



EN QUERIDA
VIDA

“INSTITUTO VIDAS RARAS EM PROL DAS FAMÍLIAS E PACIENTES”

Instituto Vidas Raras



**Todas as imagens contidas em nossas
atividades e apresentações são
devidamente autorizadas pelas famílias
e pacientes.**

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, organização de atuação nacional, fundada no ano de 2001, com sede na Cidade de Guarulhos, é uma organização não governamental, sem fins lucrativos, estruturada e norteada por 4 pilares:



Ética

Honestidade

Transparência

Comprometimento



REGINA PRÓSPERO

- VICE-PRESIDENTE INSTITUTO VIDAS RARAS / ABRAMPS
- DIRETORA-PRESIDENTE – RARÍSSIMAS BRASIL
- DIRETORA-PRESIDENTE – ABG (Aliança Brasileira de Genética)
- SECRETÁRIA-ADJUNTA DA FRENTE PARLAMENTAR DA SAÚDE SP
- MEMBRO DO GT DE DOENÇAS RARAS DO MINISTÉRIO DA SAÚDE
- MEMBRO DO COMITÊ DE ÉTICA EM PESQUISA CLÍNICA DO HOSPITAL INFANTIL SABARÁ

TRAJETÓRIA

- ✓ **2002** Inicio dos nossos trabalhos para levar nossos assistidos para participarem de Clinical Trials para as MPSs;
- ✓ **2003** Começam 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 do 1º Clinical Trial para MPS no Brasil

MUCOPOLISSACARIDOSE I

LARONIDASE



- Data de Registro no FDA: 05/2003
- Data de Registro no EMA: 10/06/2003
- Data de Registro na ANVISA: 2005
- Número de Pacientes em Tratamento: 206/110
- 1^a Reunião CONITEC: 12/12/2016
- Fonte: IVR

SINDROME DE HUNTER – MPS II



ELAPRASE

- Data de Registro no FDA: 24/07/2006
- Data de Registro no EMA: 08/01/2007
- Data de Registro na ANVISA: 30/05/2008
- Número de Pacientes em Tratamento: 308/273
- 1^ª negativa da CONITEC: 29/08/2012
- Reunião CONITEC para construção de PCDT 12/12/2016
- Fonte: IVR

SINDROME DE MÓRQUIO – MPS IV A



ELOSULFASE ALFA

- Data de Registro no FDA: 14/02/2014
- Data de Registro no EMA: 28/04/2014
- Data de Registro na ANVISA: 10/12/2014
- Número de Pacientes em Tratamento: 129/90
- Fonte: IVR

MPS VI



GALSULFASE

- Data de Registro no FDA: 31/05/2005
- Data de Registro no EMA: 24/01/2006
- Data de Registro na ANVISA: 03/02/2009
- Número de Pacientes em Tratamento: 223/216
- Fonte: IVR

DOENÇA DE FABRY



FABRAZYME E REPLAGAL

- Data de Registro no FDA: 2003
- Data de Registro no EMA: 2001
- Data de Registro na ANVISA: 2005
- Número de Pacientes em Tratamento: 700
- 1^a Reunião CONITEC: 12/12/2016
- Fonte: IVR

