculares e citometria.

Próximo.

E, em 51 dias, o transplante de células-tronco, curando essa criança.

Então, esse é o primeiro caso no SUS. É um SUS maravilhoso, que dá certo. E isso é padrão ouro internacional. Então, essas crianças precisam ser transplantadas em menos de 120 dias.

Próximo, por gentileza.

Estamos incorporando, o tempo todo, novos exames. Por exemplo, nos transplantes, quanto ao quimerismo global, é o único centro do SUS a fazer esse exame.

Próximo.

Temos um núcleo de pesquisa clínica para incorporar novos medicamentos.

Próximo.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Fazemos o gerenciamento de dados. Eu falei para vocês que sem dados a gente não consegue fazer política, não conseguimos fazer planejamento.

Próximo.

Então, nós estamos monitorando 18 bancos de dados de câncer – desculpe, volte um minutinho – e da triagem neonatal. São 219 casos novos só dessas condições e são 3.418 variáveis que nós estamos monitorando nesses bancos de dados.

Próximo.

Só para informar, quanto às imunodeficiências congênitas, nós somos o hospital que mais registra no Registro Latino-Americano de Imunodeficiência, simplesmente porque nós fazemos os diagnósticos precisos.

Temos parceria com esses hospitais no mundo para que a gente consiga estar na fronteira do conhecimento.

Próximo.

Pode passar, pode passar até o final, e eu vou encerrar por aí.

Muito obrigada, eu acho que isso era o mais importante.

Desculpe por prolongar a minha apresentação. (*Palmas.*)

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Doutora, eu só lamento a sua modéstia, quando a senhora diz que o Hospital da Criança de Brasília é um dos melhores do Brasil. Olhe as imagens, gente. Não é não; ele é um dos melhores do mundo. Nós temos o maior orgulho do Hospital da Criança – o maior orgulho. Quem não conhece visite. Inclusive eu estava pensando, doutora, em fazer a nossa próxima audiência no auditório do hospital para a gente levar...

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** (*Fora do microfone.*) – Será um prazer.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – ... os Parlamentares. Muitos Parlamentares não conhecem o Hospital da Criança, esse modelo de



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

gestão bem-sucedida, diga-se de passagem, como vocês chegaram tão longe e o que vocês estão entregando para o Brasil.

Eu vou conceder a palavra – ela levantou a mão... Mas nós vamos fazer a sessão só para ela agora, está certo?

Pois não. A senhora se identifique.

**A SRA. MARIA TERESINHA DE OLIVEIRA CARDOSO** (Para expor.) – Bom dia, Senadora. Obrigada pela palavra.

Eu sou a Dra. Maria Teresinha de Oliveira Cardoso, geneticista da Rede Hospitalar do Distrito Federal e da Universidade Católica de Brasília. Eu fui a fundadora do Centro de Referência em Doenças Raras de Brasília, então eu queria fazer uma correção na palavra da Dra. Valdenize – é uma defesa ao SUS.

Em 2013, eu fui nomeada Coordenadora das Doenças Raras do Distrito Federal e, em 2016, o nosso Centro de Referência em Doenças Raras no Hospital de Apoio de Brasília foi credenciado como Centro de Doenças Raras, onde hoje tem 18 geneticistas especializados em doenças raras, com equipe multiprofissional atendendo de segunda a sexta, manhã e tarde, estamos fazendo todas as triagens do Brasil, é o único centro que faz 62 doenças tratáveis, e todas as crianças que a Dra. Valdenize citou são vindas do diagnóstico de triagem neonatal ampliada do Distrito Federal. Entendeu? Então, ela não citou o nosso, e eu gostaria que ela tivesse citado, porque isso é uma deferência ao hospital, que envia a vocês os pacientes que nós diagnosticamos nos primeiros cinco dias de vida, e nós estamos numa luta imensa para fazer o nosso Centro de Doenças Raras do Distrito Federal, capitaneado pela Vice-Governadora Celina Leão.

Então, eu queria deixar claro aqui que o SUS tem centro de referência e inclusive o Hmib, que foi criado em 2019, está sendo reativado para a parte neonatal. Então, nós temos dois centros de referência, com um protocolo já escrito na própria página da secretaria, com fluxo estabelecido da atenção básica até o centro de referência, sendo notas técnicas escritas.

Então, ela não conhece o sistema de saúde nesse sentido, porque há mais de 20 anos eu estou lutando pelas doenças raras no Distrito Federal. E todas as crianças da triagem neonatal



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

que chegam ao Hospital da Criança foram triadas nos primeiros cinco dias de vida por nós do Distrito Federal, do SUS, da Secretaria de Saúde e do Hospital de Apoio da Unidade de Genética.

Então, eu queria que todo mundo ficasse sabendo que a grande triagem neonatal do Brasil, referência na América Latina, está no Hospital de Apoio de Brasília, no Centro de Referência em Doenças Raras, enquanto o Hospital da Criança é um hospital terciário. É um centro especializado em transplante, em doenças raras, que são altamente complexas, que passam por nós, e nós enviamos a eles.

Então, o fluxo não vem da atenção básica. Quem manda da atenção básica para lá somos nós, que somos o intermediário de todas as doenças raras que chegam até eles. Eu queria só deixar isso claro, porque ela se esqueceu de nós na sua demonstração, uma coisa muito esquisita, porque você sabe muito bem que nós é que temos o fluxo para mandar para vocês.

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

Dra. Valdenize, a senhora quer completar?

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** (Para expor.) – Bom dia, Dra. Teresinha.

*(Intervenção fora do microfone.)*

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** – Dá licença, por gentileza.

Primeiro, eu agradeço a sua fala. Quero dizer que eu fiz referência à triagem neonatal, de que a senhora é a Coordenadora.

*(Intervenção fora do microfone.)*

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** – Desculpa, eu não estou falando...

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Doutora, vamos deixá-la responder. No final, a senhora faz suas perguntas de novo.

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** – Então, eu mostrei um eslaide que, se for recuperado, poderá mostrar o número de pacientes que nós recebemos da triagem neonatal e quais são as condições em que vêm para o Hospital da Criança da triagem neonatal.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O que eu tenho a dizer é que nós recebemos pacientes que não vêm do Hospital de Apoio, obviamente. Nós recebemos, em todas as especialidades pediátricas, matriciais, todos os pacientes que nos procuram com sintomas e são, sim, encaminhados de toda a rede pública, seja do Distrito Federal, do entorno ou de qualquer outro estado da Federação. Então, esse é o caminho. A maioria absoluta dos pacientes que chegam ao Hospital da Criança, até o presente, não chegam necessariamente pela triagem neonatal.

Reconhecemos, valorizamos. Acabei de dizer: é o maior programa – a senhora tem todo o mérito – de triagem neonatal do Brasil, é uma coisa absolutamente fantástica e eu a cumprimento, sempre a cumprimento por isso, mas o fato é que o Hospital da Criança não atende somente os pacientes que vêm referendados pelo Hospital de Apoio, Dra. Teresinha. Esse é um fato, e eu posso provar isso facilmente, basta a gente olhar os nossos números, está certo? Então, essa é uma questão.

Mais alguma coisa?

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

Dra. Valdenize, para a senhora e o Dr. Claudio – nós estamos falando dos direitos –: quando estive Ministra dos Direitos Humanos, nós tínhamos a nossa Ouvidoria Nacional dos Direitos Humanos e, no marcador do Disque 100 e do 180, nós não tínhamos um marcador para quando a violência fosse contra criança com doença rara ou contra mulher com deficiência ou mulher com doença rara. No marcador da denúncia, que estivesse especificado: violência contra pessoa com doença rara, violência contra mulher com deficiência.

A pergunta que eu faço para a senhora, Doutora – também, Dr. Claudio, eu já posso estender a pergunta ao senhor –: a senhora tem recebido crianças com doenças raras vítimas de violência? A senhora tem dados sobre isso? É um tema em que a gente tem que se debruçar, porque eu não tenho os marcadores, eu não tenho os números hoje do Disque 100, mas, enquanto Ministra, nós tivemos acesso aos números, e os números nos deixavam muito preocupados. O hospital recebe crianças com doenças raras ou deficiência vítimas de violência? E, aí, Dr. Claudio, essa pergunta também eu estendo ao senhor: há pessoas adultas ou crianças com doenças raras e deficiência vítimas de violência?



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Dra. Valdenize.

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** (Para expor.) – Sim, Senadora, nós recebemos. É uma pauta muito importante. Eu entendo que isso decorre da própria situação social, na maioria das vezes, que nós observamos. Então, eu tenho dito que, inclusive, eu gostaria de ter um posto do Ministério Público lá dentro do hospital, porque são temas com os quais é bastante difícil para nós, como gestores, lidarmos, porque a gente realmente tem um canal direto com a vara da infância e da adolescência e podemos, sim, recuperar dados com mais precisão, se a senhora precisar.

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

Dr. Claudio.

**O SR. CLAUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (Para expor.) – Obrigado, Excelência.

Olha, Senadora, eu não tenho conhecimento da dimensão, mas nós sabemos que existe uma realidade e que o Ministério Público está presente no acompanhamento dessas situações, que são muito corriqueiras no país como um todo.

O Ministério Público Federal atua de forma global, digamos, no âmbito federal, e os ministérios públicos estaduais têm, por maior capilaridade, o dever, pela proximidade com a população, de colher essas violações aos direitos dessas pessoas com deficiência e doenças raras.

A gente sabe que existe. Eu não sei o quanto, eu não posso dimensionar isso tudo, mas é papel, é dever do Ministério Público, qualquer que seja, o da União e os dos estados, acompanhar isso – e não só com caráter punitivo, mas caráter preventivo. O Ministério Público não pode se omitir nesse papel, que é um dever dele constitucional. Então, o Ministério Público tem que estar sempre aberto a essas demandas – não só demandas de improbidade, de corrupção, de desvios de verbas públicas, mas essas demandas relacionadas aos direitos humanos das pessoas, porque o princípio da dignidade humana é o metaprincípio da nossa Constituição, que permeia qualquer direito que está relacionado aos direitos fundamentais da nossa sociedade.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, o Ministério Público tem esse papel, e toda a sociedade deve saber e ter ciência de que o Ministério Público tem que ser provocado quando ele não agir de ofício, para que ele possa cobrar a alteração e a punição desses casos.

Era só esse incremento, Excelência.

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** – Só esclarecendo que realmente a gente tem o acolhimento do Ministério Público, então temos um canal muito bom com a equipe liderada pelo Dr. Georges no Ministério Público do Distrito Federal e também com o Tribunal de Justiça, lá com a vara da infância e da adolescência.

Muito obrigada.

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

Eu queria... Eu extraí dois aspectos da sua fala, doutora, que a gente pode fazer como encaminhamento.

A senhora apresentou ali a dificuldade da família com doenças raras de entender o itinerário na busca do direito. Acho que a Santusa também tem falado muito sobre isso. Se a criança tem uma deficiência, uma doença rara, qual é o caminho, qual é a porta de entrada para a rede de proteção? Qual é a porta de entrada para a rede de atendimento?

Isso acontece muito, Doutora, na questão da violência. Uma mulher vítima de violência não sabe – "Eu corro para a delegacia, eu corro para a promotoria, eu corro para o juiz, eu corro para a Câmara de Vereadores, que tem uma procuradoria agora, eu ligo para o 180, eu ligo para o 190?" – a porta, a rede de proteção.

Quando a senhora colocou que falta esclarecimento para as famílias sobre o itinerário, o caminho a percorrer, eu gostaria muito de fazer um encaminhamento com a Secretaria: de a gente fazer uma indicação ao Ministério dos Direitos Humanos, onde tem a Secretaria Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência, sobre campanhas de esclarecimento sobre esse itinerário. E eu não sei nem se existe uma rubrica – aqui eu falo com meus assessores de orçamento – no orçamento exatamente para esta campanha: "Ó, mãe, você tem uma criança



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

com autismo, o caminho é esse, o caminho a percorrer na busca do direito é esse". Então, a gente ver, em nível de orçamento da União, e a Comissão fazer uma indicação ao ministério, porque isso nos chamou a atenção.

Só que nós estamos debatendo, Dr. Claudio e doutores que estão aqui, direitos humanos para todas as pessoas do Brasil com deficiência e doenças raras. E que país é esse que nós temos? Nós temos um país diverso, imenso, um país com tamanhas desigualdades.

Eu estou em Brasília, com instituições incríveis. E aqui eu quero registrar a presença da Diretora de Saúde do Instituto Brasileiro de Ação Responsável, Edilamar Gonçalves Teixeira – obrigada por estar conosco –; da Associação Brasil Huntington – falei certo? –, Edília Miranda Paz.

Está aqui o Fashion Inclusivo, a Glória Martins – cadê o Fashion Inclusivo? Atenção, você que faz evento, Fashion Inclusivo –; a Kazumi Yamamoto, do Grupo Escolhemos Viver, pacientes com metástase – obrigada pela presença –; a Luana Maia – oi, Luana –, Subsecretária de Proteção à Mulher da Secretaria de Estado da Mulher do Distrito Federal, que está trabalhando a proteção, o atendimento às mães atípicas.

Não dá mais para falar de violência contra a mulher e deixar a mãe atípica para trás. Parabéns, Luana. Parabéns à Secretária Giselle, à nossa Vice-Governadora.

Está conosco a Priscila Lima Machado, Diretora da Comissão de Direito Médico e da Saúde, OAB/Águas Claras – cadê a Dra. Priscila? Ela está sempre com a gente nos debates –; a Andréa Pontes, UNA Parque – a UNA, essa instituição incrível que faz trabalho com pessoas com deficiência no esporte, já saiu de Brasília, está no Brasil inteiro já –, que vem em todas as audiências. Fica quietinha ali. Quietinha, participando, mas depois ela vai lá no gabinete e fala tudo. Obrigada, Andréa, por estar conosco de novo; o Cesar Achkar, da Retina Brasil, Instituição Retina Brasil, nosso parceiro aqui; a Vanessa de Medeiros, OAB/DF, Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Doenças Crônicas e Raras – Dra. Vanessa, obrigada por estar conosco hoje –; e a Angela Durante Vieira – Associação dos Portadores... eu não vou falar o nome –, Alambra.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nós já tivemos audiência só para discutir essa doença rara. Obrigada, Alambra, por estar conosco. Inclusive, Angela, tem seis meses que eu pedi a relatoria do projeto de lei de que vocês tanto pediram que eu fosse relatora – para vocês entenderem como as coisas são lentas no Legislativo. Há seis meses que eu peço a relatoria de um projeto de lei que vai beneficiar o segmento, e eu não consigo a relatoria – e está sem Relator há seis meses. Então, a minha assessoria está aqui hoje, com mais um ofício para o Presidente da Comissão. Eu quero ser Relatora desse projeto de lei.

