

INSTITUTO VIDAS RARAS



INSTITUTO
Vidas Raras

Audiência Pública Medicamentos para Doenças Raras Abril 2018

Slide 1

AS1

Aurea Sá; 09/08/2017

O Instituto

A Associação Paulista dos Familiares e Amigos dos Portadores de Mucopolissacaridoses (APMPS) e Doenças Raras, agora sob o nome de **INSTITUTO VIDAS RARAS**, é uma organização não governamental, sem fins lucrativos, e de atuação nacional. Fundada em 2001 com sede na Cidade de Guarulhos, a organização é norteadora por 4 pilares:

- ✓ Ética
- ✓ Honestidade
- ✓ Transparência
- ✓ Comprometimento

Trajetória

2002

- Início dos nossos trabalhos para incluir nossos assistidos de MPS em pesquisas clínicas.

2003

Começa nossos trabalhos em *Advocacy* em Brasília:

- Parceria com outras ONGs para troca de experiências.
- Lançamento do site www.apmps.org.br.
- 1º Encontro Nacional de MPS.
- Início da primeira pesquisa clínica para MPS no Brasil.





Missão, visão e valores



MISSÃO

Conhecer e mapear as dificuldades enfrentadas pelas pessoas acometidas por uma Doença Rara, para que possam buscar soluções, além de orientar e conscientizar a sociedade, governo e classe médica sobre este tema.



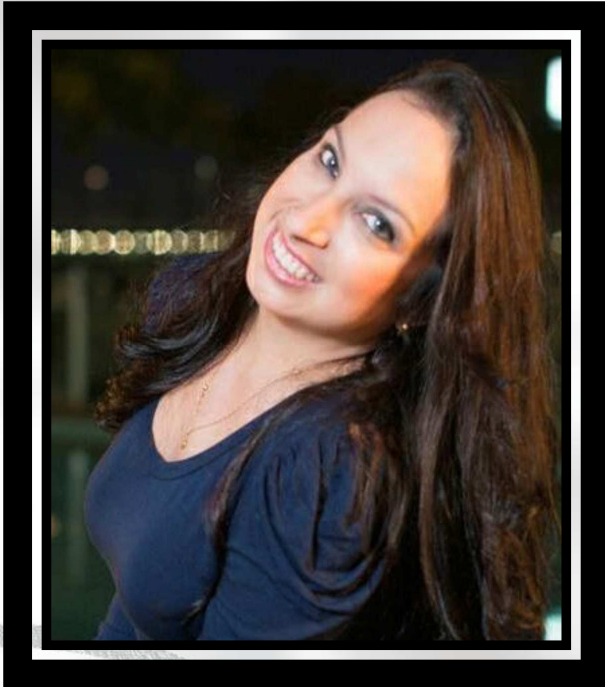
VISÃO

A intervenção precoce é capaz de mudar a história natural das pessoas acometidas por um mal raro.



VALORES

Somos regidos por quatro pilares: Ética, Honestidade, Transparência e Comprometimento



A média de sobrevivência é de 11 anos, sendo a causa de morte geralmente por obstrução das vias aéreas superiores, insuficiência cardíaca ou infecções do trato respiratório.

MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO I (MPS I)

Síndrome de Hurler e Síndrome de Scheie

É uma doença metabólica rara de origem genética (deleção do gene 4p16.3) caracterizada pela falta da enzima α -L-iduronidase resultando em acúmulo de longas moléculas de açúcar chamadas originalmente de mucopolissacarídeos (atualmente mais conhecidas como glicosaminoglicanos ou GAGs).

Início dos sintomas ocorre entre os primeiros meses e oitavo ano de vida que se agravam a cada ano e incluem:

- Opacidade da córnea;
- Problemas de audição;
- menor crescimento;
- Problemas cardíacos;
- Problemas articulares, incluindo rigidez;
- Atraso intelectual;
- Hepatoesplenomegalia;
- Traços faciais característicos com ponte nasal baixa, testa protuberante, dentes separados e língua grossa (gargolismo);
- Deformidades ósseas principalmente na coluna vertebral, crânio e mãos.



A média de sobrevivência é de 11 anos, sendo a causa de morte geralmente por obstrução das vias aéreas superiores, insuficiência cardíaca ou infecções do trato respiratório.

MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO II (MPS II)

Síndrome de Hunter

É uma doença metabólica rara de origem genética caracterizada pela falta da enzima Iduronato Sulfatase resultando em acúmulo de longas moléculas de açúcar chamadas originalmente de mucopolissacarídeos (atualmente mais conhecidas como glicosaminoglicanos ou GAGs).

Início dos sintomas ocorre entre os primeiros meses e oitavo ano de vida que se agravam a cada ano e incluem:

- Opacidade da córnea;
- Problemas de audição;
- Menor crescimento;
- Problemas cardíacos;
- Problemas articulares, incluindo rigidez;
- Atraso intelectual;
- Hepatoesplenomegalia;
- Traços faciais característicos com ponte nasal baixa, testa protuberante, dentes separados e língua grossa (gargolismo);
- Deformidades ósseas principalmente na coluna vertebral, crânio e mãos.