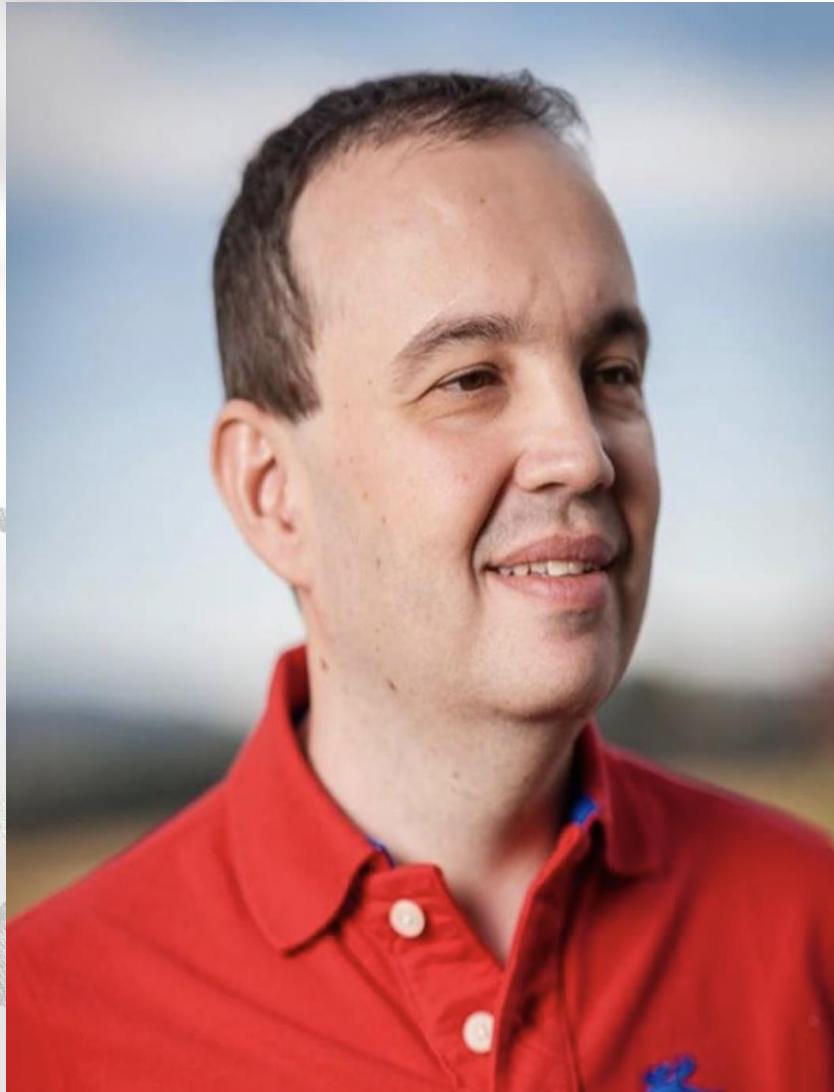
ACROMEGALIA



PEGVISOMANTO

- Data de Registro no FDA: 26/03/2003
- Data de Registro no EMA: 13/11/2002
- Data de Registro na ANVISA: 2005
- Pedido de Incorporação CONITEC: 13/04/2012
Negado: 11/10/12
- Fonte: IVR

PARAMILOIDOSE



VYNDAQEL

- Data de Registro no EMA: Nov 2011
- Data de Registro na ANVISA: Nov 2016
- Número de Pacientes no Brasil: 2.000
- Número de Pacientes em Tratamento: 15
- 1^a Reunião CONITEC: 05 e 06/07/2016.

POMPE



MYOZYME

- Data de Registro no FDA: 28/04/2006
- Data de Registro no EMA: 20/12/2004
- Data de Registro na ANVISA: 2007
- Número de Pacientes em Tratamento: 105
- 1^a Reunião CONITEC: 12/12/2016
- Fonte: IVR

HIPERTENSÃO ARTERIAL PULMONAR

BOSENTANA



- Data de Registro no FDA: 20/11/2001
- Data de Registro no EMA: 15/05/2002
- Data de Registro na ANVISA: 2003
- Número de Pacientes no Brasil: 5.300
- Número de Pacientes em Tratamento: 5.300

HPN e SHUa



ECULIZUMAB

- Data de Registro no FDA: 16/03/2007
- Data de Registro no EMA: 24/07/2009 HPN e 24/11/2011 SHUa
- Data de Registro na ANVISA: 13/03/2017
- Número de Pacientes em Tratamento: 650
- Fonte: IVR

