

# O que não tem preço

Na terceira reportagem da série "Longevidade para todos?", a luta dos portadores de doenças genéticas para obter, muitas vezes na Justiça, os medicamentos que podem lhes garantir mais qualidade de vida

POR FLÁVIA DUARTE

Quanto vale a vida de uma pessoa? Quem ousaria tentar responder essa pergunta que já soa ofensiva por insinuar tamanho absurdo — há dinheiro que pague o direito de viver? Mesmo que não restem dúvidas sobre tal questão, muitos pacientes que convivem com doenças genéticas, especialmente as mais raras, são obrigados a provar, com frequência, o merecimento de usufruir a vida. Precisam se unir em associações e contar com o poder da Justiça para receber medicamentos; implorar para que a burocracia não emperre os trâmites legais e seguros de pesquisas que surgem como promessa de anos mais saudáveis e mais longevos.

Alguns deles enfrentam a dificuldade de serem vistos pelos milionários laboratórios como alvos de estudos. Se pudessem ser ouvidos, certamente diriam: "Vocês precisam investir milhões em pesquisas e medicamentos para beneficiar um grupo pequeno de pessoas, portadoras de doenças raras, é verdade. Mas nesse pequeno universo, me incluo, e minha vida certamente vale mais do que os muitos dólares gastos para me dar a chance de ganhar mais um dia vivo".

Na realidade que envolve dificuldades de desvendar o funcionamento do corpo, dinheiro finito e expectativas de vida limitadas, surgem guerreiros que lutam bravamente pela saúde. Eduardo Próspero, 22 anos, há nove se submeteu a um tratamento inovador, de uma enzima que pode controlar a progressão da doença rara que sofre, a mucopolissacaridose. O estudante Patrick Dorneles, 14, tem uma variação da mesma doença e até mês passado nada podia ser feito. Recentemente, ele foi escolhido para participar de testes em Porto Alegre com uma enzima que poderá salvar sua vida. Outros sofrem de males que não têm cura, mas têm tratamento. Para conseguir a medicação, no entanto, precisam da Justiça. A lei garantiu há dois anos a qualidade de vida da dona de casa Isonaide

Rodrigues de Sousa, 46, que sofre da incurável doença de Fabry e suas dores tão características.

Ela e Dudu conseguiram pela Justiça o direito aos remédios. Patrick lutou por algo ainda mais distante: a chance de ver aprovada uma pesquisa que pudesse mudar seu destino. Os três conseguiram. Mas nem todos têm a mesma sorte. "Muitos pacientes nem sequer sabem que têm a doença e que podem conseguir os medicamentos pela judicialização", lamenta Wanderlei Cento Fante, fundador presidente da Associação Brasileira de Pacientes Portadores da Doença de Fabry e seus Familiares, que tem cadastrados 180 pacientes em todo país.

A doença da Isonaide provoca a incapacidade do organismo de decompor uma substância de nome complicado, a globotriaosilceramida, também chamada de Gb3. Ela está presente em muitas células do corpo, especialmente nas membranas dos glóbulos vermelhos e, se não é decomposta, por falta de uma enzima, se acumula em órgãos importantes, como rins e coração, e pode obstruir vasos sanguíneos. O risco é impedir o bom funcionamento dos sistemas vitais do corpo ou de comprometer o coração. Na melhor das hipóteses, provoca dores inexplicáveis.

A pessoa nasce com a doença, mas os sintomas podem se manifestar na idade adulta. Isonaide não sabia mais o que fazer para se livrar do tormento que deixava as pernas e as juntas latejantes. A dor de cabeça também não dava sossego. A pressão, de repente, começou a subir. "Tinha dias que nem queria levantar da cama. As pessoas achavam que era frescura. Com o diagnóstico, ficou tudo explicado", comenta, aliviada.

Ela só encontrou a explicação de tantos males depois que um tio foi diagnosticado, em Teresina, com a doença de Fabry. Por ter origem genética, a médica recomendou que toda a família fosse avaliada. Isonaide, suas irmãs e sua filha também portavam o gene defeituoso. A briga passou a ser, então, pelo medicamento.