Obrigada, Angela.

Doutora, a senhora mostrou entre algumas doenças ali...

**O SR. CLAUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (*Fora do microfone.*) – Eu posso só...

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

**O SR. CLAUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (Para expor.) – A senhora comentou aí o papel do Estado, o esclarecimento desses canais de informação, de orientação, de divulgação, de denúncias. Então, eu acho que o papel do Estado é fundamental nisso, como a senhora bem enalteceu. Eu acho que é um bom encaminhamento ter isso, que o próprio Estado deve se chamar à responsabilidade e criar infraestrutura para que as pessoas tenham conhecimento, lá na ponta, de que existem esses canais para que o Estado seja provocado e seja obrigado a corrigir esses rumos, porque é o papel do Estado.

Então, a sociedade atua de forma paralela, complementar e subsidiária, mas é como a senhora bem enalteceu. Acho que um encaminhamento muito rico deve ser feito por esta Comissão, e que exija efetivamente que estejam abertos esses canais de denúncia, o que é muito importante, para que o próprio Ministério Público atue – e a Defensoria Pública em parceria, como sempre vem realizando parcerias – e possa efetivamente concretizar esses direitos, em respeito às pessoas com doenças raras e deficiências.

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

Eu vou fazer mais uma intervenção. Tem uma imagem?



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A Dra. Valdenize falou: 28 atendimentos de hipotireoidismo congênito.

Eu vou trazer uma imagem, com a qual a Angela vai se emocionar muito. Essa menininha se chamava Tititu Suruwahá. Inclusive, ela foi símbolo de uma luta nossa entre 2003 e 2008, foi o rostinho de Tititu. Tititu, Doutora, tinha hipotireoidismo congênito. E a senhora sabe que, se há falta da medicação, ela tem desidratação súbita e pode ir a óbito em três dias. Eu quero que vocês entendam como é que vive uma criança com doenças raras numa aldeia. Este povo ainda hoje é considerado semi-isolado, imagine em 2004?

O primeiro contato com esse povo – está aqui um colega meu que morou com esse povo –foi em torno de 1984. Eles foram identificados e contatados em 1984. Tititu precisava do remédio, ela teve o tratamento e o remédio precisava chegar. E num dos dias, Doutora, o remédio não chegou. E eu me lembro de que eu e um grupo de amigos pegamos o remédio, porque para chegar à aldeia dela, depois de voos e voos, barcos e barcos, ainda tem um dia de caminhada. E o Ministério da Saúde não mandava o remédio, em 2007, 2008. E nós conseguimos um voo humanitário que, próximo da aldeia, arremessou o remédio. O remédio teve que ser arremessado. Mas onde o remédio caiu era um lugar que tinha uma base com rádio; dessa base até a aldeia, mais um dia de caminhada. E o remédio não chegou a tempo. E nós perdemos Tititu. E, quando a gente pega o óbito dela, na época era a Funasa que cuidava da saúde, o óbito é: desidratação. E a gente sabia que a desidratação súbita é por ficar três dias sem o remédio. O remédio na época custava, gente, R\$28. Nós fretamos uma aeronave por R\$7 mil para arremessar um remédio de R\$28, e não deu tempo.

Por que que eu trago essa imagem da Tititu? Tititu Suruwahá. Nós perdemos Tititu em 2004, 2005... Não é, Ângela? Mas a gente perde todos os dias uma criança com doença rara em área indígena. Nós perdemos crianças com doenças raras nas áreas ribeirinhas do país. O que fazer? Debater aqui com doutores, com instituições tão preparadas e prontas, a gente já tem tanta dificuldade. Eu quero que os senhores entendam como dar respostas para um Brasil dessa dimensão; como alcançar a criança com deficiência lá na Ilha de Marajó; como alcançar a criança com deficiência em todas as áreas isoladas do país; como alcançar todas as Tititus.

Eu quero que vocês entendam o tamanho do desafio desta Comissão. Mas a gente não vai mais colocar peneira. Nós não vamos mais esconder essa realidade. Se for preciso a gente



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

mostrar todo dia uma imagem nesta Comissão de uma criança, de uma mãe, de uma mulher, nós vamos mostrar. Se os olhos não veem, o coração não sente, então esta Casa vai começar a ver imagem. E muito obrigada a vocês que estão há quase dois meses comigo ocupando esta Casa. Nós vamos ocupar esta Casa, porque esta é a Casa das decisões. É aqui que se decide tudo. Então obrigada por estarem aqui, mas nós vamos trazer imagens e dizer: "Tititu foi embora; e as outras como é que estão?".

E aí, doutores, quando eu estive na Ilha de Marajó a primeira vez, 16 cidades no arquipélago. O arquipélago é tão grande, gente, que cabem duas Suíças e meia lá dentro, tá? Todo mundo pensa que é só uma ilha, é um arquipélago com 16 cidades. Uma única cidade que tinha uma instituição de apoio às crianças com deficiência – uma única cidade. Adriana esteve lá comigo. E eu me lembro que eu perguntei para aquela instituição: "Mas onde estão as crianças das outras cidades? Onde estão as crianças com deficiência, com nanismo, com Down, com autismo das outras cidades?". E a resposta que eu ouvi, doutores, foi: "Amarradas em árvores". A mãe para ir trabalhar não tem onde deixar, leva, e elas ficam amarradas em árvores. Essa é a realidade do país, e nós vamos falar sobre isso. Ou a gente fala sobre isso, ou a gente fala sobre isso. Não tem opção B. Nós vamos ter que falar, fazer encaminhamentos em cada fala aqui. Olha quantos encaminhamentos em duas falas que a gente já teve aqui. Obrigada por estarem comigo.

Na sequência... pode tirar. Na sequência nós vamos ouvir a Santusa Santana, Presidente do Instituto DNA. Santusa, muito obrigada por estar com a gente.

**A SRA. SANTUSA PEREIRA SANTANA** (Para expor.) – Bom dia, Senadora. Muito obrigada pela oportunidade de debater, de conversar sobre doenças raras, conversar sobre acesso aos pacientes, principalmente no Sistema Único de Saúde, o que a gente acostumou chamar de rede própria, SUS, mas também quero falar um pouco do tamanho do sistema de saúde. A gente está falando do maior sistema de saúde pública do mundo. É um orgulho falar isso. A gente conseguiu, em 35 anos, chegar aos 5.570 municípios. Antes do SUS, as pessoas não tinham acesso à saúde. Quem tinha direito ali ou condições de pagar por uma consulta pública ou que trabalhava com carteira assinada eram as únicas pessoas que tinham acesso à assistência médica no Brasil.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Depois de 1988, da Constituição Federal, do art. 196, a gente passou a ter a saúde como direito de todos, dever do Estado baseado em políticas públicas que tratam a promoção da saúde, a prevenção de doenças, tratamento e reabilitação. E a gente chegou nos 5,57 mil municípios com atenção primária à saúde, só que agora a gente precisa melhorar aquilo que está funcionando, fazer uma autoanálise do que não funciona e não continuar a fazer, e mudar aquilo que a gente precisa mudar. Isso só vai acontecer em debates como esse, e debates, como a senhora falou, de maneira constante; esse é o primeiro, é um ciclo de debates.

A gente precisa entender o funcionamento do sistema, a gente precisa escutar quem usa o sistema, quem atende o sistema, quem faz a gestão do sistema, para a gente entender onde a gente precisa agir, aonde realmente a gente precisa chegar para garantir que as pessoas tenham acesso ao tratamento, à assistência de que precisam. E a gente está no lugar certo, a gente precisa realmente avançar nessa pauta.

Eu queria trazer alguns pontos importantes que a gente precisa acompanhar dentro do Congresso Nacional. A gente tem pelo menos sete grandes temas que estão convergentes com a questão da doença rara e a pessoa com deficiência. A gente tem projetos de lei que falam da assistência social, foi falado aqui da mãe, como cuidar dessa mãe, a gente está falando de 13 milhões de pacientes no Brasil com doença rara, e pelo menos, se cada um desses pacientes tiver um cuidador, a gente está falando de 26 milhões de pessoas que todos os dias atuam, acordam e passam o dia atuando com doença rara. E a gente precisa olhar para todas elas, do que elas precisam, qual o direito que elas têm. Elas têm direito a um recurso para atuar junto a esses pacientes? Essa mãe que deixa de trabalhar para cuidar do filho ou de alguém em casa? Como a gente vai garantir sustentabilidade para essa mãe? A gente precisa começar a olhar para esses pontos.

A questão de orçamento, a gente vai ter algum dia um orçamento exclusivo para doenças raras? A gente tem aí programas que dão tão certo no SUS, como o programa de hemoderivados, o programa de imunização. Será que a gente tem que caminhar para um programa de doenças raras? A gente precisa amadurecer o debate para chegar a esse ponto.

E para a gente chegar a esse debate, quanto de recurso a gente vai precisar para atender esse paciente? Foi falado aqui, a gente não tem dados. A gente precisa começar do básico, do



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

óbvio: onde esses pacientes raros estão? Quais são as doenças que eles têm? A gente fala, pela Organização Mundial de Saúde, de 8 mil doenças raras, tem gente que fala até de 10 mil doenças raras, mas a gente tem todas no Brasil? Onde esses pacientes estão? Qual o custo desse paciente na atenção primária à saúde? Quanto esse paciente usa do sistema, da equipe multidisciplinar? De qual equipe multidisciplinar cada um desses pacientes precisa?

Eu estou falando aqui, porque a gente não tem só médico na equipe multidisciplinar, a gente tem nutricionista, a gente tem dentista, a gente tem terapeuta ocupacional, fisioterapeuta, psicólogo, nutricionista, farmacêutico, educador físico...

Está todo mundo discutindo, debatendo saúde na atenção primária, no município. Daí a importância do município, porque essa equipe tem que conhecer as doenças raras, não as 8 mil, 10 mil doenças raras; ela tem que conhecer pelo menos as doenças raras do seu território, para ajudar, inclusive, a subir com esses dados para o nível estadual e o nível federal.

E a gente tem que valorizar esses profissionais de saúde. Eu sou farmacêutica de formação e já atuei em município. A gente tem que pensar – e isto também está aqui na Casa sendo debatido – na questão do piso salarial. A gente já teve um avanço com o piso salarial do enfermeiro e do agente comunitário de saúde e a gente tem projetos de lei na Casa, tramitando, de todas as outras categorias. A gente precisa ter uma padronização no Brasil, porque a gente tem diferenças regionais e a gente precisa ter orçamento para garantir que esses profissionais fiquem fixados, literalmente, na ponta, pois é o objetivo da atenção primária em saúde que eles criem vínculos com as famílias. Então, a gente precisa debater e acompanhar a tramitação desses projetos de lei.

E aí a gente tem outros. Há a questão da regulação... Foi falado aqui sobre a pesquisa clínica. A gente tem uma lei sobre a pesquisa clínica que foi aprovada no ano passado, em 2024, e existem vetos importantes que precisam cair para a gente conseguir que mais pesquisas clínicas sejam feitas no Brasil. A gente tem a lei também, já aprovada, da triagem neonatal, da ampliação do teste do pezinho. E, desde 2021, pelo cronograma estabelecido naquele momento, já era para a gente estar fazendo, no Brasil todo, o diagnóstico de mais de 50 doenças, e a gente não conseguiu avançar das 7 básicas ali, na maioria dos estados. Então, o



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

que a gente precisa organizar para que as leis sejam realmente implementadas e cheguem ao paciente?

E aí a gente entra no pacto interfederativo: o papel de cada um dos entes federados para execução, para implementação e disponibilização dos serviços para o cidadão. É onde a gente também tem que avançar. A gente tem que melhorar as leis, criar novas leis, acompanhar as que a gente tem aqui, inclusive a lei da política nacional de paciente com doença rara, pois a gente ainda trabalha com uma portaria, que é a Portaria 199, de 2014, e a gente não tem uma lei ainda que institua essa política. Então, são várias questões em que a gente tem que trabalhar, porque com a política, a gente vai ter a definição do papel de cada um dos entes federados. Qual é o papel do município? Aí a gente trabalha o itinerário terapêutico, a navegação do paciente... O que o município tem que fazer? O que a equipe multidisciplinar tem que fazer com esse paciente? Qual o papel das APAEs junto desses pacientes no município? Qual é o papel do estado? Como ele vai organizar a rede?

A gente está falando de 5.570 municípios, e mais de 70% deles têm menos de 20 mil habitantes. Eles não tem gestão plena dentro dos recursos do Sistema Único de Saúde, eles não têm centro de referência em todos eles. Como a gente organiza essa rede? Qual é o papel do estado? E qual é o papel do Ministério da Saúde, com o financiamento, com a organização e o debate conjunto das regras que vão ser implementadas em todo o Brasil.

Então, a gente precisa acompanhar o que está sendo feito aqui na Casa, aqui no Congresso Nacional. E tão importante como acompanhar é entender e monitorar a implementação, participar do debate na ponta. O que é esse debate? É o Conselho Municipal de Saúde, o Conselho Estadual de Saúde, o Conselho Nacional de Saúde. A gente precisa levar essas demandas para os gestores, a gente precisa participar dessas comissões para levantar as prioridades. Neste ano de 2025, a gente vai ter o Plano Plurianual, que é o planejamento do SUS para os próximos quatro anos em todos os 5.569 municípios, porque Brasília não entra nesse caso. Então, a gente precisa levar essa prioridade para o município, porque o município vai colocar lá nas regras em relação à saúde o que vai ser disponibilizado no município para aqueles pacientes.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, a gente precisa acompanhar, a gente precisa debater, mas, para a gente fazer isso com qualidade, para a gente ter assertividade e sustentabilidade, a gente precisa conhecer o itinerário não só do paciente, mas o itinerário do direito: onde eu posso estar, onde eu posso contribuir e fazer isso de forma recorrente. Eu sei que é difícil estar aqui todos os dias, mas a gente precisa estar, a gente precisa ter um representante. A gente tem a Senadora aqui, a gente tem outros Senadores em outras Comissões que estão trazendo esse debate, tem muitos Deputados fazendo isso também. A gente precisa acompanhar, monitorar, entender o que está acontecendo, buscar ali todas as informações, para a gente ser assertivo e sustentável, porque, se a gente tem o maior sistema de saúde público do mundo, a gente precisa que ele seja o melhor. E a gente vai fazer isso, com certeza, sendo 1% melhor todos os dias. Eu acredito nisso, é por isso que eu acordo todos os dias, é uma obsessão. Eu sou extremamente obcecada pelo Sistema Único de Saúde; eu sou de um município com menos de 5 mil habitantes no interior de Minas Gerais; eu sei e eu vi o que o SUS é capaz de fazer; e eu sei também dos desafios e do tanto de gente que ainda não tem assistência nesses interiores do Brasil, principalmente na Região Norte. Então, a gente não pode aceitar que a gente esteja em 2025 e a gente não consiga avançar. Então, a gente tem que unir tudo isso.

