



INDICAÇÃO Nº , DE 2024

Sugere ao Ministro de Estado da Saúde que avalie a pertinência da incorporação da leucodistrofia metacromática, da doença de Krabbe e de outras leucodistrofias no rol de indicações de transplante de células-tronco hematopoiéticas do Sistema Nacional de Transplantes.

Sugerimos ao Poder Executivo Federal, por intermédio do Senhor Ministro de Estado da Saúde, com amparo no art. 224, inciso I, do Regimento Interno do Senado Federal (RISF), que avalie a pertinência da incorporação da leucodistrofia metacromática, da doença de Krabbe e de outras leucodistrofias no rol de indicações de transplante de células-tronco hematopoiéticas do Sistema Nacional de Transplantes e que dê encaminhamento à proposta conforme o disposto na legislação que rege a matéria.

JUSTIFICAÇÃO

As leucodistrofias correspondem a um grupo de desordens de origem genética que comprometem a substância branca do sistema nervoso central. Alterações neuropsiquiátricas, déficits motores e incoordenação são os sintomas mais comuns. Já foram descritas mais de uma centena delas.¹

Por sua vez, a doença de Krabbe é uma condição neurodegenerativa, em que a falta de enzimas envolvidas na decomposição de gorduras afeta a bainha de mielina dos neurônios (células do sistema nervoso), atingindo o sistema nervoso central e periférico, causando problemas motores,

¹ NÓBREGA, Paulo Ribeiro. **Leucodistrofias de início na vida adulta: caracterização clínica, molecular e de neuroimagem** 2023. 171 f. Tese (Doutorado em Ciências Médicas) - Faculdade de Medicina, Universidade Federal do Ceará, Fortaleza, 2023. Disponível em: <http://www.repositorio.ufc.br/handle/riufc/73388>. Acesso em: 25 mar. 2024.



paralisia, deficiência intelectual, perda de visão e convulsões. Não há cura, mas o transplante de medula óssea pode trazer benefícios em determinados casos.²

Os tratamentos com melhor resposta para a doença de Krabbe são restritos a pacientes com a forma infantil da doença e assintomáticos, são eles:³

- Transplante de células-tronco hematopoiéticas. Tem resultados mais eficazes quando realizado antes do aparecimento de sintomas e ajuda a estabilizar ou retardar a sua progressão, principalmente aqueles relacionados às questões cognitivas e motoras.
- Transfusão de células-tronco do cordão umbilical. Os maiores benefícios ocorrem em pacientes assintomáticos.

Já a leucodistrofia metacromática é uma doença rara, degenerativa, hereditária, causada pela atividade deficiente da enzima arilsulfatase, o que causa degradação de uma série de lipídeos sulfatados que constituem a bainha de mielina dos neurônios. Não tem cura, tem curso progressivo e a deterioração do sistema nervoso coincide com a regressão clínica e perda das habilidades funcionais e cognitiva.⁴

O transplante de células tronco hematopoiéticas (TCTH) é o único tratamento disponível para o envolvimento neurológico dessa condição. Bons desfechos foram obtidos quando o TCTH foi realizado antes da vida adulta, cedo no curso clínico ou a partir de um doador relacionado.⁵

² HOSPITAL ISRAELITA ALBERT EINSTEIN. Guia de doenças e sintomas. **Doença de Krabbe**. Disponível em: <https://www.einstein.br/doencas-sintomas/doenca-de-krabbe>. Acesso em: 25 mar. 2024.

³ JAIN, M.; DE JESUS, O. **Krabbe Disease**. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing, jan. 2020. Online. Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK562315/>. Acesso em: 25 mar. 2024.

⁴ RIBEIRO, E. de Q.; RIBEIRO, M. F. M. Leucodistrofia Metacromática: Relato de Caso de Dois Irmãos Consanguíneos. **Revista Neurociências**, [S. l.], v. 21, n. 4, p. 580–586, 2013. Disponível em: <https://periodicos.unifesp.br/index.php/neurociencias/article/view/8152>. Acesso em: 25 mar. 2024.

⁵ SAUTE, J. A. M. *et al.* Neurological outcomes after hematopoietic stem cell transplantation for cerebral X-linked adrenoleukodystrophy, late onset metachromatic leukodystrophy and Hurler syndrome. **Arquivos de Neuro-Psiquiatria**, v. 74, n. 12, p. 953–966, dez. 2016.



Ante o exposto, sugerimos à Senhora Ministra de Estado da Saúde que avalie, à luz das evidências científicas mais atuais, a possibilidade da incorporação da leucodistrofia metacromática, da doença de Krabbe e de outras leucodistrofias no rol de indicações de transplante de células-tronco hematopoiéticas, no âmbito do Sistema Nacional de Transplantes.

Sala das Sessões,

Senadora MARA GABRILLI