FENILCETONÚRIA

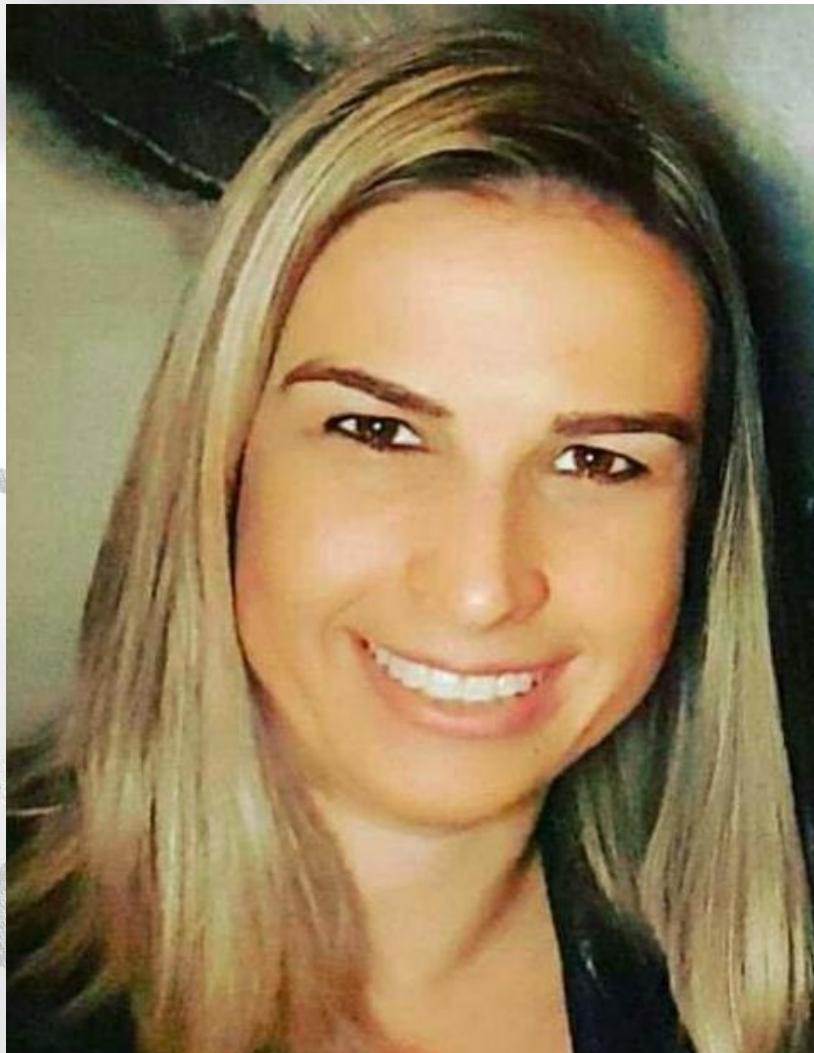
KUVAN



- Data de Registro no FDA: Dez 2007
- Data de Registro no EMA: 2008
- Data de Registro na ANVISA: 2011
- Número de Pacientes em Tratamento: *2.000/900-1.000
- 1^a Reunião CONITEC:
2013 NEGADO
- Fonte: IVR

ANGIOEDEMA HEREDITÁRIO

FIRAZYR



- Data de Registro no FDA: 25/08/2006
- Data de Registro no EMA: 11/07/2008
- Data de Registro na ANVISA: 07/12/2009
- Número de Pacientes em Tratamento: *300

NIELMANN PICK C



MIGLUSTAT

- Data de Registro no FDA: 31/07/2003
- Data de Registro no EMA: 20/11/2002
- Data de Registro na ANVISA: 22/01/2007
- 1^a Reunião CONITEC: 12/12/2016
- Fonte: ANPB

FIBROSE PULMONAR IDIOPÁTICA



NINTEDANIBE

- Data de Registro no FDA: 2014
- Data de Registro no EMA: Jan/2015
- Data de Registro na ANVISA: 27/10/2015
- Número de Pacientes em Tratamento:
 - Fonte: IVR

ESCLEROSE MULTIPLA



TERIFLUNOMIDA (Aubagio)

- Data de Registro no FDA: 12/09/2012
- Data de Registro no EMA: 26/08/2013
- Data de Registro na ANVISA: 2013
- Número de Pacientes em Tratamento: 700
- Data do pedido de Avaliação CONITEC: 31/07/2016
- Fonte: IVR