**CORREIO  
BRAZILIENSE**

Brasília, domingo,  
25 de março  
de 2012

8 e 9







Carlos Vieira/CB/D.A. Press

Isonaide Rodrigues, 46 anos, conseguiu na Justiça tratamento para a doença de Fabry

Ele existe, mas não está incluído na lista dos distribuídos pelo SUS. Para conseguir, é preciso pedi-lo ao juiz, mediante a apresentação de muitos laudos que confirmem a doença. Há dois anos, ela obteve o direito de se tratar e, periodicamente, deve renovar seu cadastro para garantir a droga que atenua os sintomas da doença.

Ela não é a única. Muitos pacientes de doenças genéticas enfrentam a judicialização do tratamento. Isso porque grande parte dos medicamentos é importada e cara demais. Para serem distribuídos pelo governo, precisam de análise anterior. O Ministério da Saúde avalia o custo e o benefício da droga e decide se o investimento de fato fará diferença na vida dessas pessoas. O remédio precisa ser comprovadamente eficiente e aprovado pela Anvisa. Não pode ser novidade e não ter todos os riscos controlados. E o mais importante: “De nada adianta incluir mais medicamentos se não há uma rede de atenção para cuidar e acompanhar esse paciente”, reconheceu o ministro da saúde, Alexandre Padilha, durante o seminário do Dia Mundial de Doenças Raras, em 29 de fevereiro.

Além disso, muitos são importados, e por isso pesam no orçamento. Alguns são chamados medicações órfãs, as únicas existentes para doenças específicas. “Não queremos continuar importando medicamentos. A ideia é incorporar tecnologia no Brasil para que eles sejam produzidos no país”, afirmou o ministro, durante o mesmo evento.

## Uma questão protocolar

Para ampliar a abrangência da medicação, o Ministério precisa elaborar regras claras quanto à indicação e à forma de usar as drogas que podem salvar vidas. São os chamados protocolos clínicos. “Um grupo de especialistas se reúne para analisar a literatura e avaliar o impacto e a metodologia do uso dos novos medicamentos”, explica José Eduardo Fogolin, coordenador-geral de Média e Alta Complexidade do Ministério da Saúde. O cuidado é compreensível, difícil é acalmar a dor e a angústia de quem precisa da droga para sobreviver.

Atualmente, existem 26 Protocolos Clínicos e de Diretrizes Terapêuticas de doenças Raras e Genéticas no SUS. Uma conquista muito recente, ao se considerar que 18 deles foram aprovados nos últimos dois anos, incluindo a oferta de 45 medicamentos, tratamentos cirúrgicos e clínicos, que aumentam a qualidade de vida dessas pessoas.

“Mas esse número de protocolos representa apenas 0,13% da realidade de doenças genéticas que existem”, critica, enfático, o geneticista Salmo Raskin, diretor do Centro de Aconselhamento e Laboratório Genética, em Curitiba. Para algumas patologias, nem sequer há medicamentos, de fato, mas a briga é pelo atendimento, ao menos. “A Sociedade Brasileira de Genética Médica (SBGM) propõe um atendimento integral de genética clínica no SUS, que envolva principalmente o aconselhamento genético, feito por uma equipe multidisciplinar, e exames complementares que permitam o diagnóstico”, acrescenta o médico. “Nós sabemos que os recursos são finitos, mas enquanto não existir uma política que regulamente as ações nessa área, a realidade não vai mudar”, acrescenta Francis Galera, presidente da SBGM.

Enquanto isso não acontece, os pacientes das demais doenças entram na fila de espera para terem sua enfermidade protocolada. Este ano, o Ministério da Saúde estuda a incorporação no SUS de medicamentos para outras quatro patologias: a doença de Fabry, a mucopolissacaridose, a doença de Pompe e a homocistinúria (veja quadro na página 11). Os protocolos clínicos estão em fase de elaboração. Quando estiverem prontos, Isonaide e Eduardo Próspero poderão ter acesso ao tratamento sem precisar do parecer de um juiz.

Em 2011, foram quase 13 mil ações judiciais que pediam medicamentos, a maioria para tomar por toda a vida, ao Ministério da Saúde. Ao todo, foram gastos R\$ 243,9 milhões para comprar essas drogas, um valor 142 mil vezes maior do que em 2003. Isso porque os pacientes conhecem mais os seus direitos e a ciência encontrou novas formas de tratar gente que padecia dos males dos genes. “Quando os pacientes descobrem a doença, eles querem ter acesso ao melhor tratamento. Mas quanto mais raro, mais caro é. Só que a vida tem preço? Há medicamentos aprovados pela Anvisa há mais de cinco anos, como é o caso da mucopolissacaridose, que não têm protocolo”, lamenta Maria Cecília Jorge Branco Martiniano, da Associação de Familiares, Amigos e Portadores de Doenças Graves (Afag).