Muito obrigada. (*Palmas.*)

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

Dra. Santusa, vamos imaginar que do outro lado tenha Vereadores e Prefeitos querendo dar um pontapé inicial, um primeiro passo na cidade, só aquele primeiro passo. O que a senhora orienta a eles? A senhora falou que a gente tem que cuidar lá da ponta: qual seria o primeiro passo em relação às doenças raras?

**A SRA. SANTUSA PEREIRA SANTANA** (Para expor.) – O primeiro passo são os dados. A gente precisa fazer um censo municipal, vamos chamar assim, de quais são as doenças no território. E, quanto a doenças raras, quais outros tipos de doenças raras? Câncer, oncologia... A gente tem hipertensão: às vezes, de hipertensão e diabetes a gente tem gestores que não sabem o número. Então, a gente precisa ter número, porque, a partir deles, a gente planeja, a gente busca ali e a gente define as prioridades.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dados, números e também cruzar dados e números depois, cruzamento de dados.

Obrigada, Dra. Santusa.

Nós estamos com uma participação enorme de pessoas que estão mandando perguntas via internet. Entre a primeira e a segunda mesa, eu vou fazer referência às perguntas. Depois eu passo para a senhora, tá?

Vamos ouvir agora o último orador dessa mesa, o Dr. Eduardo Nunes Queiroz, defensor público federal, que está representando hoje a Defensoria Pública da União.

Doutor, seja muito bem-vindo.

**O SR. EDUARDO NUNES QUEIROZ** (Para expor.) – Obrigado Senadora, em quem também aproveito para cumprimentar os demais membros e membras da mesa. É uma alegria para a Defensoria Pública participar de algo tão importante e tão corriqueiro na atuação da Defensoria Pública. Acho que a Defensoria Pública, ao longo dos últimos 10, 15 anos, teve uma revolução na sua missão institucional: saiu daquela visão de que a hipossuficiência é uma questão só de falta de dinheiro. Pelo trabalho desta Casa, do Congresso Nacional, começou-se a abraçar uma questão que envolve exclusão, e exclusão envolve vários fatores. Estamos lidando com pessoas com deficiência, pessoas com doenças raras, que, por mais que tenham nascido em boas condições, como indicado aqui, enfrentam barreiras gigantescas nesse que foi denominado itinerário de direitos.

Então, a Defensoria Pública não se limita à defesa de pessoas só com hipossuficiência de renda, mas também à hipossuficiência de caráter jurídico. Então, qualquer pessoa que, por conta de diversas limitações institucionais, estruturais, tem seu direito negado é assistida pela Defensoria Pública, que deve ser buscado, e a gente tem atuado em diversas frentes nisso.

Na questão, por exemplo, de pessoas com deficiência, há um universo de violações. Semana passada mesmo, a Defensoria teve a oportunidade de assinar uma ação civil pública para uma mudança do acesso ao Passe Livre que excluiu mais da metade das pessoas com deficiência, de acesso a isso, porque se estabeleceu uma sistemática completamente ignorante à realidade das pessoas com deficiência, demandando buscar INSS, demandando buscar cadastro



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

de exclusão... Então, é só um exemplo, mas aqui eu vou me ater à questão realmente do acesso a direitos também para pessoas com doenças raras.

E aqui, Senadora, é claro que há uma questão de violência, que é latente em relação às pessoas nessa condição. Isso é algo, como o Dr. Cláudio colocou, que acaba desembocando muito nas nossas congêneres estaduais, distritais, afinal, são crimes contra pessoas e tudo... E a Defensoria Pública da União, por ser um órgão de atuação federal, tem a sua atuação mais ligada realmente à discussão sobre as políticas públicas em nível federal, que envolvem o acesso a direito a essas pessoas.

E o principal, que eu acho que é realmente a primeira barreira, é o direito à vida, o direito ao bem-estar, o direito à saúde, que é justamente isso que tem sido a nossa principal pauta. A Defensoria Pública possui dois grupos de trabalho que lidam com temáticas relacionadas a isso: nosso grupo de trabalho de pessoas com deficiência e nosso grupo de trabalho de saúde, que vêm lidando com diversas frentes nesse sentido. E a frente que o Dr. Ricardo Salviano, que também é grande parceiro, tem participado, que é a questão da efetivação do Programa Nacional de Triagem Neonatal. Acho que esta Comissão teve um trabalho muito importante, nos últimos anos, sobre o diagnóstico e as insuficiências no cumprimento da Lei 14.154, justamente como foi tratado aqui pela Dra. Santusa, sobre a limitação no avanço do acesso a esse diagnóstico precoce, a ter realmente, o teste do pezinho, abrangendo novas enfermidades que padecem de invisibilidade aqui.

Eu me senti muito contemplado também pelos eslaides que a Dra. Valdenize colocou, em que trouxe o horizonte que a Defensoria lida. As pessoas, ao buscarem a Defensoria... A Defensoria Pública costuma atuar na área de saúde, que é o estuário dos problemas da política pública. Para a pessoa que tem um problema de saúde, para a família de uma criança com doenças raras, é justamente isto: a primeira coisa que bate é o próprio Sistema Único de Saúde. Então, vai batendo e começa... E, quando vai lidando com essas portas fechadas, o caminho natural é realmente buscar a Justiça, e a Defensoria Pública é uma porta preferencial, importante, essencial no acesso à Justiça quando todas as outras estão fechadas, para tudo que há de problema. Na política de atenção a pessoas com deficiência rara, as portas fechadas são muitas, e isso acaba batendo e caindo na Defensoria Pública. Então a gente tem essa atuação na DPU, inicialmente na nossa GT Saúde, essa preocupação sobre o diagnóstico precoce. Afinal,



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

como trazido aqui pelos eslaides, muitos dos problemas se dão já no contexto neonatal. Já nos primeiros meses de vida, essas crianças precisam imediatamente ser diagnosticadas e ser tratadas.

Nos casos em que me envolvi pessoalmente, como a atrofia de medula espinhal do tipo 1 e tipo 2, que teve aquela questão que acabou sendo usada como espantalho na tal da judicialização da saúde, que é a questão do acesso ao Zolgensma, que é um medicamento de R\$6 milhões, que precisa ser dado nos primeiros meses de vida, a gente enfrentou barreiras e enfrenta barreiras muito grandes no acesso para esse tipo de tratamento. Então, esse diagnóstico precoce, essa possibilidade de atendimento, de ser atendido é uma das barreiras iniciais que as pessoas enfrentam para ter acesso aos seus direitos.

A Defensoria Pública da União, ao final do ano passado, expediu uma recomendação, inclusive, Dr. Cláudio, inicialmente assinado pelo MPF. A gente aqui está mais junto do que em polos separados. O MPF é um grande parceiro da Defensoria Pública também na defesa do direito à saúde, do direito das pessoas. Então, expedimos uma recomendação ao Ministério da Saúde para ampliar, para estruturar essa política de expansão e de acesso. Já foi tratado aqui o problema que as Regiões Norte, Nordeste e até Centro-Oeste têm no acesso a essa política. Então, essa recomendação ainda pende de uma resposta conclusiva do Ministério da Saúde, que indique realmente desafios na concretização dessa política, que já está na lei.

E, para além disso, a gente tem lidado com outro problema muito sério, que é justamente essa falta de uma política estruturada de nível legislativo, para justamente traçar esse itinerário de direitos para pessoas com doenças raras.

Eu tive a oportunidade de ter uma conversa com o CNJ, ao final de 2023, quando já se estava desenhando o que depois o STF decidiu sobre o acesso a direitos no âmbito do Judiciário a pessoas com doenças raras.

Como as senhoras e os senhores sabem, o STF, no ano passado, definiu no Tema 6 e no Tema 1234 os parâmetros que o Judiciário deve observar na concessão de tratamentos e insumos médicos para ações de saúde, e, já no momento em que essa solução era pensada, o Defensoria Pública, junto com representações de pacientes, já viu problemas muito sérios relacionados a pacientes com doenças raras, porque a solução desenhada pelo STF, Senadora,



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

vai muito no sentido de doenças com maior conhecimento, com maior prevalência, que é uma questão que não se enquadra na questão dos pacientes com doença rara, exige passar por um núcleo técnico do Judiciário, então enfrenta a primeira barreira que é o problema de conhecimento especializado sobre a doença – é isto: a doença é rara, e os médicos especializados, os centros de referência são muito poucos. Então, o Judiciário tem poucas referências para lidar com isso e tem confiado em núcleos que, muitas vezes, não têm o conhecimento adequado para isso e geram uma primeira barreira.

O segundo é sobre o funcionamento também da Conitec, da incorporação de novas tecnologias, o que tem sido um problema muito sério para a questão de doenças raras, por conta realmente da avaliação de custo-efetividade. Acho que foi trazida aqui também pela Dra. Valdenize a questão da falta de redes de apoio, a questão das associações de pacientes, de médicos, isso tem sido fundamental para o avanço tecnológico em outras doenças. A gente trata aqui de doenças oncológicas, em que há uma presença muito forte do terceiro setor, da sociedade civil organizada para pressionar o avanço tecnológico. Isso é muito mais fragmentado na questão de pacientes com doenças raras.

Então, a gente tem enfrentado uma série de limitações, e ficam bastantes preocupações sobre esses parâmetros que o STF colocou no acesso judicial a tratamentos para as peculiaridades das pessoas com doenças raras, que precisam. São poucos centros de referência; às vezes, quanto aos próprios profissionais, são um ou dois profissionais no país que sabem disso. Aí é quando levamos a necessidade de um tratamento, que é para ser feito por um profissional específico; o Judiciário não tem elementos para lidar, e, muitas vezes, temos uma dificuldade extra, e aqui o tempo é fundamental. Acho que, quando lidamos com doenças raras, o tratamento precoce, o acesso à Justiça precoce é fundamental.

Então, o Judiciário precisa estar preparado para isso. Eu trago essa visão porque são órgãos ligados à Justiça, é uma função existencial da Justiça; então, preciso trazer as preocupações de como a Justiça está funcionando no acesso a esses direitos.

E acho que precisamos... Foi o encaminhamento inclusive com que saímos, com essa certeza, da conversa no CNJ, da necessidade de avançarmos na conscientização do Poder Judiciário de temperar esses entendimentos que o STF fez sobre o acesso ao direito sanitário



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

para especificidades das pessoas com doenças raras e entender que o conhecimento é fragmentado, que ele é muito especializado, que ele é realmente caro e que, mesmo em grandes centros – em Brasília temos um espaço de referência no diagnóstico – temos dificuldade de encontrar locais onde as pessoas podem ser tratadas. Então, não raro as liminares precisam envolver transporte. Estamos lidando aqui com apoio, com acompanhante, indicando especialistas específicos para isso, tratamentos específicos com que, hoje em dia, o Judiciário não tem instrumental para lidar, e esses entendimentos talvez tenham limitado.

Então, a Defensoria Pública vê com muita alegria o incentivo aqui. Esse tema precisa avançar e, realmente, os referenciais, inclusive legislativos, para uma atenção específica, consciente das peculiaridades de todo esse itinerário de direitos, das famílias e das pessoas com doenças raras precisa ser contemplado. Isso vai ser fundamental também para o acesso em sede judicial a esses direitos. Quando todas as portas se fecham, é um direito da Constituição que nenhuma violação de direito possa ser negada ao conhecimento do Judiciário. Isso precisa chegar, isso precisa ser respondido.

Então, Senadora, a Defensora Pública se coloca aqui como parceira e traz provocações para podermos avançar num acesso mais amplo e em diversas áreas.

Estamos tratando aqui muito do Executivo, de avanços em âmbito municipal, estadual ou federal, mas com atenção também ao próprio Poder Judiciário, para estar preparado e sensível a essas demandas, porque, dentro desse horizonte da judicialização que foi tão combatido no ano passado, trazendo tanta preocupação, precisa ser uma porta ainda aberta, porque as doenças raras desafiam qualquer tipo de planejamento, desafiam qualquer tipo de antecipação. Então, o Judiciário precisa estar preparado, pronto para responder também a essas necessidades quando todas as outras portas se fecham.

Muito obrigado.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Muito, muito obrigada, Dr. Eduardo Nunes.

**O SR. CLÁUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (*Fora do microfone.*) – Senadora, eu posso só...



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

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

Gente, eu não sou louca de impedir o Ministério Público da União de falar. (*Risos.*) Vocês entenderam, né?

**O SR. CLÁUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (Para expor.) – Que é isso, a senhora é que está com a tesoura aqui...

No início da fala do Dr. Eduardo Queiroz, eu fiquei muito preocupado, porque ele estava falando do papel da Defensoria Pública de propor uma ação civil pública para tratar do acesso ao transporte público. Eu fiquei muito preocupado e falei: cadê o Ministério Público, porque esse é papel do Ministério Público também, né? Depois, ao longo da fala dele, eu fiquei mais aliviado, confesso, porque ele falou que o Ministério Público tem sido parceiro, e eu acho que isto é um ponto importante que eu queria destacar, que é a união de duas instituições importantíssimas, essenciais à função da Justiça, que é o Ministério Público e a Defensoria Pública, cada qual com seu viés de atuação, mas a união dessas duas instituições só tem a agregar para a sociedade e fortalecer justamente a voz do cidadão, das pessoas junto à Justiça.

A partir dali é que nós vamos conseguir implementar as políticas públicas, concretizar em efetivo as políticas públicas. E a união do Ministério Público com a Defensoria Pública só vem aumentar e melhorar isso, por isso eu achei importante – fiquei aliviado, confesso – quando ele disse que o Ministério Público estava atuando com eles também. Então, só destaco esse ponto, que acho muito importante, Excelência, porque é uma porta de entrada muito importante, inclusive para convencimento do Judiciário, porque é o Judiciário que, no final das contas, vai dizer o direito, tem o papel de dizer o alcance daquele direito que está colocado na lei.

Obrigado.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Doutor, obrigada. Que bom que foi o senhor que disse isso! Eu não iria ter tanta coragem.

