



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE - CAS

Senhor Presidente,

Requeiro, nos termos do art. 58, § 2º, II, da Constituição Federal e do art. 93, II, do Regimento Interno do Senado Federal, a realização de audiência pública, com o objetivo de debater a situação das crianças diagnosticadas com Leucodistrofia Metacromática (LDM), Adrenoleucodistrofia Ligada ao X (ALD/X-ALD) e outras leucodistrofias raras no Brasil, os desafios relacionados ao diagnóstico precoce, ao acesso ao tratamento e à estruturação da política pública de doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

Proponho para a audiência a presença dos seguintes convidados:

- representante Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (SAES), Coordenação-Geral de Doenças Raras/Ministério da Saúde;
- representante Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS/CONITEC - Ministério da Saúde;
- representante Academia Brasileira de Neurologia – ABN;
- representante Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica – SBGM;
- representante Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras – FEBRARARAS;
- representante Associação de Leucodistrofia Metacromática - LDM Brasil;
- o Senhor Tony Hunter, fundador da Casa Hunter e referência nacional na defesa dos direitos das pessoas com doenças raras;



- a Senhora Milena dos Santos Nogueira, mãe do paciente Miguel, portador de Leucodistrofia Metacromática.

JUSTIFICAÇÃO

A Leucodistrofia Metacromática (LDM) é uma doença genética rara, neurodegenerativa, progressiva e de elevada gravidade clínica, que afeta principalmente crianças, comprometendo funções motoras, cognitivas, respiratórias e neurológicas, com profundo impacto sobre os pacientes e suas famílias.

Da mesma forma, a Adrenoleucodistrofia Ligada ao X (ALD/X-ALD) constitui enfermidade genética rara e grave, caracterizada pela degeneração progressiva da substância branca do sistema nervoso central e comprometimento das glândulas adrenais, podendo provocar perda acelerada de funções neurológicas e severa redução da qualidade de vida dos pacientes. Assim como ocorre na Leucodistrofia Metacromática, o diagnóstico precoce representa fator decisivo para o prognóstico clínico e para o acesso oportuno às alternativas terapêuticas existentes.

São crescentes os relatos e pedidos de apoio de famílias de diferentes regiões do país que convivem com o diagnóstico dessas enfermidades e de outras leucodistrofias raras, especialmente em crianças em estágio de rápida progressão clínica, apontando dificuldades relacionadas ao diagnóstico precoce, acesso a exames genéticos, organização da rede assistencial e ausência de fluxos específicos estruturados no âmbito do SUS.

Embora exista política pública geral voltada às doenças raras, ainda permanecem lacunas relevantes quanto à estruturação de resposta específica para doenças neurodegenerativas pediátricas de rápida evolução, especialmente aquelas em que o diagnóstico precoce pode impactar diretamente o prognóstico clínico e o potencial acesso a terapias avançadas.



Além disso, os desafios observados na LDM refletem realidade compartilhada por outras leucodistrofias raras, especialmente a Adrenoleucodistrofia Ligada ao X, demonstrando a necessidade de uma abordagem mais ampla e integrada para o enfrentamento dessas enfermidades no âmbito do Sistema Único de Saúde. O debate conjunto permitirá identificar obstáculos comuns relacionados ao diagnóstico, à assistência especializada, à produção de evidências científicas, à incorporação tecnológica e ao acompanhamento multidisciplinar dos pacientes.

A audiência pública permitirá compreender os desafios assistenciais enfrentados pelas famílias, debater a organização da política pública para doenças raras neurodegenerativas, avaliar os entraves relacionados ao diagnóstico e à incorporação tecnológica e contribuir para o fortalecimento institucional da atenção integral às crianças acometidas por Leucodistrofia Metacromática, Adrenoleucodistrofia Ligada ao X e demais leucodistrofias raras no Brasil.

Sala da Comissão, 8 de junho de 2026.

Senadora Damares Alves

