



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE

Requer que sejam prestadas, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, informações sobre o tratamento da síndrome de Alagille no Sistema Único de Saúde (SUS).

Senhor Presidente,

Requeiro, nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal e do art. 216 do Regimento Interno do Senado Federal, que sejam prestadas, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, informações sobre o tratamento da síndrome de Alagille no Sistema Único de Saúde (SUS).

Nesses termos, requisita-se:

1. Quantos casos diagnosticados da síndrome de Alagille foram notificados no Brasil nos últimos dez anos? Há estimativa oficial da prevalência dessa doença no País?
2. O SUS dispõe de centros de referência para o diagnóstico, tratamento e acompanhamento de pacientes com essa enfermidade? Onde se situam?
3. Existem equipes multidisciplinares especializadas (com hepatologistas, cardiologistas, geneticistas, nutricionistas e psicólogos) disponíveis na rede pública para o atendimento integral aos pacientes com



síndrome de Alagille? Quantas dessas equipes estão atualmente em funcionamento no Brasil?

4. Quais são os tratamentos medicamentosos e não medicamentosos oferecidos pelo SUS para o tratamento da síndrome de Alagille?

5. Existem medicamentos para o tratamento de pessoas com a síndrome de Alagille em análise para incorporação no SUS? Em caso afirmativo, quais são eles, e em que estágio de avaliação se encontram?

6. A síndrome de Alagille está contemplada em alguma estratégia nacional de cuidado das doenças raras? Em caso afirmativo, de que forma ela foi incorporada às políticas públicas vigentes?

7. Quais tipos de apoio são oferecidos às famílias de pessoas com síndrome de Alagille, especialmente no que tange ao aconselhamento genético e apoio psicossocial?

8. Há algum sistema de registro nacional de pessoas com doenças raras que inclua os casos de síndrome de Alagille?

JUSTIFICAÇÃO

A síndrome de Alagille é uma doença genética rara caracterizada por alterações no fígado, coração e outros órgãos. A principal característica é a hipoplasia (redução) dos ductos biliares intra-hepáticos, que afeta a drenagem da bile no fígado e pode levar à acumulação de bile e danos hepáticos, provocando icterícia prolongada, urina escura e fezes claras nos primeiros anos de vida. A síndrome aparece em um a cada 70.000 bebês e afeta ambos os sexos e pode afetar vários órgãos, incluindo coração, olhos, rins e ossos.

Os sintomas costumam surgir nos primeiros dois anos de vida e podem variar entre as pessoas, destacando-se prurido intenso e altamente



debilitante. Podendo incluir problemas de visão, disfunções de crescimento e de desenvolvimento cognitivo, xantomas (lesões cutâneas) formação frequente de coágulos, propensão a fraturas e problemas renais. Esses sintomas afetam o bem-estar físico e emocional das crianças, que demonstram falta de sono, irritabilidade, dificuldade de concentração e baixa sociabilidade. A síndrome de Alagille também impacta as famílias e os cuidadores, sendo associada a aumento de estresse emocional, dificuldades econômicas e exaustão física devido à necessidade de cuidados permanentes com a criança.

O diagnóstico envolve avaliação médica, com anamnese e exame físico, além de exames laboratoriais (como a dosagem de bilirrubinas e dos ácidos biliares no sangue), de imagem (como a ressonância nuclear magnética do abdome) e, em alguns casos, de anatomopatologia (como a biópsia do fígado).

O tratamento é individualizado, baseado na idade, nas condições gerais de saúde, na gravidade dos sintomas e na resposta a terapias instituídas. O manejo visa principalmente a aumentar o fluxo da bile para fora do fígado e a aliviar sintomas como a coceira intensa, além de corrigir deficiências nutricionais com suplementação de vitaminas lipossolúveis e alimentação hipercalórica. Desde janeiro de 2025, tratamentos capazes de mudar o curso natural da síndrome de Alagille possuem aprovação regulatória no Brasil: inibidores do transporte ileal de ácidos biliares (IBATs), uma classe de medicamentos que bloqueiam a reabsorção de ácidos biliares no íleo distal do intestino delgado, resultando em um aumento na excreção de ácidos biliares e reduzindo o prurido colestático, principal causa de transplantes pediátricos de fígado, com efeito de longo prazo.

A prevenção da síndrome de Alagille em futuras gerações está diretamente relacionada à identificação dos riscos hereditários. Para tanto, a testagem e o aconselhamento genéticos constituem ferramentas fundamentais, permitindo que as famílias compreendam o risco de recorrência da doença e tomem decisões informadas acerca do planejamento familiar. Ademais, o acompanhamento médico regular mostra-se imprescindível para o ajuste das



terapias e para a garantia da melhor qualidade de vida possível aos indivíduos acometidos.

A presente iniciativa busca assegurar a efetividade, a segurança e a equidade na atenção à saúde das pessoas com a síndrome de Alagille no âmbito do SUS. Entendemos que a formulação de diretrizes específicas contribuirá para a padronização das condutas, contemplando as particularidades dessa enfermidade e as necessidades dos pacientes.

Sala das Sessões, 29 de outubro de 2025.

Senadora Mara Gabrilli
(PSD - SP)