Mas eu acho que está faltando nesta mesa aqui o STF – não está faltando nesta mesa? –, o STJ, o CNJ. Acho que todos os juízes tinham que estar aqui hoje, porque nós temos o defensor



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

público, que ingressa com a ação; nós temos o Ministério Público ali, fazendo a garantia dos direitos, mas e os magistrados?

Que bom que a Defensoria da União está fazendo esse diálogo! Se precisar da Comissão para fazer esse diálogo junto, nós nos colocamos à disposição.

Obrigada à Defensoria. Obrigada.

E quero lembrar a questão de que nós temos a Defensoria itinerante. Nos lugares onde nós não temos uma sede da Defensoria, eles têm o serviço itinerante, tanto as Defensorias dos estados, quanto a Defensoria Pública. O que seria de nós sem as Defensorias? O que seria de nós?

Já que ele levantou o cartãozinho, quero registrar a presença do Pr. Edivaldo, Defensor popular, que é pai atípico, lidera o movimento em defesa das famílias atípicas, e está aqui com a gente em todas as reuniões – obrigada, Pastor! –, é esposo de Vera, que está aqui também e é mãe atípica. Nós vamos ter uma audiência só sobre ataxia, mas eles estão aqui hoje. Parabéns, Pastor!

Nós vamos agora desmontar esta mesa, mas eu queria... O Dr. Cláudio está muito bem acomodado ali, é difícil ele sair, e eu vou pedir que o Dr. Cláudio continue. E nós vamos pedir que as nossas convidadas desocupem a mesa. E, conforme nós falamos, nós vamos deixá-las à vontade, se tiverem agenda... Eu sei que, numa manhã como esta, o Hospital da Criança está fervendo lá, fiquem à vontade.

E eu tenho perguntas, Doutor, que estão chegando da internet e, se forem direcionadas às senhoras, eu mando por *e-mail*. Mas, se a Santusa pudesse ficar até o final...

Nós vamos compor a segunda mesa.

Eu quero chamar para compor a segunda mesa, de forma *online*... E eu vou fazer o seguinte, Dr. Arthur, vou deixá-lo por último porque parte das respostas está com o senhor. Compõe esta mesa, de forma *online*, Dr. Arthur de Almeida Medeiros, Coordenador-Geral de Saúde da Pessoa com Deficiência, do Ministério da Saúde – seja bem-vindo!



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Chamo para ocupar a mesa a Sra. Lauda Santos, Vice-Presidente da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas). Obrigada, Lauda, por estar conosco, amiga, parceira.

Enquanto ela vem vindo, gente, o Espaço Mundo Raro, de Brasília, inaugurou uma sala multissensorial, que é a coisa mais linda do mundo, e quero dizer para os senhores que a Lauda teve... A Lauda entregou para Brasília uma sala multissensorial – ela já tinha um espaço – por apenas R\$10 mil. Vocês estão convidados para conhecer. Atenção, cidades do interior que vivem alegando que é tudo muito caro, muito caro, muito caro: vamos conhecer a sala multissensorial lá no nosso Espaço Mundo Raro.

Convido com muita alegria, para compor a mesa aqui, do meu ladinho, Gabriel Yamin, líder do movimento Somos Todos Gigantes. É tão bom ver o Gabriel vindo como orador, porque por anos ele era a minha criança, com nanismo, e hoje ele é líder do movimento!

E, enquanto o Gabriel vem, eu quero informar que, na Câmara dos Deputados, neste exato momento, está acontecendo um evento sobre nanismo, e Gabriel vai ter que falar, vai ter que ir correndo para lá.

Gabriel, você está lindo! Gabriel, que bom te ver aqui agora como expositor!

Eu convido, para fazer parte da mesa, uma pessoa rara, mãe de rara e filha de pai raro e que foi Coordenadora de Pessoas com Doenças Raras do Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos, minha Coordenadora, a Adriana Villas Bôas – para compor esta mesa. E nós vamos...

Ela está ali pertinho do Isaac Brunno e eu não vou trazê-la para cá porque ela está acomodada ali certinho, que é a Jaqueline de Araújo Silva, mãe do Isaac Brunno Passos – o Isaac está do lado dela –, diagnosticado aos dez anos com uma doença rara, que ela vai explicar. E a fala dela vai ser dividida com o Dr. Salvatore Rinaldi, do Instituto Rinaldi Fontani, na Itália – ele vai fazer a participação dele *online*.

Como o nosso Isaac já estava tossindo um pouquinho, aqui está frio, nós vamos abrir esta segunda mesa com a Jaqueline e, depois, com o Dr. Salvatore. E, Jaqueline, você vai se sentir à



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

vontade e, se tiver que falar e sair por causa do Isaac... Mas nós estamos muito felizes com a sua presença porque nós, nesta Comissão, defendemos isto: nada sobre nós sem nós.

Muito obrigada por ter aceitado o convite. Você tem seu tempo.

**A SRA. JAQUELINE DE ARAÚJO SILVA** (Para expor.) – Bom dia a todos os presentes, aos que acompanham pela TV Senado, pelo YouTube.

Meu nome é Jaqueline, eu tenho 39 anos e eu sou mãe da Bruna, que tem 15 anos, diagnosticada com autismo, e sou mãe do Isaac, que tem 12 anos, diagnosticado com adrenoleucodistrofia. E hoje aqui eu serei a voz de milhares de crianças que sofrem com adrenoleucodistrofia e, principalmente, serei a voz do Isaac, o meu filho.

O Isaac foi diagnosticado tardiamente, aos dez anos de idade, com adrenoleucodistrofia, uma doença genética rara, degenerativa, ligada ao cromossomo X, que afeta principalmente os meninos. Essa doença impede a quebra do ácido graxo de cadeia muito longa, fundamental para o cérebro e a adrenal. Sem o tratamento precoce, a ALD, como é chamada a adrenoleucodistrofia, evolui rapidamente, comprometendo as funções vitais e levando o afetado ao estado vegetativo.

O Isaac, aos dez anos, quando eu recebi o diagnóstico, estava brincando, nadando, lendo gibi, superinteligente. E hoje ele luta pela vida. Tem três anos de diagnóstico. Mas a história dele poderia ter sido diferente, porque a medicina já permite o diagnóstico precoce, mas a doença adrenoleucodistrofia não está incluída no teste do pezinho. Se a doença fosse diagnosticada cedo, ele poderia ter tido a chance de a doença não evoluir; ele poderia ter feito o transplante de medula óssea, que é o tratamento que já existe no Brasil. No entanto, a ALD ainda não está incluída na triagem neonatal obrigatória. E isso tem um custo: tem custado a vida e os sonhos do Isaac e de muitas outras crianças.

Eu vi a doença avançar: eu vi o meu filho tendo convulsões, eu vi o meu filho perdendo a fala, parando de andar, parando de falar, de se alimentar, de respirar. Mas, mesmo diante desse cenário, nós escolhemos lutar (*Manifestação de emoção.*) e estamos vencendo, porque o Isaac está aqui, ele não está em estado vegetativo. O Isaac está voltando a se comunicar, ele tem expressado vontade de falar, o Isaac está voltando a se alimentar pela boca, ele não precisa de



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

suporte respiratório. Nós estamos vencendo a adrenoleucodistrofia. Mas tudo isso só foi possível porque nós conseguimos, com muito esforço, acesso a tratamentos realizados 100% de maneira particular e com doações.

O Isaac fez um tratamento regenerativo na Itália. Ele fez quatro ciclos – eu fui com o Isaac, fizemos quatro viagens bem difíceis –, além de terapia de reabilitação, tudo de maneira particular, que melhoraram a qualidade de vida do Isaac.

O Isaac precisa continuar o tratamento que vem possibilitando essas melhoras. O recomendado pelos médicos é que ele realize o 5º ciclo do tratamento Reac até maio deste ano, para que a doença não avance. E, infelizmente, até o momento eu não tenho condições financeiras de levá-lo.

Eu estou aqui também para apresentar a proposta de um projeto que permite o financiamento do tratamento Reac no Brasil como parte das políticas públicas para doenças raras.

Aqui, na minha mão, eu tenho um abaixo-assinado em andamento nas redes sociais, com milhares de brasileiros apoiando essa iniciativa. Esse projeto pode transformar a vida de muitas famílias que, como a minha, enfrentam a dor e o medo diariamente.

Quando eu decidi ser mãe, eu tinha estabilidade. Eu trabalho há 19 anos como Professora da Secretaria de Educação do Distrito Federal. Eu sempre ofereci conforto aos meus filhos, mas a vida com uma doença rara tem custos altíssimos. Eu já vendi a minha casa, eu já vendi o meu carro, eu me endividei. E tudo isso porque o Estado falhou, lá atrás, no diagnóstico precoce. Hoje, eu preciso pedir ajuda, não por falta de planejamento, mas porque lutar contra uma doença rara no Brasil é enfrentar o abandono.

Luto contra o tempo, o cansaço, o medo e a ausência do Estado, mas eu não luto sozinha. Do meu lado está a minha filha Bruna, que cresceu rápido demais, por amor ao irmão. Ao meu lado tem outras mães que têm histórias semelhantes, que também gritam por socorro e são invisibilizadas.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu não posso deixar de falar da mãe do Davi Lucas, que se chama Gracielle Brandão. Ela é mãe, médica, que tem dedicado a vida em busca da cura da adrenoleucodistrofia. Foi através dela que eu conheci a Reac, na Itália.

É por elas, por todas as famílias, que peço a atenção deste Senado. Peço apoio para que o caso do Isaac não seja mais um esquecido, mas se torne símbolo de resistência, fé e avanço. O Isaac não é um caso perdido. Ele é prova de que existe possibilidade, mas precisamos de políticas sérias que olhem para doenças raras com dignidade, que financiem pesquisas, ampliem o teste do pezinho, garantam acesso a tratamentos e parem de tratar laudos como sentença de morte. Viver com uma doença rara é possível, mas viver com dignidade exige de vocês um olhar humano, comprometido e urgente.

Eu farei a entrega simbólica desse projeto de lei às mãos da Senadora Damares, que está aqui presente e tem demonstrado sensibilidade com as causas das doenças raras. Que essa entrega represente um compromisso com a vida, com a inclusão e com a esperança de milhares de famílias.

Aqui nós temos 3,5 mil assinaturas, a petição ainda está correndo nas redes sociais.  
(*Pausa.*)

Para que todos compreendam com mais profundidade a importância do tratamento Reac, que tem sido transformador na vida do meu filho, o próprio criador do protocolo, Dr. Rinaldi, falará. Ele poderá explicar com mais propriedade os fundamentos, os resultados e as possibilidades desse tratamento inovador.

Muito obrigada. (*Palmas.*)

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Jaqueline, que fala! Essas mães deixam de ser pessoas comuns, se transformam em grandes oradoras, grandes palestrantes. O que vimos aqui? Uma mãe forjada pela dor, pelo sofrimento, que se torna a voz de milhares de crianças. Obrigada, Jaqueline; obrigada, Isaac; e obrigada, Bruna, por você estar acompanhando sua mãe nessa jornada. A gente sabe que você está deixando às vezes de passear, de ir ao cinema, de fazer coisas de meninas da sua idade, mas a sua mãe fez questão de destacá-la como a parceira nessa jornada. Nós a respeitamos muito e



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

admiramos muito. Obrigada, viu, Bruna? Você está representando os milhares de irmãs e irmãos no Brasil que também entram nessa jornada e que ajudam os pais nessa grande jornada. Que Deus a abençoe muito! Você é um exemplo, você é um orgulho! Ela merece ser aplaudida. Obrigada, Bruna.

Nós vamos ouvir agora, com muita honra, o Dr. Salvatore Rinaldi, para mim foi uma alegria, uma surpresa enorme saber que ele estava disponível para participar dessa audiência. Ele fala diretamente da Itália, do Instituto Fontani, na Itália.

Dr. Salvatore, muito bem-vindo. É uma alegria tê-lo conosco.

**O SR. SALVATORE RINALDI** (Para expor. *Por videoconferência.*) –

*(Pronunciamento em língua estrangeira, aguardando posterior tradução.)*

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dr. Salvatore, nós agradecemos a sua participação. Nós gostaríamos de entender muito mais sobre o protocolo. O senhor falou agora para o Brasil inteiro. Com certeza, o senhor levou para muitas famílias brasileiras esperança. Existe um tratamento que dá qualidade de vida para esse paciente. Nós queremos lhe agradecer pela sua disposição de estar parando tudo aí no seu instituto para falar conosco.

Nós teremos um grupo de trabalho nesta Comissão, que é um grupo de trabalho específico para as doenças raras, liderado por uma das nossas mais brilhantes Senadoras do Brasil, a Senadora Mara Gabrilli. É uma Subcomissão só sobre doenças raras. E nós vamos querer ter o senhor como nosso parceiro, nosso amigo e nosso orientador sobre essa doença e tornar conhecido seu protocolo e o tratamento que o senhor oferece. Quero agradecer a sua participação. Muito obrigada.

Na sequência, nós vamos ouvir agora, com muito carinho, Gabriel Yamin, líder do movimento Somos Todos Gigantes.

**O SR. GABRIEL YAMIN** (Para expor.) – Bom dia. Agora boa tarde, não é? Acabou de passar de meio-dia.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Na pessoa da querida amiga Senadora Damares Alves, eu cumprimento todos da mesa, todos que estão aqui de forma presencial, todos que nos ouvem de forma *online*.

Eu vou começar me apresentando um pouquinho melhor e quero começar minha fala também convidando vocês a uma reflexão.

Meu nome é Gabriel Yamin, tenho 18 anos, sou de Goiânia, mas há um ano moro em São Paulo, sozinho, porque curso administração de empresas no Insper. Eu sou o primeiro caso de uma doença rara na minha família; na verdade, uma comorbidade comum – há mais de 770 tipos de doenças raras –, que é o nanismo. Eu nasci com o tipo mais comum de nanismo.

Quando a gente fala sobre o nanismo, geralmente você pensa em uma pessoa que tem características parecidas com as minhas. O nanismo, na verdade, é a baixa estatura que está associada a mais de 770 tipos de doenças raras, em sua maioria displasias esqueléticas.

É uma coincidência muito grande e muito feliz a gente ter este momento, aqui no Senado, no mesmo dia em que a gente está tendo, lá na Câmara dos Deputados, organizado pelo nosso instituto, pelo Somos Todos Gigantes, mas pelo Instituto Nacional de Nanismo, que é a parte legal, é o CNPJ por trás de todo esse movimento, o Fórum Internacional de Displasias Ósseas. A gente está tendo participação de especialistas do Brasil afora. Então, eu convido todos que se interessarem. A gente vai estar com programação hoje até às 18h, e amanhã também até mais ou menos a hora do almoço, lá no Auditório Nereu Ramos, no Anexo IV da Câmara.