DOENÇA DE POMPE

A doença de Pompe é um distúrbio neuromuscular hereditário raro que causa fraqueza muscular progressiva em pessoas de todas as idades. Parte da família de doenças hereditárias conhecida como distúrbios de depósito lisossômico, a doença de Pompe é causada por um gene defeituoso que leva à deficiência de uma enzima chamada alfa-glicosidase ácida (GAA)

Sintomas:

Fraqueza muscular progressiva que pode afetar a movimentação, respiração e, em crianças, a função cardíaca.



www.vidasraras.org.br /
facebook.com/vidasraras

Doença de Fabry

Na Doença de Fabry, o corpo não produz **alfa-GAL** suficiente para romper a GL-3 e esta se acumula nos lisossomos celulares. Com o tempo, o excesso desse acúmulo pode causar danos nos tecidos de todo o corpo.

Alguns dos sintomas mais comuns da doença de Fabry incluem:

- Dor e ardência nas mãos e nos pés;
- Fadiga;
- Comprometimento da transpiração;
- Erupções cutâneas vermelho-escuras (angioqueratomas);
- Anormalidades oculares (como verticilos córneos) que tipicamente não afetam a visão;
- Distúrbios gastrointestinais;
- Problemas cardíacos;
- Problemas renais;
- Problemas do sistema nervoso, como fraqueza, enxaqueca, dormência, tontura ou ataque;
- Problemas auditivos



HPN e SHUa

A **HPN** é uma doença rara das células-tronco, caracterizada por uma anemia hemolítica, ou seja, quando a medula óssea não é capaz de repor os glóbulos vermelhos que estão sendo destruídos.

Trata-se de uma doença adquirida, ou seja, não presente no momento do nascimento, e pode atingir pessoas em qualquer faixa etária.

A **Síndrome Hemolítico-Urêmica Atípica** (SHUa) é uma doença rara, grave, sistêmica e fatal, com uma evolução negativa. A SHUa afeta crianças e adultos e está associada à microangiopatia trombótica (MAT). A MAT resulta da formação de coágulos em pequenos vasos sanguíneos ao longo de todo o corpo que podem levar a complicações sistêmicas em vários órgãos.

Os brasileiros 'desenganados por médicos' e que vivem e trabalham com doenças raras

Mario Bittencourt - @mariobtjor

De Vitória da Conquista (BA) para a BBC Brasil

🕒 20 abril 2017



Roberto Guedes (no alto à esq.), Luis Eduardo Próspero, Bárbara Nascimento e Marianna Gomes: representantes de grupo estimado em 13 milhões de pessoas apenas no Brasil

JUDICIALIZAÇÃO

Ministério da Saúde mobilizou órgãos de controle, Justiça, representantes de pacientes e parlamentares para garantir abastecimento de medicamentos para doenças raras

- ✔ Aquisições em fase final, segundo a Lei 8.666/93
- ✔ Distribuidoras vencedoras tiveram licenças de importação negadas pela Anvisa
- ✔ Liminar concedida na última semana pelo TRF 1ª aponta que a medida contraria a lei de licitações



Fonte: Ministério da Saúde

Distribuidoras que apresentaram menor preço entram na Justiça para garantir o direito de entrega dos medicamentos ao Ministério da Saúde

FABRAZYM

MYOSYOME

ALDURAZYM

Global Gestão em Saúde apresentou preço menor do que Sanofi Genzyme, detentora do registro no Brasil



Economia chega a
R\$ 400 mil



para atender
303 pacientes

SOLIRIS

Tuttopharma apresentou preço menor que a Multicare, detentora do registro no Brasil



Economia chega a
R\$ 4,6 milhões



para atender
296 pacientes

Fonte: Ministério da Saúde

Regra da Anvisa desconsidera a excepcionalidade das decisões judiciais

**Empresas devem atender a todos
os requisitos técnicos que
asseguram a qualidade do produto:**


Identidade, eficácia e segurança,
prazo regular de validade e
cumprimento de normas para
transporte e armazenagem




RDC Nº 81, DE 05 DE NOVEMBRO DE 2008
Ministério da Saúde - MS
ANVISA - Agência Nacional de
Vigilância Sanitária
RESOLUÇÃO DE DIRETORIA COLEGIADA

NOSSAS CONTRIBUIÇÕES

APLICATIVO
VIDAS RARAS



Um aplicativo do Instituto Vidas Raras 

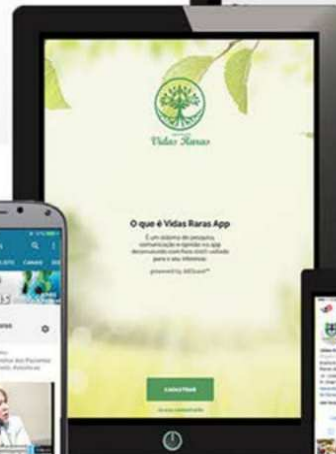
Desenvolvido por **allQuest**



Linha Rara
Linha direta com os raros
0800 006 7868



“Com doenças raras assim, descobrir o que se tem é o primeiro desafio.”



 www.vidasraras.org.br

 [@vidasraras](https://www.instagram.com/vidasraras)

 [/vidasraras](https://www.youtube.com/vidasraras)

 [fb/vidasraras](https://www.facebook.com/vidasraras)

 [@vidasraras](https://www.twitter.com/vidasraras)


 [Vidas Raras](#)

Atuação em rede

Temos um histórico de participação no Legislativo, lutando em rede pelo atendimento dos direitos das pessoas que vivem com doenças raras.

Algumas das nossas parcerias





*Não importa
o que queira
ser:
Você pode!*

*Natalia Faleiros
MPS tipo 6*

Qual é o seu sonho?

Instituto Vidas Raras

"Não lutamos apenas pelos que ainda vivem (e para que não partam precocemente), mas para que a ida dos que vieram antes não tenha sido em vão."