O governo reconhece que, entre os medicamentos fornecidos por demanda judicial, estão “os que não têm registro da Anvisa (e, portanto, eficácia e segurança comprovadas) ou não têm protocolo clínico ou já estão disponíveis no SUS. Neste último caso, por desinformação do paciente ou do próprio juiz, os medicamentos são requeridos por meio de ação judicial quando poderiam ser obtidos em unidades da rede pública de saúde”, esclarece em material encaminhado à *Revista*. O resultado é o Estado onerado e o paciente desgastado. Alguns, até desinformados sobre seus direitos, pagam com a própria vida ou com o desconforto de viver. ►





**CORREIO  
BRAZILIENSE**

Brasília, domingo,  
25 de março de 2012

**10 e 11**

Arquivo Pessoal



Dudu, 22 anos, portador de mucopolissacaridose, com a família: acesso ao medicamento reduziu os problemas causados pela doença

## A vida em fase de testes

O tempo de espera até que a Justiça obrigue o governo a fornecer um determinado medicamento pode chegar a seis meses. Tempo demais para quem convive com a incerteza do amanhã. Pior ainda para quem sofre de males que ainda nem tem paliativos ou drogas controladoras. Esses aguardam com ainda mais ansiedade os avanços da ciência.

Progressos que podem mudar destinos e finais previstos como infelizes. Quando Eduardo Próspero nasceu, há 22 anos, a sorte dos portadores da mucopolissacaridose (MPS) era viver apenas os primeiros anos da infância. Essa doença genética causa o acúmulo de substâncias, os glicosaminoglicanos (GAG), nos tecidos. O problema é provocado pela falta de uma enzima. A consequência é o comprometimento de células, órgãos e tecidos. “É uma doença sistêmica, o paciente pode ter aumento do perímetro encefálico, do volume abdominal, otites de repetição, complicações respiratórias, comprometimento do desenvolvimento cognitivo e intelectual. Além disso, as características faciais vão se modificando”, lista Denize Bonfim, neurologista pós-graduada

**SE A LESÃO NO  
CORAÇÃO NÃO FOR  
DE AMOR, O HOSPITAL  
BRASÍLIA TEM O MELHOR  
TRATAMENTO.**





em neurogenética, algumas consequências da doença.

Ao todo, as MPS se apresentam em nove tipos e seis subtipos. Embora todos manifestem a falta de uma enzima, há algumas variações específicas da doença. Dessas, apenas as MPS do tipo 1, 2 e 6 têm tratamento, feito à base de infusões semanais das enzimas. Dudu tem a MPS 1 e já usufrui da medicação que reestabelece o funcionamento das enzimas e evita a progressão da doença, que leva, aos poucos, à deficiência respiratória, à cegueira e à paralisia dos movimentos.

Dudu teve um irmão que viveu seis anos. Ele próprio quase não aguenta as complicações da doença. Felicidade foi quando em 2001 chegou a possibilidade de tratamento em Porto Alegre, em projeto coordenado pelo geneticista Roberto Giugliani, professor do Departamento de Genética da Universidade Federal do Rio Grande do Sul (UFRGS).

“A gente tinha medo de submetê-lo a um tratamento ainda em teste, mas não tínhamos opção. Ele não ia aguentar mais um ano vivo”, lembra-se Regina Próspero, mãe de Dudu e hoje presidente da Associação Paulista dos Familiares e Amigos dos Portadores de Mucopolissacaridoses. Em poucos meses de reposição enzimática, ele apresentou melhoras. As infecções pulmonares reduziram, aos poucos o menino melhorou os movimentos e recuperou a audição. Tristeza foi o medicamento não ter chegado antes de Eduardo ter perdido a visão.

Ao menos, ele ganhou o direito de viver. Comemora 22 anos, chance que seu irmão não teve. Está concluindo o curso de direito, trabalha e tem muitos amigos. Faz acompanhamento periódico com cardiologistas, oftalmologistas e pneumologistas para monitorar o agravamento da doença. Lamenta apenas o preconceito e o desconhecimento dos outros. “As pessoas nos olham com curiosidade, é normal. Mas a inclusão ainda é algo novo”, comenta.

