



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE

Requer que sejam prestadas, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Padilha, informações acerca da política pública, fluxos assistenciais, avaliação de tecnologias em saúde e medidas adotadas no âmbito do SUS para o atendimento de pacientes diagnosticados com Leucodistrofia Metacromática (LDM), especialmente crianças.

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, Alexandre Padilha, informações acerca da política pública, fluxos assistenciais, avaliação de tecnologias em saúde e medidas adotadas no âmbito do SUS para o atendimento de pacientes diagnosticados com Leucodistrofia Metacromática (LDM), especialmente crianças.

Nesses termos, requisita-se:

1. O Ministério da Saúde possui levantamento oficial sobre o número estimado de pacientes diagnosticados com Leucodistrofia Metacromática (LDM) no Brasil, com recorte etário e distribuição regional? Em caso positivo, encaminhar os dados disponíveis.



2. Existe fluxo assistencial formalizado no SUS para atendimento de pacientes com LDM, especialmente crianças? Em caso afirmativo, detalhar os serviços de referência, níveis de atenção envolvidos e responsabilidades federativas.
3. Há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) específico para LDM ou previsão de sua elaboração? Caso negativo, justificar tecnicamente a ausência.
4. Quais ações vêm sendo adotadas para garantir o diagnóstico precoce, inclusive acesso a exames genéticos, no âmbito do SUS?
5. A CONITEC já analisou, está analisando ou pretende analisar tecnologias específicas voltadas ao tratamento da LDM, inclusive terapias avançadas ou gênicas? Informar o status de eventuais processos, estudos preliminares ou demandas recebidas.
6. O Ministério da Saúde avalia a ampliação de políticas de triagem neonatal ou estratégias de rastreio para doenças raras neurodegenerativas como a LDM? Em caso positivo, em que fase se encontram tais estudos.
7. Quais medidas têm sido adotadas para assegurar cuidado integral, multiprofissional e paliativo, inclusive suporte às famílias e cuidadores, para crianças com LDM no SUS?
8. Existe cooperação técnica internacional, grupos de trabalho ou iniciativas interministeriais voltadas ao acompanhamento científico e tecnológico da LDM? Em caso afirmativo, detalhar.

JUSTIFICAÇÃO

A Leucodistrofia Metacromática (LDM) é uma doença genética rara, neurodegenerativa, progressiva e de elevada letalidade, que afeta predominantemente crianças, ocasionando perda acelerada de funções motoras,



cognitivas e respiratórias, impondo sofrimento extremo aos pacientes e às suas famílias.

Meu mandato tem recebido, de forma reiterada e crescente, pedidos de apoio de famílias de crianças diagnosticadas com LDM, oriundas de diferentes unidades da Federação, relatando dificuldades severas de acesso ao diagnóstico precoce, inexistência de protocolos clínicos específicos, ausência de fluxos assistenciais definidos no SUS e limitações no cuidado integral e contínuo.

Tais relatos revelam fragilidades estruturais da política pública voltada às doenças raras, especialmente no que se refere às enfermidades neurodegenerativas pediátricas, que exigem resposta estatal coordenada, tempestiva e baseada em evidências científicas, sob pena de violação aos princípios da dignidade da pessoa humana, da integralidade da atenção à saúde e da prioridade absoluta conferida às crianças e adolescentes.

Ressalte-se que, embora existam terapias avançadas em avaliação ou uso em outros países, observa-se ausência de informações públicas claras quanto à atuação do Ministério da Saúde e da CONITEC no acompanhamento tecnológico, na análise de custo-efetividade, na organização do cuidado e na definição de estratégias nacionais para essa condição específica.

Diante da relevância do tema, do impacto direto sobre a vida de crianças e famílias brasileiras e do expressivo volume de demandas que chegam a este Parlamento, faz-se imprescindível o esclarecimento formal por parte do Ministério da Saúde.

Sala das Sessões, 9 de fevereiro de 2026.

Senadora Damares Alves