A reflexão que eu queria começar minha fala trazendo para vocês é que há dez anos eu estou nessa luta pela minha comunidade. Hoje com 18, eu comecei com oito anos de idade essa luta e, a partir da minha casa, a partir da minha família, esse movimento que hoje se espalhou o Brasil afora.

Eu pude perceber que existem dois tipos de olhares que a gente mais recebe pela sociedade de forma geral, mas também, principalmente, pelo poder público: o olhar, na verdade não é nem um olhar, daquela pessoa que simplesmente mantém os olhos para o horizonte dela e não se preocupa nem em olhar para baixo, e olhar para essas pessoas que estão acenando aqui debaixo, tentando chamar a atenção de alguma forma; ou então das pessoas que se preocupam em, às vezes, olhar, mas que olham para baixo com esse olhar de superioridade, de



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

se sentir superior a essa outra pessoa e de se sentir quase como um super-herói por estar olhando por essa pessoa.

Na verdade, o convite que eu quero fazer para todos vocês hoje, Parlamentares ou não, envolvidos com o poder público ou simplesmente membros da sociedade civil como eu, é para se abaixarem e olharem na altura dos nossos olhos, com os corações batendo nas alturas dos nossos corações, e olharem o mundo como a gente vê, com as nossas dores, com os nossos desafios, com os nossos direitos, que precisam ser respeitados e garantidos.

Então, em 2015, quando eu tinha só oito anos, eu e meus pais começamos um movimento despretensioso, uma página de Instagram, uma página de Facebook, que eu, pelo menos, com a minha pouca idade, mas tenho certeza de que meus pais também – meu pai está ali representando, minha mãe está lá no fórum – não imaginavam tomar proporções que fossem maiores do que o nosso círculo de amizades. E, com um ano, a gente entendeu que a gente já não podia mais ser só um movimento, a gente agora tinha que ter um *site*, porque não tinha informação sobre o nanismo. E, na época, as informações que a gente tinha eram muito dispersas, eram muito difíceis de serem acessadas, até para nós que estávamos à frente do movimento, até para nós que precisávamos buscar informação, a gente tinha muito difícil acesso a essas informações relevantes. E a gente precisava de um jeito de concentrar tudo aquilo que a gente ia conseguindo.

Então, a gente criou o primeiro *site* exclusivamente sobre o nanismo no Brasil, que hoje é: [institucionaldenanismo.com.br](http://institucionaldenanismo.com.br), para reunir todas essas informações que, para nós, são a nossa maior arma contra os preconceitos que ainda nós sofremos, porque falta informação, e essa informação pode trazer empatia, essa informação traz essa mudança de olhar, essa informação faz com que o olhar agora se torne no mesmo nível para todo o mundo que nos cerca.

A gente não quer mais depender, pessoas como eu, de movimentos como o nosso para simplesmente bater à porta de todo mundo e falar assim: "Olha, a gente precisa disso". E são coisas básicas que a gente precisa, que a gente demanda muitas vezes. A gente quer que as pessoas tenham agora a informação e tenham essa empatia, esse olhar novo, para que vocês também possam ser agentes de transformação no nosso país, porque vocês também podem



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

olhar para o lado, podem olhar ao redor e identificar ambientes que são inacessíveis, tanto fisicamente, arquitetonicamente, mas também socialmente. É uma acessibilidade comportamental que ainda precisa ser alcançada. Então, vocês também podem ser agentes de transformação. E esse é um convite que eu quero deixar na minha fala.

Em 2018, a gente entendeu que era muito legal ter essas informações no site, ter os nossos grupos de apoio, de interação nas redes sociais, no WhatsApp, mas a gente precisava se encontrar. A gente precisava olhar no fundo do olho de cada um, se abraçar e se reconhecer nas histórias tão distintas, mas que encontravam no nanismo um ponto em comum e que se tornavam uma esperança de um futuro diferente daquela realidade que meus pais tiveram quando receberam o meu diagnóstico, uma realidade de, às vezes, estarem perdidos em meio a tantas informações que, na verdade, não agregavam nada a uma família que acabou de receber um diagnóstico raro. E, para o caso do nanismo, ainda é mais difícil, porque, até hoje, é uma deficiência que não só é marginalizada pela sociedade, mas é vista com olhos pejorativos.

Em 99% dos casos, quando a gente vai falar de nanismo, a gente ainda não fala da pessoa com nanismo, a gente fala do anão da piada, a gente fala do anão da mitologia, a gente fala de um ser humano que nem é ser humano, na verdade, de um anão, e só. Então, essa é uma luta que a gente precisa ainda ter, a gente precisa ainda ultrapassar essa primeira barreira, para que, então, a gente possa discutir sobre quais são os nossos direitos humanos, porque nós somos seres humanos. Por trás de cada um de nós, tem um ser humano... Na verdade, não por trás, a gente está aqui – a gente está aqui! Eu estou aqui como ser humano, não como anão. Minha deficiência não pode me definir como pessoa ou como ser. A minha deficiência é só uma característica que está lá, mas o que eu sou, assim como todos vocês, é um ser humano, que tem direitos humanos que devem ser respeitados e garantidos.

Em 2020, a gente resolveu ultrapassar a ideia de movimento do Somos Todos Gigantes e criar a formalização de tudo isso por que a gente estava lutando, que é o Instituto Nacional de Nanismo. E, nas nossas primeiras reuniões e campanhas de *advocacy*, a gente conheceu e teve um tempo muito especial com a então Ministra Damares Alves, que recebeu a gente no gabinete dela, e a gente teve uma discussão tão rica, tão produtiva...



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu me lembro muito da primeira pergunta que a senhora nos fez: "Por onde começamos? Cadê vocês? Onde vocês estão? Quais são as suas demandas, as suas necessidades?". Na época, tinha tanta coisa, e a gente não sabia nem ao certo quem nós éramos, quantos nós éramos... E a Damares olhou para a gente e falou assim: "Não, pode deixar que a gente vai estar junto nessa luta".

Ainda em 2020, no meio da pandemia, no meio daquele caos todo, a gente recebeu o primeiro material oficial do Governo Federal tratando sobre o nanismo nas mais diversas áreas. Então, a gente recebeu materiais de acessibilidade, de saúde e de direitos produzidos pelo Governo. Pela primeira vez, o Governo Federal olhava para a nossa comunidade – em 2020, através do trabalho da então Ministra e agora Senadora Damares Alves.

Em 2025, hoje, dez anos depois do início de tudo isso, eu, agora com 18 anos, posso garantir para vocês... Mudou muita coisa? Não mudou. A gente tem uma luta muito grande.

Se a gente pegasse – minha mãe brinca muito sobre isso, e, na verdade, é uma brincadeira que tem um tom de seriedade – o marco temporal da pessoa com nanismo e da luta da nossa comunidade, a gente estaria chegando ao marco zero agora, porque, em todos esses dez anos, a gente tem trabalhado por, primeiro, quebrar o preconceito e a visão pejorativa, da sociedade de forma geral, mas do poder público em relação às pessoas com nanismo.

Hoje, a gente está tendo na Câmara dos Deputados um momento histórico para o Brasil. Pela primeira vez, o médico que criou o primeiro tratamento para o meu tipo de nanismo, que hoje beneficia mais de 200 crianças ao redor do Brasil... mais de 400 crianças no Brasil e milhares de crianças ao redor do mundo... Ele está aqui, o criador, o desenvolvedor, o descobridor da molécula que reverte as características do nanismo, porque o nanismo não é só sobre a altura. A gente tem que lembrar que são 770 tipos de doenças raras com características e comorbidades diferentes, que não se limitam só à altura. Se fosse só sobre a altura também, se fosse só uma questão de sermos mais baixos, nem por isso nós deveríamos ser desumanizados, nem por isso nós não devemos ter nossos direitos respeitados; mas os nossos direitos, as nossas demandas vão muito além da altura.

E eu queria encerrar a minha fala com um caso que ilustra muito bem aquilo que eu estou falando, que não é só sobre a altura e não é uma luta que está chegando agora num patamar



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

muito elevado e muito avançado. Não, a gente ainda tem muito trabalho pela frente. No final da semana passada, viralizou nas redes sociais um vídeo de um influenciador saltando sobre uma jovem com nanismo que voltava da escola para casa. Ela simplesmente voltava para casa, ele não a conhecia, ele não lhe perguntou se podia gravar um vídeo e ele simplesmente saltou por cima, gravou e postou nas redes sociais.

Isso é algo que a gente enfrenta diariamente, são casos como esse que a gente enfrenta diariamente em 2025, mesmo na nossa comunidade de pessoas com deficiência. E o nanismo é uma das deficiências mais jovens, porque só foi reconhecido como tal em 2004, dois anos antes de eu nascer. Isso é muito recente para um universo todo de deficiência e para uma deficiência que é visualmente perceptível, que é uma deficiência física. Mesmo na nossa comunidade, pessoas com deficiência, nós ainda somos invisibilizados, nós ainda somos marginalizados. Então, a gente não pode manter esse padrão e manter esse olhar, essa perspectiva da sociedade com a gente, em relação à nossa comunidade, à minha comunidade.

É por isso que espaços como esse são tão importantes. É por isso que momentos como esse são tão importantes, para dar voz e para convidar todos vocês a fazerem parte desse movimento, a fazerem parte dessa transformação que precisa de tantas coisas, tantas áreas diferentes, é multidisciplinar, é uma transformação que envolve tantas áreas da nossa sociedade e precisa ser feita já. A gente não pode esperar mais. Eu não posso esperar mais para que as próximas gerações e as gerações posteriores tenham que lutar ainda por transformações tão básicas e tão simples, pelas quais eu venho lutando com a minha família e com tantas outras famílias que a gente engloba no nosso movimento há dez anos. A gente não pode estender essa luta por mais dez anos por coisas tão simples. Nós somos seres humanos antes de qualquer outra coisa e devemos ser respeitados como tal.

Então, eu queria agradecer muito pelo convite à Senadora, porque são espaços como esse que a gente precisa para que de fato a gente possa ter voz na sociedade e falar que estamos aqui; estamos aqui e vamos continuar lutando. Mas a gente precisa do apoio e da ajuda de todos vocês, porque o nanismo é uma condição que pode acontecer em qualquer família. A minha família não tinha nenhum caso antes. Mas vocês não precisam esperar acontecer na sua família para serem parte dessa luta tão importante de uma comunidade que é visível e deve ser



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

visível, deve ser vista pelo poder público, mas pela sociedade civil também, não mais como piada, não mais como secundária, mas agora conquistando espaços que são nossos de direito.

Então, obrigado, Senadora – foi muito importante para a gente esse espaço, este momento –, e obrigado pelo seu apoio durante todos esses anos.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Meu Deus, vocês precisam ver a cara do pai ali, a emoção! A primeira vez em que eu ouvi o Gabriel, eu disse: "Eu quero esse menino para ser meu genro", e eu continuo querendo o Gabriel para ser genro. *(Risos.)* Dezoito anos, morando sozinho, fazendo faculdade, e que oratória – vocês viram? –, que oratória! Eu acho que nós temos um grande líder, doutor, nesta nação. Só que eu quero...

*(Intervenção fora do microfone.)*

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

*(Intervenção fora do microfone.)*

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Só que eu quero pedir perdão ao Gabriel, e vocês vão entender por que eu vou pedir perdão. Esta mesa não estava pronta para Gabriel. Gabriel está sentado numa altura, e os pés dele estão no ar. Se Gabriel ficar mais uma hora nesta mesa, os pés do Gabriel vão doer. Esta mesa, esta Comissão não está pronta para a pessoa com baixa estatura, o Brasil não está pronto. Imaginem quantas crianças saem da escola, porque não tem uma cadeira rebaixada, porque o pezinho dói, ou não tem um suporte para o pezinho! Imaginem quantas crianças saem da escola porque não tem um banheiro rebaixado, um vaso rebaixado! Agora a gente está vendo no aeroporto, mas é um ou outro aeroporto; nas rodoviárias eu não estou vendo, nas escolas... A arquitetura não está pronta para eles, nós não estamos prontos.

Eu me lembro de que, quando a gente começou a conversar sobre tudo isso, eu fiquei muito brava, porque a fechadura... a maçaneta da minha sala, para o Gabriel entrar, se Gabriel estivesse sozinho, ele não conseguiria abrir a maçaneta da minha sala como Ministra dos



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Direitos Humanos. E eu estou Presidente da Comissão dos Direitos Humanos, e a mesa não está pronta para ele, dez anos depois. E aí, gente?

Para a minha tristeza, eu estava conversando com a Lauda aqui, meu envolvimento com o mundo do nanismo: onde estão as crianças com nanismo, indígenas? Não esperem que eu responda isso para vocês. Não serei eu que vou responder, mas, para a minha tristeza, eu ouvi das mães de criança com nanismo que hoje os médicos, alguns médicos, quando têm o diagnóstico, recomendam o aborto de criança com nanismo no Brasil. Que loucura é essa? O primeiro direito que elas têm é o direito à vida, e a gente precisa lutar pelo direito à vida das crianças com nanismo no país.

Eu não entro na polêmica do aborto, como Presidente desta Comissão não vou entrar, porque nós temos aqui Senadores que pensam diferente, mas como imaginar o Brasil sem o Gabriel? Como imaginar a minha vida sem o Gabriel? Como imaginar a vida da família deles sem o Gabriel? Quando alguns médicos estão dizendo: "Aborte uma criança com nanismo!".

Por fim, Doutor, quando nós falamos de violência, eu me lembro de que, quando eu comecei a ser assessora, eu escrevi um projeto de lei para um Deputado... Havia aqueles programas de televisão ridículos no Brasil em que as pessoas com nanismo apanhavam, com chacota, piada... E eu entrei com um projeto de lei, que meu Deputado assinou. E aí veio um grupo: "Se vocês fizerem isso, eles não terão mais emprego". Eles se submetiam a tudo aquilo para ter emprego no Brasil!

E, para a minha tristeza, eu trago mais um dado aqui, absurdo – talvez eu vá chocar com o que eu vou falar aqui, mas eu não vou me omitir de falar. Eu tenho recebido denúncias de mulheres com nanismo que são chamadas para fazerem programas sexuais, porque elas têm baixa estatura e se assemelham a uma criança, e os pedófilos querem mulheres com nanismo. E muitas delas se submetem a isso por fome!