PORFIRIA



HEMATINA

- Importado com embasamento na RDC 08
- A Empresa entrou com pedido de registro na ANVISA
- Número de Pacientes em Tratamento: 350

Fonte: ABRAPO

[www.vidasraras.org.br /](http://www.vidasraras.org.br/)
facebook.com/vidasraras



STJ suspende andamento de ações que pedem remédios gratuitos fora da lista do S...

g1.globo.com

TRAJETÓRIA

- ✓ **2004 / 2005** Reuniões com Secretários, Ministros e Técnicos do Ministério da Saúde e Secretarias de Saúde Estaduais e Municipais, tratando de políticas públicas;
 - A APMPS passa a atuar a nível nacional oficialmente;
- ✓ **2006** 2º Encontro Nacional de MPS - Participação de Gestores, profissionais da Saúde, Industria e Sociedade;
- ✓ **2007** Participação ativa da APMPS em Audiências Públicas em defesa do Direito do Paciente,



✓2012 Criação do GT de Doenças Raras pelo Ministério da Saúde



✓ 2014 Assinatura da Portaria 199/14 “Portaria de Atenção à Pessoa com Doenças Raras no SUS”



✓ 2014 Assumimos a Presidência da ABG (Aliança Brasileira de Genética),



Reunião com Ministro da Saúde, CONITEC e SAS - jul/16





Reunião de Associações com a ANVISA set/16



PROJETOS DE LEI PARA DOENÇAS RARAS

- ✓ PL 02747/2011 – Dispões sobre a distribuição de medicamentos para as MPSs
- ✓ Nº 275/2016 – de Diretrizes para Politica Estadual de Doenças Raras e Acolhimento as Pacientes Raros;
- ✓ Nº 1.303/2015 – que estabelece a Triagem Neonatal na Modalidade Ampliada para Rede Publica no Estado de São Paulo;
- ✓ Nº 277/2016 – que cria uma Nova Fonte de Financiamento para a Saúde no Estado de São Paulo; além de outros que reconhecem a importância,
- ✓ Conscientização e redução de preconceitos à enfermidades como Lipodistrofia, Acromegalia, dentre outras.

PORTARIAS PARA DOENÇAS RARAS

✓ Acompanhamos, informamos e contribuímos para as mais importantes e relevantes resoluções e portarias para as Doenças Raras.

✓ 2011 – Lei 12.401

✓ 2012 – Portaria 196 = Resolução 466

✓ 2013/2014 – Portaria 199

✓ 2014 / 2015 – Consultas Públicas:

✓ Acromegalia

✓ Consulta 20

✓ Alimentos Proteicos

✓ PLS 200



Linha Rara

Linha direta com os raros
0800 006 7868

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

A Raríssimas BR e o ICR – Instituto da Criança de SP, com o apoio total do Instituto Vidas Raras, lançaram no Brasil, a LINHA RARA. Uma plataforma de atendimento que traz informações ao paciente com doença raras. A ideia já funciona na Raríssimas de Portugal desde 2009. Uma atendente recebe as dúvidas, e a resposta, que vai ser pesquisada com especialistas, vem em até uma semana.

“O intuito do Linha Rara não é fazer diagnóstico, é levar o paciente ou a pessoa que está procurando informação para o caminho onde ele vai encontrar um diagnóstico mais correto, rápido e preciso para que ele não fique peregrinando de ambulatório em ambulatório, de médico em médico, tentando entender exatamente o que ele tem”, afirma Regina Próspero, dir. pres. Instituto Vidas Raras.

NOSSOS PARCEIROS



Associação Alagoana dos familiares e amigos dos portadores de mucopolissacarídos



NOSSOS PARCEIROS



Liga Acadêmica de Genética Médica



FUNDACIÓN ECUATORIANA DE PACIENTES CON ENFERMEDADES DE DÉPÓSITO LISOSOMAL



Asociación Todos Unidos
Enfermedades Raras Uruguay





www.vidasraras.org.br



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



vidasraras



@apmpsVIDA



11 2414 3060

meu desejo?
Viver!



RARE DISEASE DAY
FEBRUARY 28



#TODOSPELOSRAROS