Depois dele, outros pacientes de MPS 1 foram tratados. Nos anos seguintes, chegou o tratamento para a MPS 6 e a MPS 2. Os pacientes vivem mais e melhor. Em Brasília, o tratamento dessas patologias começou em 2005, no HUB. Hoje, oito pacientes recebem a reposição enzimática no Hospital Regional da Asa Sul (Hras). Semanalmente, vão ao hospital para se submeterem à infusão das enzimas que trabalham pelas que nasceram defeituosas. “O primeiro paciente, nós tratamos em 2001, quando ainda nem tínhamos aprovado o protocolo clínico do medicamento. Mas, pelos resultados que conhecíamos, arriscamos, e hoje o menino está bem”, conta Denize Bonfim, uma das pioneiras desse tratamento na capital. ➡

## A caminho, os próximos protocolos

Saiba como anda o processo de inclusão pelo SUS dos medicamentos para doenças genéticas mais procurados por via judicial.

### DOENÇA DE GAUCHER

Os mais de 600 pacientes diagnosticados com a doença no Brasil têm acesso gratuito a medicamentos pelo Sistema Único de Saúde. O Ministério da Saúde investiu R\$ 135,3 milhões na compra dos remédios em 2011. O protocolo publicado no ano passado, além da imiglucerase e o miglustate (já oferecidos anteriormente), inclui novas drogas que chegaram recentemente ao mercado: Velaglucerase e Taliglucerase.

### DOENÇA DE FABRY

O Ministério já trabalha na elaboração de protocolo clínico para essa doença. Também está em estudo a inclusão dos seguintes medicamentos para Terapia de Reposição Enzimática: Fabrazyme e Replagal. O Ministério gastou, em 2010, R\$ 9,55 milhões na oferta desses produtos via judicial.

### MUCOPOLISSACARIDOSE

O Ministério já trabalha na elaboração de protocolo clínico para essa doença. E está em estudo a inclusão dos seguintes medicamentos no SUS: Aldurazyme e Elapraxe. O Ministério da Saúde gastou R\$ 58,18 milhões na oferta desses produtos via judicial. Neste momento, esses trabalhos encontram-se em fase de busca por evidências científicas da eficácia e custo/efetividade do tratamento para a conclusão do Protocolo Clínico e de Diretrizes Terapêuticas. Quanto ao medicamento Naglasyme (Galsufase), está registrado na Anvisa, é usado como terapia de substituição enzimática, que permite restabelecer o nível de atividade enzimática do doente.

### DOENÇA DE POMPE

O Ministério da Saúde está trabalhando na elaboração do protocolo clínico para essa doença. Está em estudo a inclusão do seguinte medicamento no SUS: Myozyme. O Ministério gastou R\$ 6,02 milhões na oferta desse produto via judicial. Atualmente, propõe-se o tratamento da doença de Pompe por terapia de reposição enzimática (TRE) com a alfa-glicosidase recombinante humana, já aprovada pelas agências regulatórias europeia (European Medicines Agency) e estadunidense (Food and Drug Administration). Porém, ainda são necessários estudos para avaliação da eficácia e segurança em longo prazo, além de estudos de efetividade e de custo/efetividade.

Fonte: Ministério da Saúde



O tempo para atendimento aos pacientes que sofrem problemas no coração faz toda diferença. Por isso é preciso ir ao lugar certo, na hora certa. O **Hospital Brasília** possui a cadeia completa de profissionais, disponíveis 24 horas por dia. Com atendimento especializado e ágil é possível reverter as consequências.



@hospbrasil  
hospitalbrasil.com.br  
tel: 61 3704.9000



LEIA NA PRÓXIMA SEMANA:

Na quarta e última reportagem da série "Longevidade para todos?" conheça a difícil rotina de quem convive com um diagnóstico de doença rara e sem cura. A única alternativa nesses casos é buscar cuidados paliativos.



**CORREIO  
BRAZILIENSE**

Brasília, domingo,  
25 de março de 2012

Arquivo Pessoal



"Agradeço todos os dias a Deus pela minha vida e não reclamo. E tem tanta gente que não quer sair de casa porque o cabelo está assanhado ou amanheceu com uma espinha no rosto..."