Gente, são tantas coisas delicadas que nós precisamos discutir! E o que eu estou falando aqui foram coisas que eu ouvi lá atrás, com o movimento Somos Todos Gigantes, mas nós vamos pegar esses caras todos e vamos transformar este país, de fato, em um país inclusivo, em que uma mulher com nanismo vai ser Senadora, vai ser Deputada, vai ser doutora! Nós vamos trabalhar, esta Comissão está trabalhando para isto: garantir o direito a todos.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Gabriel, obrigada por ter vindo.

Na sua fala, você comenta, mas o Doutor pediu, e eu não sou doida de proibir o Ministério Público de falar. (*Risos.*)

Na sequência, a gente já vai ouvir a Dra. Lauda e depois a Adriana. E aí a gente vai para o último orador, que é o Ministério da Saúde, e espero que ele tenha todas as respostas, pois nós estamos aqui hoje ansiosos para ouvir o Ministério da Saúde.

Dr. Claudio.

**O SR. CLAUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** (Para expor.) – Obrigado.

Eu peço desculpa pela intervenção, mas a senhora me deixou à mesa, e eu fiquei escutando tantos depoimentos importantes: a fala da nossa querida ali defendendo o filho, a do Gabriel, filho da Juliana, amiga da minha mulher, em Goiânia... E fico muito feliz em ver que Deus não escolhe os capacitados, Ele capacita os escolhidos. Isso é muito importante, porque ele tem papel fundamental na sociedade, um poder de transformação social muito grande no principal papel que deve ter que é o da atitude. A maior barreira que a pessoa com deficiência tem hoje, e sempre teve, é a atitudinal. Nós vivenciamos isso diariamente. E isso é uma questão de educação, de esclarecimento, de informação e também de denúncia para punir, pois quem não sabe aprender pelo amor, que seja pela dor. O papel do poder público é esse, e o papel da sociedade civil é justamente esclarecer ao poder público onde está a falha. Então, eu vejo a fala dessas duas pessoas queridas que trazem luz a um ponto importante que tem que ser debatido, colocando luzes, holofotes fortes para que a gente mude essa postura na sociedade para uma postura de respeito.

Obrigado, Excelência.

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

Na sequência, vamos ouvir Lauda Santos, Vice-Presidente da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras. Lauda.

**A SRA. LAUDA SANTOS** (Para expor.) – Bom dia, Senadora. Muito obrigada pelo convite.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Obrigada pela presença de todos vocês.

Antes de começar a minha fala, eu gostaria de fazer uma sugestão, Senadora, porque eu acho extremamente importante. Uma vez eu ousei sair candidata a Deputada e eu tive uma roda de conversa com mulheres com nanismo. E me surpreendeu muito a fala delas de não ter médicos especialistas, consultórios preparados para receber uma mulher com nanismo, não estão preparados para um parto de uma mulher com nanismo. E as dificuldades que elas enfrentavam nos caixas eletrônicos: muitas iam receber seus salários, as pessoas com estaturas ditas normais, porque não deixa de a gente ficar pensando nessa anormalidade, é muito complicado... E dessas mulheres, as pessoas que estavam atrás copiavam as senhas bancárias. Quando elas recebiam, eles corriam atrás, tomavam o dinheiro delas. Então, eram tantas as necessidades que essas mulheres passavam...

E há uma coisa que é preocupante: eu acho que no seu encaminhamento, Senadora, a gente deve pensar numa linha de cuidado mais apropriado para a mulher com nanismo – não só para o homem, mas para a mulher com nanismo. Conheci muitas delas que tiveram aborto por falta de ter um protocolo de cuidados. Então, acho que isso aí é extremamente importante.

Pode colocar a minha apresentação, por favor.

Estou começando aí, eu acho que essa foto é impactante: o nosso Senador Davi Alcolumbre. A gente está falando de doença rara lá na frente. Em uma das minhas falas, vocês vão entender o porquê de a foto dele estar na primeira, porque a gente precisa dessa sabatina, eu vou chegar lá e vocês vão entender a minha solicitação.

A próxima, por favor.

Para a gente falar das doenças raras, eu me senti assim, de certa forma, mexida, porque, para a gente falar das nossas conquistas nesses mais de dez anos de Portaria 199, que é de 2014, nós estamos com 11 anos falando de doenças raras. Então, vamos ver quais são as conquistas e os desafios que nós tivemos nesses poucos anos, né?

Vamos lá. A próxima, por favor.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Falando um pouquinho de mim, algumas pessoas que estão aqui na plateia e até mesmo de forma *online* conhecem um pouco do meu trabalho. Eu também fui uma mãe atípica – eu digo que eu fui, porque eu perdi a minha filha tem oito anos – e sou voluntária há 34 anos. Então, eu tenho um trabalho de referência aqui no Distrito Federal. Sempre fui uma mulher que gostei muito de desafios – eu acho que até por isso a minha fala é um pouco das conquistas e dos desafios.

Eu entrei na Amavi por acaso. Eu estava num outro segmento, eu estava num segmento de doença reumática. Fiz um trabalho digno de aplausos. Eu vou ser muito sincera, eu vou puxar os holofotes para mim, porque, quando eu deixei o segmento de doenças raras, a gente deixou incorporados no SUS cinco medicamentos biológicos para os tratamentos das doenças reumáticas e também saí com a entrada dos medicamentos biossimilares. Então, são conquistas que a gente vinha...

Quando a minha filha teve o diagnóstico, em 1992, não existia tratamento para a doença dela. Então, a gente tinha que importar, comprar os dólares, entregar para a Varig, um comissário de bordo comprava esse medicamento prescrito, trazia para o Brasil. Então, era uma troca, era uma confiança muito grande. Olha o que já se avançou de lá para cá, nesses 34 anos. Eu acho que foram grandes conquistas.

Estar na frente da Amavi, para mim, misturou um pouco a minha vida pessoal com a associação, porque as conquistas... Eu não precisava mais estar em nada disso. Eu já podia ter... Já sou uma mulher aposentada... Não fiz minha autodescrição, vou até falar: eu sou uma mulher branca, de cabelos loiros, uso óculos, estou hoje usando um vestido indiano, estampadinho, com marrom e preto. E nessa coisa toda, nessa andança desses 34 anos de militância para as doenças raras, não só pelas doenças raras, mas doenças reumáticas também... Aqui está você, Adriana, que tem espondilite anquilosante, e a gente já se conhece já de algum tempo, eu fui na inauguração do Instituto General Villas Bôas, enfim, a gente tem esse trabalho já de longo tempo mesmo.

Em 2018, a gente teve um desafio, porque nós não éramos unidos. Hoje eu vi a doutora falando que existem poucas associações para cuidar de tanta doença rara. Não, não existem poucas associações, existem muitas associações; o que não existe é a parceria dos hospitais e



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

dos médicos e o encaminhamento dos pacientes diagnosticados para uma associação de pacientes.

Eu fiz esse trabalho aqui no Distrito Federal em vários hospitais, eu só não consegui ter acesso, infelizmente, ao Hospital da Criança. Eles não deixam a gente entrar para distribuir folheto, para mostrar para eles que existe uma associação e que depois do diagnóstico esse paciente pode nos procurar, que ele vai ser muitíssimo bem recebido; de portas abertas, como a gente costuma falar. E a senhora foi conhecer o nosso Espaço Mundo Raro, onde a gente recebe todo e qualquer paciente raro e crônico. Se a gente não consegue acompanhar aquela patologia, a gente encaminha para a associação específica. Nós trabalhamos em rede exatamente por isso, para nos ajudarmos.

Graças a Deus, eu transito muitíssimo bem em todos os hospitais, em todas as frentes parlamentares, em todas as Comissões. Então, é um trabalho digno de reconhecimento pelo Governo. A gente ainda tem muito o que avançar, a gente tem política pública de Governo, a gente não tem política de Estado. Muda Governo, muda tudo, a gente retrocede, a gente ganha, a gente perde. Então, isso é uma... Eu falo que as doenças raras são uma eterna incógnita, uma interrogação o tempo inteiro, porque a gente não se acha pertencente em muitos lugares, em muitos ambientes não nos é permitida a entrada.

Em 2019, a gente fundou a Febrararas exatamente porque as associações de pacientes fazem esse acolhimento do paciente, do familiar, do cuidador, mas a gente tinha a necessidade de ter uma instituição maior, que pudesse batalhar pelas políticas públicas, implementar as políticas públicas, buscar as políticas públicas. Então, a federação foi fundada em 2019, e hoje nós temos mais de 90 associados de norte a sul do Brasil. Cada uma das associações federadas tem o seu CNPJ e o seu trabalho independente da federação. E nós demandamos à federação pela busca de políticas públicas.

E o Espaço Mundo Raro não foi diferente. A gente não tinha sede aqui em Brasília. Não só a Amavi, mas outras instituições também não tinham onde atender seus assistidos, então, nós nos juntamos e participamos de um edital para uso próprio do Governo. Hoje estamos no coração de Brasília, na 106/107 Sul, atrás do Cine Brasília. Já avançamos muito, hoje todos nos conhecem, a vizinhança toda, porque a gente não trabalha só para o paciente, a gente agrega



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

valores, e os valores para a gente são os nossos vizinhos, que estão sempre lá conosco, tomando um cafezinho, comendo um pão de queijo e discutindo política pública. Então, esse é o nosso Espaço Mundo Raro, que todos estão convidados a conhecer.

A próxima, por favor.

Por que a gente vai falar das doenças raras nesta audiência aqui, que é de direitos humanos? Por quê? Porque nós falamos de 13 milhões de doenças raras, 80% de ordem genética. A maioria das crianças triadas ou diagnosticadas vem com a incompatibilidade com a vida. A gente perde muitos pacientes, a gente demora muito a ter diagnóstico. A gente está falando ali, nesse eslaide, por exemplo, de quatro a dez anos, mas a gente conhece... Lá no Espaço Mundo Raro, por exemplo, chegam pacientes para a gente que levaram 25 anos para ter o diagnóstico. Que diagnóstico preciso é esse? Que diagnóstico precoce é esse, né, Jaqueline? Você também teve esse problema com o Isaac. Então, são essas as coisas que a gente precisa mudar. A gente tem que pensar nesse ecossistema de forma realmente integral.

Os avanços legislativos e institucionais têm ocorrido, mas os desafios permanecem. A gente não vai deixar... A especificidade das doenças raras tem que ter um outro olhar, e a gente precisa pensar isso de uma forma realmente integral.

Por favor, o próximo.

A triagem neonatal, eu tive o prazer de acompanhar isso de perto, porque a gente já vem de muito tempo, né, Dra. Teresinha? A gente veio lá da Câmara Legislativa, a gente começou a ampliar... O Distrito Federal já foi referência na triagem já há muito tempo, porque, quando ainda era Deputada... Ela já foi Senadora, aliás, Deputada, já virou Vice-Governadora. Então, assim, a gente vem ampliando de lá para cá essa triagem neonatal.

E o Hospital de Apoio está triando 62 doenças tratáveis. E por que é assim? A gente fala tratáveis, que é uma exigência do SUS, porque você só vai triar o que você consegue tratar, né? E é nessa linha que a gente está.

Infelizmente, como a Santusa falou mesmo, nós temos aí a lei de ampliação da triagem neonatal de forma escalonada, e o Ministério da Saúde até agora não avançou nesse escalonamento. Já se vão dois anos ou mais, e a gente ainda está patinando nessa triagem



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

neonatal de forma ampliada nos estados, que, na grande maioria, não conseguem triar o que a gente está triando. A gente está em 62, 12 doenças a mais do que consta na lei, né?

Então, essa meta de expandir em nível nacional é muito grande e é muito importante. Eu gostaria muito que o Ministério da Saúde tivesse realmente esse olhar da importância de triar. Não importa se tem ou não o tratamento, mas o pai ou a mãe que tem um filho com uma doença rara quer saber do que se trata, ele quer saber quais são as alternativas. Se não tem tratamento, o que eu posso fazer para melhorar a vida do meu filho? Então, a gente tem que ter esse olhar humanizado, gente. O SUS é humanizado. Por que a gente não vai ter esse olhar humanizado? Eu acho que os gestores, quem tem lá o poder da caneta, que está à frente do Ministério da Saúde, têm que mudar esse olhar.

O próximo, por favor.

Sobre a Febrararas, eu já falei um pouco, até me antecipei. A gente tem que pensar muito no maior poder de articulação nas políticas públicas para esse acesso, para esse diagnóstico, para esses tratamentos e ter esse olhar global com as pessoas com doenças raras. É muito importante para a gente.

Nós tivemos algumas conquistas; a mais recente foi a Deputada Rosangela Moro ter conseguido um assento na Conitec para que as associações de pacientes possam participar das discussões da Conitec. Isso é muito importante, porque é um avanço para a gente quando a associação que cuida do paciente... Claro, a gente tem o médico, que faz o diagnóstico; a gente não está fazendo o papel do médico, a gente não está fazendo o papel do prescritor, mas a gente tem tanto conhecimento quanto um familiar, porque a gente viu os primeiros cenários, a gente viu os primeiros sintomas. Quando a gente chegou até o médico para poder fechar o diagnóstico do nosso filho, a gente já teve toda essa observação.

Muitas mães são tratadas como loucas, as sábias, insanas que chegam. "Ah, você quer saber mais do que eu?" A gente escuta muito isso. A gente escuta que o descuidado é muito intenso, não é, gente? Eu acho que esse diálogo entre o médico, o paciente e a mãe do paciente tem que ser bem humanizado, bem acolhedor nessa oitiva, a gente tem que ter esse carinho.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Isso eu sinto muito, de verdade, lá no Hospital de Apoio. Eu, sempre que chego... A gente sabe que o sistema de regulação está aí para acolher esse paciente e tudo, mas a gente sabe o perrengue que é. São oito meses para você conseguir marcar uma consulta, são mais oito meses para você ter um diagnóstico; quando você leva o resultado do exame já está vencido, já tem que refazer. Então, é nessas coisas que a gente precisa ter esse entrosamento junto ao hospital.

Próximo, por favor.

Bom, nós temos a Febrararas. Ela tem representação no Conselho Nacional de Saúde, não a federação em si, mas a associação federada faz parte do Conselho Nacional de Saúde, e lá nós temos a voz que pode nos representar. Então, em toda demanda que tiver junto ao Conselho Nacional de Saúde, é procurar a associação representante da federação.

Temos o conselho... No Conade, nós temos o assento. Vem agora nova eleição para o triênio de 2025 a 2027, e a gente está concorrendo novamente à vaga, com o assento das pessoas com doenças raras e as suas deficiências.

Na Câmara de Saúde Suplementar também nós temos assento, também somos representados pela Febrararas.

E como é que a gente pode fazer isso? A gente tem que estar em todos os conselhos. Gente, quem dirige uma associação, quem está à frente de uma instituição, procure os seus conselhos estaduais, municipais, participem dos conselhos, o quanto vocês puderem. O quanto mais vocês puderem estar nesses órgãos que nos representam... É importante a nossa participação. A gente tem que ser pertencente a esse universo aí.

Próximo, por favor.

Eu já falei do nosso assento na Conitec. Eu acho que isso vai ser muito bom. A gente já vem falando, já tem tido a participação do paciente, a voz do paciente na Conitec; agora, tendo esse assento, pelo qual a instituição pode participar, eu sinto falta demais, na participação da Conitec, das sociedades médicas, porque eu acho que quando a gente está discutindo um tratamento, a incorporação de um tratamento para paciente raro, a sociedade médica deve e tem a obrigação de estar presente nessas reuniões da Conitec. Só assim a gente vai falar com o conhecimento científico, embasado pelo paciente, pelo usuário do tratamento.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A próxima, por favor.

E os nossos desafios? Vocês algum dia pararam para pensar quais são os desafios que a gente tem, no nosso dia a dia, em termos de doenças raras?

Vamos lá! O próximo, por favor.

Por que eu abri a minha fala com a foto do Exmo. Sr. Senador Davi Alcolumbre? Porque, desde o dia 16 de dezembro de 2024, o despacho da Presidência da República... Tem lá uma representante na Dicol, que é a Dra. Daniela Marreco Cerqueira. Ela foi nomeada... Aliás, ela está aguardando a sabatina para ocupar o cargo no término do mandato da Dra. Meiruze, com quem nós conseguimos tratar de registro de medicamentos para pessoas com doenças raras. O número do despacho dela é 1.618. O 1.619 é do Dr. Leandro Safatle, que virá a ser Diretor-Presidente com o término do mandato do Dr. Antônio Barra Torres. E o 1.620, do Diogo Penha Soares, que será Diretor também de mandato com o término do Dr. Alex, que pediu renúncia.

Então, nós temos que ter essas sabinas, Sr. Senador. Pelo amor de Deus, nos vejam, nos percebam nessa súplica que eu estou fazendo aqui em nome de 13 milhões de pacientes. Estou falando em nome de pessoas que precisam, que estão aguardando só a canetada e a publicação do registro do medicamento. Vou falar quais são eles – próximo, por favor.

Na Anvisa, o medicamento para MPS-II aguarda o registro desde 2020, gente. Eles falam que a RDC da Anvisa é célere para registro de medicamentos para doenças raras. A gente está aguardando para MPS-II, para epilepsia, para cistinose nefropática, para ataxia de Friedreich, para porfirias de que a gente precisa que atualizem a bula. Olhem isso! Gente, isso aí é para paciente que está cada dia pior, por quê? Porque não tem uma pessoa que possa ir lá, registrar o medicamento, solicitar essa incorporação do medicamento, entenderam? É muito difícil quando a gente está nessa busca, e a gente não tem a pessoa que está lá, que foi nomeada, mas não foi sabatinada. Então, Senador, por gentileza, olhe com muito carinho e convide a Anvisa, essas pessoas, os representantes dentro da Anvisa, para que sejam sabatinados.

E uma sugestão também: que nessa sabatina seja incluso como é o relacionamento entre a sociedade civil organizada e a Anvisa, porque é muito difícil a gente conseguir uma hora na Anvisa para que eles possam nos receber e a gente possa dialogar. Eu não estou falando aqui



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

em nome de indústria farmacêutica, eu estou falando em nome de pacientes. Esses pacientes todos que estão relacionados ali, que estão aguardando o registro de medicamentos, são pacientes assistidos pela Amavi e que também buscam essas respostas junto à Febrararas. E o que nós vamos dizer para esses pacientes? Por que essa morosidade de quatro anos? Tem campanhas na internet, no Instagram, em tempo integral. Para ataxia de Friedreich, por exemplo, o pessoal está desesperado, gente, e são jovens, são pessoas que poderiam estar contribuindo com o sistema, e não podem por quê? Porque a doença avança e a morosidade da Anvisa... Está lá, está na zona de conforto deles.

*(Soa a campanha.)*

**A SRA. LAUDA SANTOS** – Eu acho que eu estou encerrando, Senadora. É rapidinho.

A próxima, por favor.

A gente também tem que pensar nas PCDTs para os raros. NMO, por exemplo: a gente tem paciente que estava grávida, teve diagnóstico de NMO na gravidez e, por falta de tratamento, acabou perdendo o bebê e ficou cega. Então, a gente não está falando de uma doença qualquer, a gente está falando de doenças extremamente sérias. A gente precisa criar política pública para DOT (doença ocular da tireoide). A gente tem que registrar, na Conitec, tratamento para Alagille, que é tratamento à base da *Cannabis*, né? Quanto à acromegalia, teve uma consulta pública recente, e também a gente precisa acompanhar essa tramitação e essa atualização do PCDT.

O próximo, por favor – vou correr. *(Risos.)*

Quanto ao Judiciário, gente, vocês sabem o que a gente está passando aí pelo Judiciário afora, a gente não está podendo judicializar; então está toda uma dificuldade. Nós temos aí um projeto de lei da Deputada Rosângela Moro e do Senador Romário; então, a gente precisa acompanhar, a gente precisa que isso não pare no tempo e que avance. A gente precisa que se avance, para que a gente possa garantir o mínimo para o paciente com doença rara.

O próximo, por favor.

Reduzir a jornada do paciente é urgente, e a gente sabe que, para isso, a gente precisa contar com vocês, os melhores médicos, as melhores pessoas, que recebem os nossos pacientes.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Assim, já tem a... A Santusa falou com muita propriedade da jornada do paciente, deste percurso de onde é que eles estão, como é que eles estão sendo pesquisados. Então, isto é muito importante: a gente pensar nessa redução de jornada.

O próximo.

Incluir, gente, nos cursos de Medicina... A gente precisa ter um projeto de lei – viu, Senadora? – para que o Ministério da Educação inclua no curso de Medicina as doenças raras, porque a gente vai mudar bastante. A gente está fazendo um curso de especialização pela Uniesp, lá da Paraíba, que é Especialização em Doenças Raras. Então, acho que tem que reverberar, a gente tem que mudar essa nossa grade curricular no curso de Medicina.

O próximo, por favor.

Capacitação dos profissionais de saúde. A gente está falando de muita gente que não conhece e não sabe dos sinais e sintomas de doenças raras...

*(Soa a campainha.)*

**A SRA. LAUDA SANTOS** – ... e a gente precisa pensar nessa capacitação.

O próximo.

As políticas públicas devem sair do papel – chega de papel, como a Senadora falou. No papel tudo é lindo, o papel tudo aceita, mas realmente é efetivo? É factível? É realizável? O que a gente espera com isso? Haja papel!

Eu fui fazer um levantamento, e existem 951 projetos de leis para doenças raras. Vocês depois observem quais são esses projetos de leis e tentem fazer um estudo disso tudo, para vocês entenderem como é difícil.

O próximo, por favor.

O futuro das doenças raras no Brasil. O que a gente espera? A gente não é favorável à judicialização, a gente não é favorável a nada disso. Se todos nós nos unirmos e fizermos com que as políticas públicas realmente avancem, para que elas sejam realmente o que a gente espera e o que a gente quer... Eu sei que, como a Santusa fala, não é tudo para todo mundo, a



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

gente não tem tudo para todo mundo, mas o que a gente puder ter que a gente tenha com qualidade. Então, a gente tem que pensar na política pública de forma ampliada, de forma realmente possível de acontecer, sem onerar o sistema, mas que a gente tenha esse direito.

Essa sou eu.

Muitíssima obrigada pela oportunidade, Senadora.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Lauda. Parabéns pelo trabalho que vocês estão fazendo!

Na sequência, vamos ouvir Adriana Villas Bôas, mãe de uma criança com doença rara, filha de um raro, e ela também é rara. Seja bem-vinda, Adriana!

**A SRA. ADRIANA HAAS VILLAS BÔAS** (Para expor.) – Prezada Senadora Damares, Procurador Claudio Drewes José, demais membros aqui da mesa que me acompanham, senhoras e senhores, profissionais da saúde, da sociedade civil, famílias que vivem o dia a dia das doenças raras. Aqui faço referência à Sra. Jaqueline, que fez uma fala muito tocante. Também quero aqui ressaltar a equipe que está nesse *front*, há muito tempo, com a Senadora: a Tati, a Chris Zanzoni, a Marisa Romão, a Vivi, a Tati Alvarenga. Esse pessoal é apaixonado pela pauta, eu vi isso de perto.

Bom, foi com grande alegria que eu recebi esse convite para estar aqui mais uma vez, nas cadeiras da política, podendo falar sobre os raros. Depois de tantos discursos incríveis, o que me sobra é apenas talvez sintetizar alguns pontos importantes.

A pauta dos raros, como se sabe, luta contra o tempo e tem, a meu ver, três pilares de sustentação: família, esperança e fé. E eu não estou aqui para fazer um discurso religioso; é apenas uma constatação de que, quando se vive muitas vezes numa situação em que instituições, tanto públicas quanto privadas, não nos atendem, acaba que a gente perde pessoas que tanto amamos.

Nos anos em que estive à frente da Coordenação-Geral das Pessoas com Doenças Raras, no Ministério dos Direitos Humanos, eu pude ver um pouco da vivência desse lado da mesa. Muito alcançamos e inovamos, trazendo a pauta para outras temáticas, como os direitos



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

humanos, ciência e tecnologia, nas quais tivemos grandes parceiros, cidadania, infraestrutura, entre outros. Enfrentamos barreiras – e ainda desejo conseguir derrubá-las por completo –, barreiras, como todas que foram bem pontuadas aqui por todos vocês e pela Lauda, do desconhecimento, de leis rígidas que impedem o crescimento da política das doenças raras no Brasil; barreiras jurídicas, financeiras e dos próprios departamentos de saúde.

Nós tivemos alguns feitos na gestão da Senadora Damares no ministério, como ampliar a consciência do povo brasileiro sobre os raros, aumentando o conhecimento da população sobre esse público, através de incansáveis campanhas de conscientização, tornando assim possível encontrar novos diagnósticos. Nós incluímos os raros no Conade – foi um grande feito. Lutamos e promulgamos a Lei do Teste do Pezinho Ampliado no SUS, que, como todos colocaram aqui, infelizmente não está alcançando todas as cidades. É uma lei que foi feita para ser aplicada em fases, e as fases não estão se completando.

E a Lauda trouxe uma fala, que foi rápida, mas que eu captei porque foi muito importante, de que, independentemente de ter cura ou não, façam os diagnósticos. E tem um motivo de a Lauda estar falando isso.

Em tempos de covid, nós capacitamos os nossos canais de denúncias para que conhecessem todas as situações das crianças raras, das mulheres raras, dos indígenas raros. Nós tornamos acessíveis as cartilhas sobre covid, sobre pessoas com doenças raras e pessoas com deficiência.

Tentamos incluir a pauta dos raros na Reunião de Altas Autoridades em Direitos Humanos do Mercosul. Não foi aceita, porque eles entenderam que doenças raras não se tratava de direitos humanos. Mais uma vez, o Brasil saiu na frente: criamos o Comitê Interministerial de Doenças Raras.

Em nossas campanhas de doenças raras, de conscientização, nós buscávamos sempre mostrar o trabalho feito pelos próprios raros – livros, modas, camisa, exposições.

Eram os próprios raros que iam lá expor seus trabalhos.

Hoje, novamente, trago aqui a voz de muitas pessoas que vivem todos os dias realidades duras, silenciosas e, muitas vezes, invisibilizadas.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Falo como alguém que, há 22 anos, tem uma doença progressiva degenerativa – espondilite anquilosante –, além das minhas dores crônicas, que estão limitando meus movimentos, minha rotina e minha liberdade e afetando até mesmo a minha memória, por exaustão, porque eu não durmo direito há 22 anos. E é por isso que eu sempre apelo a recursos de leitura para não me perder nas falas, porque até a atenção é afetada.

E deixo um ponto importante: nós precisamos começar a falar sobre as deficiências invisíveis.

Além disso, sou filha de um homem raro, diagnosticado com esclerose lateral amiotrófica, o General Villas Bôas; sou tia de um menino com Síndrome de Morsier, o Rafa, e de outro com AME, o Tiago.

Tenho caminhado com algumas famílias lado a lado que enfrentam essa barreira diariamente.

Por isso, aqui, eu posso afirmar, com um pouco de convicção, que uma das angústias que os raros atravessam, além da sua busca pelo tratamento e pela cura, é a insegurança jurídica que vivemos nesse país, a ausência de garantias efetivas que protejam os direitos das pessoas com doenças raras no Brasil.

Hoje, no Brasil, às vezes, a única saída para muitas famílias é a Justiça, em especial para os ultrarraros, conceito que o Anthony sempre nos trazia. É um a cada 50 mil, salvo engano.

No entanto, com alguns impasses que tivemos ano passado com o STF, os raros foram surpreendidos com a possibilidade de implementação de regras rígidas para que possam ajuizar ações e terem seus pedidos de tratamentos considerados. Ocorre que regrear demais o raro é desconsiderar o próprio conceito, isto é, baixa estatística populacional.

Também nos deparamos com portarias que, apesar de publicadas, não são aplicadas por falta de regulamentação de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas, como aconteceu com o medicamento Zolgensma, que, em 2022, foi inserido ao SUS, mas só, quase três anos depois, foi regulamentado para ser fornecido para famílias com bebês com AME com até seis meses de idade. Ocorre que, ainda assim, as crianças com mais de seis meses não terão direito. Para algumas, já não há mais tempo para passar pelo tratamento.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O direito à saúde está garantido na Constituição Federal. Na prática, porém, esse direito se torna uma loteria quando se trata de pessoas com doenças raras. Algumas famílias conseguem na Justiça; outras, não.

A depender de quem julga, do município, do Estado, da interpretação, da lei, os pacientes recebem decisão diferente em cada situação.

O caminho judicial é desgastante. Enquanto processos se arrastam nos tribunais, muitas pessoas perdem a luta contra a doença por falta do acesso ao tratamento.

Outras famílias, então, se endividam para conseguir custear esses medicamentos e nem sempre conseguem redução dos seus impostos.

O que estamos defendendo aqui, hoje, não são privilégios, é apenas um direito básico que é o direito à vida, à dignidade, à saúde e ao respeito.

É por isso que se faz urgente a criação de uma lei de política nacional de atenção a pessoas com doenças raras como bem colocou a Dra. Santusa, uma legislação clara e objetiva que estabeleça direitos fundamentais para os pacientes e suas famílias, evitando que cada caso precise ser discutido nos tribunais, como também já foi colocado aqui.