**Patrick Dorneles,**  
14 anos, portador de  
mucopolissacaridose

## É preciso pesquisar

Para que novos tratamentos sejam desenvolvidos e mais pacientes beneficiados com as descobertas, é preciso investir em pesquisas. No Brasil, quase não há incentivo para tentar desvendar os misteriosos erros do DNA. Por aqui, há a determinação de que todas as pesquisas envolvendo humanos sejam aprovadas pelo sistema CEP/Conep (Comitê de Ética e Comissão Nacional de Ética em Pesquisa), ligado ao Conselho Nacional de Saúde, do Ministério da Saúde. Um grupo de profissionais integra essas comissões, que analisam a ética e a segurança de tais estudos e dão parecer sobre os riscos de cada pesquisa. Se envolve medicamentos e produtos de saúde, o estudo precisa ser aprovado pela Anvisa também.

Esses trâmites levam tempo demais. "Em várias situações, esse processo é moroso e emite pareceres nem sempre tecnicamente razoáveis. Que controle é esse que demora um ano para aprovar uma pesquisa e, enquanto isso, deixa um paciente morrer?", critica Greyce Lousana, presidente executiva da Sociedade Brasileira de Profissionais em Pesquisa Clínica (SBPPC). O ministério se

defende. Garante que mudanças foram adotadas. E cita, entre outras coisas, um investimento de R\$ 10 milhões no sistema CEP/Conep em 2012; o número de conselheiros passou de 15 para 30 titulares e cinco suplentes; além de ter sido criada a Plataforma Brasil, no ano passado. "Uma ferramenta que dá maior transparência ao trabalho da Conep e deve acelerar o processo de aprovação de testes com novos medicamentos envolvendo seres humanos", diz documento do ministério.

Em alguns casos, o desgaste para ter uma chance de ser tratado é grande. Aos 14 anos, Patrick Dorneles emana energia e alegria. Foi o desejo de viver e ajudar os outros que o fez sair de João Pessoa, onde mora, e vir para Brasília tentar convencer o governo a aprovar a pesquisa em fase 2, que testa medicamentos em seres humanos. Essa seria a única chance de controlar o mal genético que carrega. Ele é portador da mucopolissacaridose do tipo 4A, que ainda não pode ser controlado pelas injeções de enzimas. Cerca de 112 pessoas no Brasil sofrem do mesmo mal.

Patrick participou de palestras, visitou gabinetes, sensibilizou políticos. A esperança chega agora, com a aprovação da pesquisa feita pela Rede MPS Brasil, coordenada pelo Serviço de Genética Médica do Hospital das Clínicas de Porto Alegre, em parceria com um laboratório da Califórnia. Eles escolheram 22 pacientes brasileiros para aplicar uma nova droga, que pode fazer

com que Patrick esbanje sua alegria por muitos anos. "A pesquisa ficou emperrada no Brasil por quase um ano", lamenta o médico Roberto Giugliani, à frente do estudo inovador.

Patrick embarcou para o Sul, receberá a medicação e será monitorado por seis meses. "A expectativa é que o tratamento interrompa a progressão da doença", crê Giugliani. Com ele, o garoto levou alguns amigos. "Não aceitaria se eles não fossem incluídos no teste, não aguento mais vê-los morrer."

O menino tem 1,07m e pesa 30kg. A limitação do desenvolvimento do corpo é consequência da MPS. O caminhar está cada vez mais comprometido. Também enxerga mal, mas... "agradeço todos os dias a Deus pela minha vida e não reclamo. E tem tanta gente que não quer sair de casa porque o cabelo está assanhado ou amanheceu com uma espinha no rosto..."

Quando nasceu, os pais receberam a notícia de que o menino poderia "morrer com 3, 7 ou 10 anos", lembra-se o pai, Everto Dorneles. Patrick vai ao cinema e ao boliche com os amigos. Faz teatro na escola, sonha em ser designer ou ator. "Só não namoro porque elas não me querem", brinca. Seu maior sonho é que o organismo responda ao tratamento e o permita viver mais ou, no mínimo, com mais conforto e menos limitações. "Quero ver os outros melhorando também. Todos nós temos uma missão na vida e creio que a minha é levar o bem ao próximo." ■