Minha fala é curtinha mesmo, por isso eu quero agradecer, mais uma vez, esse convite dessa equipe de que muito me orgulha ter feito parte, Senadora Damares, que era a Ministra mais bonita do Brasil e que acolheu essa pauta que, até então, era exclusividade da saúde. E, agora, a gente pode debatê-la em tantos outros âmbitos.

Muito obrigada.

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

A Lauda trouxe, no início da fala dela, direitos para as mulheres com nanismo grávidas.

A Adriana engravidou enquanto estava Coordenadora Nacional dos Direitos da Pessoa Rara. E, claro, a orientação era: abortel!



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Ela ia sofrer muito, ela gritava de dor 24 horas durante a gravidez, sem os atendimentos que merecia, porque não se tinha protocolo no caso dela. E ela teve uma filha linda.

Então, gravidez da mulher com doenças raras: nós vamos ter que falar sobre isso.

Quando terminar esta audiência, hoje à tarde, nós vamos ter o primeiro debate nesta Comissão sobre endometriose. Em pleno 2025, nós ainda estamos tão longe com uma doença que alcança milhões de mulheres.

Imagine a mulher rara e a ultrarrara grávidas.

Adriana, obrigada por sua participação.

Eu só quero informar aos senhores que a Comissão já fez o primeiro encaminhamento. A primeira indicação já está pronta para o Ministério de Direitos Humanos. Já estão ali elaborando a segunda e a terceira. Esta é uma Comissão que trabalha, e todos os encaminhamentos terão uma resposta e todas as perguntas que estão chegando também.

Eu vou pedir permissão para a gente responder essas perguntas por *e-mail* por conta do nosso horário.

Nosso último orador mudou. Seria o Dr. Arthur. Agora, eu estou sendo informada de quem vai participar é o Dr. Natan Monsores, Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde.

Doutor, seja bem-vindo, nosso último orador.

Nós já vamos para o encerramento com ela, que pediu a fala, com mais dois minutinhos, depois da fala do Dr. Natan.

Dr. Natan, seja bem-vindo.

**O SR. NATAN MONSORES** (*Por videoconferência.*) – Boa tarde, Senadora. A senhora me escuta bem?

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Sim, Dr. Natan, escutamos.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. NATAN MONSORES** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Maravilha. Muito obrigado pelo retorno.

Em primeiro lugar, dou meu boa-tarde a todos os que compõem a mesa. Cumprimento os presentes por intermédio da Senadora Damares.

Quero fazer alguns aportes em relação aos temas que a gente tratou aqui e as ações que o Ministério da Saúde tem endereçado no sentido de apoiar as demandas, enfim, a causa das pessoas que vivem com doenças raras no Brasil.

A Adriana me antecedeu, a Lauda me antecedeu. Enfim, são militantes e pessoas aguerridas na causa, nesta luta por direitos e acesso à saúde.

Enfim, quero só trazer um pequeno retrato, Senadora. Antes até me coloco à disposição de todos para questionamentos, perguntas e tudo aquilo que essa Casa achar que o Ministério da Saúde deva trazer à luz.

Então, só esclarecendo, a Coordenação-Geral de Doenças Raras, dentro do Ministério da Saúde, foi criada no início do Governo e, desde então, a gente tem tentado, num processo de escuta qualificada, ouvindo as associações – inúmeras vezes recebemos no Ministério da Saúde a Lauda, que está aí presente, a equipe relacionada à Febrararas, como já foi citado –, manter essa escuta ativa. E, desde o início da coordenação, através de um diagnóstico de situação, começamos a trabalhar numa série de ações para tentar mitigar as questões – resolver é uma palavra muito forte para esse quadro de demandas e solicitações.

Mas, desde a criação da coordenação, o Ministério da Saúde tem aportado um volume bastante grande de iniciativas dentro do setor de doenças raras. Hoje, já são 91 medicamentos endereçados para as diferentes condições raras e, a todo instante, novas terapias estão em análise, algumas são incorporadas, outras não são. Essa é até uma questão para ser tratada nessa Casa, a questão de direcionamento de recursos para essas novas terapias.

Já são R\$4,5 bilhões investidos no pagamento dessas terapias, no desembolso para essas terapias. Neste íterim também, 16 novas tecnologias foram incorporadas, enfim, os esforços do Ministério da Saúde têm tentado atender as diferentes demandas da comunidade que vive com doenças raras. Obviamente, a gente está falando de um cenário de 5 mil até 10 mil condições



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

diferentes e para boa parte delas a gente não tem ainda terapias desenvolvidas pelo setor produtivo, pelo setor industrial ou ainda estão em pesquisa pela comunidade científica. Então, não há medicamentos para todas as condições, não há tratamentos medicamentosos disponíveis para todas as condições, mas a gente pode acolher essas pessoas, a gente pode, dentro do Sistema Único de Saúde, dar o devido atendimento a essas pessoas.

Então, trazendo mais alguns números, de 2022 até 2024, nós saltamos de 30 mil atendimentos dentro da rede SUS a pessoas com doenças raras para cerca de 60 mil atendimentos. Então, nós dobramos a capacidade do Sistema Único de Saúde em atender as pessoas. Fomos de 23 serviços de referência em doenças raras para 36 serviços em 2024 e há mais quatro ou cinco em habilitação neste momento.

Havia uma demanda enorme da comunidade sobre disponibilidade de exames. Então, neste ano foi investido, desde o ano passado a gente fez o planejamento orçamentário, mas neste ano nós instituímos dois grandes serviços para que os testes moleculares – mormente o sequenciamento de nova geração, comumente conhecido pelas pessoas como painel genético ou exoma – possam ser feitos dentro do Sistema Único de Saúde.

Então, nós não tínhamos dentro do Ministério da Saúde um órgão para endereçar as questões, foi criada também uma câmara técnica para lidar com o tema hoje. Há uma portaria que já, já deve estar publicizada, que é a da triagem neonatal, e posso trazer notícias. Hoje mesmo, pela manhã, tivemos uma excelente reunião técnica, na qual a questão do cronograma, da expansão da triagem neonatal foi tratada e a gente espera em breve ter um anúncio bem positivo em relação a esse tema.

Por fim, para não me estender muito, Senadora, havia uma demanda enorme também das pessoas com doenças raras em relação a serviços para infundir medicamentos. Essa portaria foi construída no ano passado e já, já sai o anúncio.

E, para terminar a minha breve fala aqui, já me colocando à disposição de todos, havia uma forte demanda, que foi citada há pouco pela Adriana também, sobre o acesso aos Zolgensma. Então, o Ministro Padilha fez a assinatura do Acordo de Compartilhamento de Risco. Nós, neste momento, estamos terminando a organização dos serviços que vão fazer infusão – são 28 serviços identificados no Brasil – e, em breve, a partir das próximas semanas, o



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Zolgensma se encontrará à disposição das crianças com AME. Lembro que, para além do Zolgensma, há duas outras medicações disponíveis dentro do Sistema Único de Saúde para as crianças com AME.

Enfim, para finalizar, eu só queria me colocar à disposição. A Coordenação de Doenças Raras não está parada, não está imobilizada nesses dois anos. A gente acolheu essa série de proposições, inclusive proposições dessa Casa. Permanecemos abertos ao diálogo, à oitiva.

Enfim, e tudo aquilo que nos foi endereçado nós temos tentado tratar com a maior diligência possível, com o maior empenho possível. Obviamente, há questões que passam pelo Ministério da Saúde também, mas que não estão diretamente sob minha responsabilidade, como é a questão da judicialização que acontece para alguns medicamentos. Mas, de novo, para os medicamentos que estão sendo judicializados, para aquelas tecnologias que a gente tem identificado como prioritárias para comunidades raras, nós temos travado uma série de debates internos sobre as melhores soluções para que a comunidade tenha acesso.

A gente sabe que, na cabeça, na vida das pessoas que vivem com doenças raras, o relógio corre diferente, os tempos são outros. E a gente está tentando fazer, de uma maneira diligente, esse movimento interno, mobilizando as áreas de incorporação de tecnologias, mobilizando a área orçamentária também do Ministério da Saúde. O gabinete do Ministro Padilha rapidamente se envolveu também com o tema. Enfim, a gente não está omissa e nem parada nessa Coordenação de Raras, no sentido de atender àquilo que nos aprovou dentro da estrutura do Ministério da Saúde.

Coloco-me à disposição, Senadora, para qualquer esclarecimento – a hora já tarda aí. Enfim, não queria deixar aqui de marcar essa presença, a presença da coordenação, e dizer para a população brasileira que a gente está aberto para ouvir, para trabalhar junto e tentar endereçar as melhores soluções possíveis para toda a população.

Agradeço novamente pela oportunidade de falar.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dr. Natan, quero agradecer-lo. Muito obrigada por ter participado. A presença do Ministério da



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Saúde neste debate é importante, mas, já que o senhor se colocou à disposição, eu vou abusar – vou abusar do senhor.

Dr. Natan, nós temos mães que vieram de outros estados e estão aqui, oradores que vieram de outros estados, até de outro país. Então, a gente gostaria muito – eu sei que vocês estão em fase de mudança; novo Ministro, nova gestão, novos coordenadores – que a coordenação participasse sempre presencialmente com a gente. As famílias só querem tocar em vocês. Vocês serão tratados com todo o respeito nesta Comissão.

Apesar de eu ser uma Senadora de oposição, eu trato todos os agentes do Estado e do Governo com todo o respeito que merecem. Então, estar presente com a gente, designar um técnico da coordenação para vir aos debates... Não precisa ser o senhor. Eu sei que, como Coordenador-Geral, tem muitas, muitas demandas, mas é necessário ter um técnico nos acompanhando nesse ciclo. Por quê, Dr. Natan? É aqui que as decisões acontecem, é aqui que se faz o Orçamento da União e, sem dinheiro, o senhor não tem coordenação. Eu quero muito estar parceira da coordenação para a gente lutar por recursos para vocês, para a gente buscar essas 951 propostas de lei que caminham aqui dentro. De repente, nós vamos aprovar um projeto de lei que vai inviabilizar o seu trabalho lá na ponta. Então, ter a coordenação sentada com a gente nesse ciclo de debate é mais do que necessário – é mais do que necessário.

Dr. Natan, obrigada por sua participação. Nós vamos avisar com antecedência as próximas audiências. Tem esse problema também, porque, às vezes, a gente anuncia muito em cima e você já tem agenda, mas eu fico contente de que o senhor tenha se colocado à disposição e colocado a coordenação à disposição. Dê um abraço no Secretário, um abraço no Ministro, e obrigada pela participação.

Nós estamos indo para o final desta audiência, com muitos encaminhamentos. Esta mesa vai ser rebaixada, acredite. Arquitetura do Senado, nós já temos o espaço para as cadeiras de roda, mas as nossas bancadas não estão rebaixadas para pessoas com baixa estatura. E quem sabe não vai ser esta mesa a primeira e você vai sentar aqui sem o seu pé estar solto aí?

**O SR. GABRIEL YAMIN** (Para expor.) – Vou só falar uma coisa rapidinho. Às vezes, não precisa nem disso tudo; às vezes, não precisa nem rebaixar; às vezes, é uma almofada aqui nas costas e um banquinho para apoiar o pé e está ótimo. São coisas simples.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ouviu, Arquitetura?

**O SR. GABRIEL YAMIN** – É tudo adaptável e, às vezes, a gente não pensa, nessa correria, mas é coisa simples.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Vejam só quantos detalhes.

Dra. Teresinha, eu posso falar com a senhora depois ou a senhora faz questão de usar, por dois minutos, a palavra ainda?

**A SRA. MARIA TERESINHA DE OLIVEIRA CARDOSO** (*Fora do microfone.*) – Eu queria usar da palavra.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Só dois minutos – pode ser? – para a gente ir para o encaminhamento?

Pode usar a bancada aí.

**A SRA. MARIA TERESINHA DE OLIVEIRA CARDOSO** (*Fora do microfone.*) – Posso falar?

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

**A SRA. MARIA TERESINHA DE OLIVEIRA CARDOSO** (Para expor.) – Inclusive, é para deixar a Dra. Santusa mais feliz. Eu também sou uma ativista eterna do SUS.

Já temos uma pesquisa em andamento – você sabe disso, mas eu quero que todo mundo e a Senadora saibam também – da Sociedade Brasileira de Genética, em parceria com o Ministério da Saúde e o CNPq, e eu sou a representante da Regional Centro-Oeste nesse processo. De 2020 para cá, estão sendo mapeadas todas as doenças raras nos 31 centros de referência, de que até o Dr. Natan falou. E isso vai municiar o Ministério da Saúde quanto ao Atlas de Doenças Raras, à incidência de doenças raras e, inclusive, à jornada do paciente, com os valores econômicos de cada doença. É até 2025. Eu não sei se vai prorrogar, mas, desde 2020, nós estamos fazendo esse mapeamento. Então, já vamos ter dados no final de 2025, embora já tenham saído várias publicações com dados parciais.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

É só para deixar que já tem alguma coisa sobre doença rara no Brasil. Está bom?

Obrigada.

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

Quero agradecer a presença de todos.

Nós temos crianças que ficaram aqui até agora; às mães, obrigada.

A Diretora do Hospital da Criança quer dar a última palavra?

**A SRA. VALDENIZE TIZIANI** (Para expor.) – Sim. Obrigada, Senadora.

Eu apenas gostaria de dizer que quem quiser conhecer, visitar o Hospital da Criança, inclusive a Sra. Lauda, de quem eu nunca recebi nenhuma solicitação, o nosso contato é: [diretoria.executiva@hcb.org.br](mailto:diretoria.executiva@hcb.org.br). Estamos inteiramente à disposição.

Muito obrigada.

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

Dr. Claudio, obrigado por ter ficado comigo até este momento. É muito bom ter o Ministério Público como amigo.

**O SR. CLAUDIO DREWES JOSÉ DE SIQUEIRA** – Obrigado à senhora, Excelência.

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

Eu agradeço a presença de todos no primeiro debate desse ciclo. Nós vamos continuar este debate e nós queremos não só fazer o debate, mas trazer respostas.

Andréa, mais uma vez obrigada por estar com a gente. Muito obrigada.

E, daqui a pouco, a gente vai começar uma outra audiência, um outro debate, mais que urgente, mais que necessário.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nada mais tendo a tratar, declaro encerrada esta sessão.

*(Iniciada às 10 horas e 11 minutos, a reunião é encerrada às 13 horas e 12 minutos.)*