



# **“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 norteadora 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** Início 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](http://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
- 1ª Reunião CONITEC: 12/12/2016
- Fonte: IVR



# SINDROME DE HUNTER – MPS II

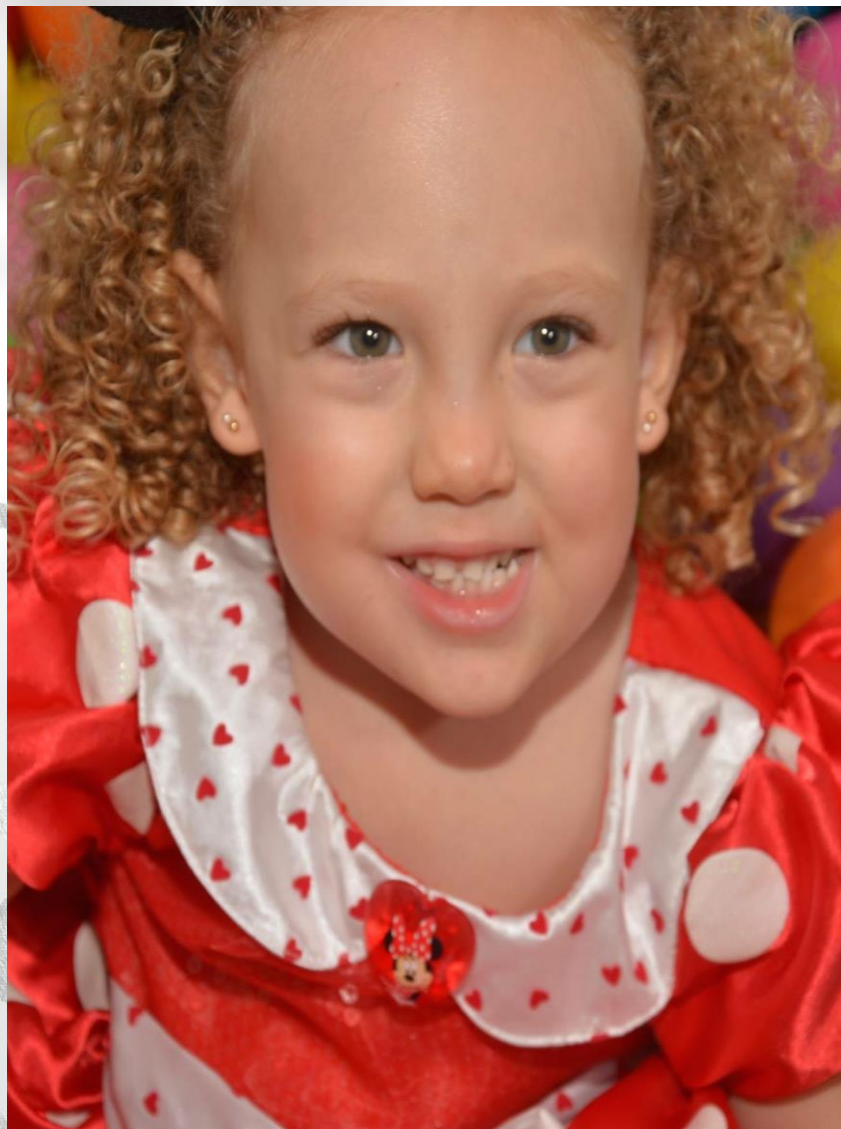


## **ELAPRASE**

- 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
- 1ª 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: 24/01/20006
- 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
- 1ª Reunião CONITEC: 12/12/2016
- Fonte: IVR



# ACROMEGALIA



## PEGVISOMANTO

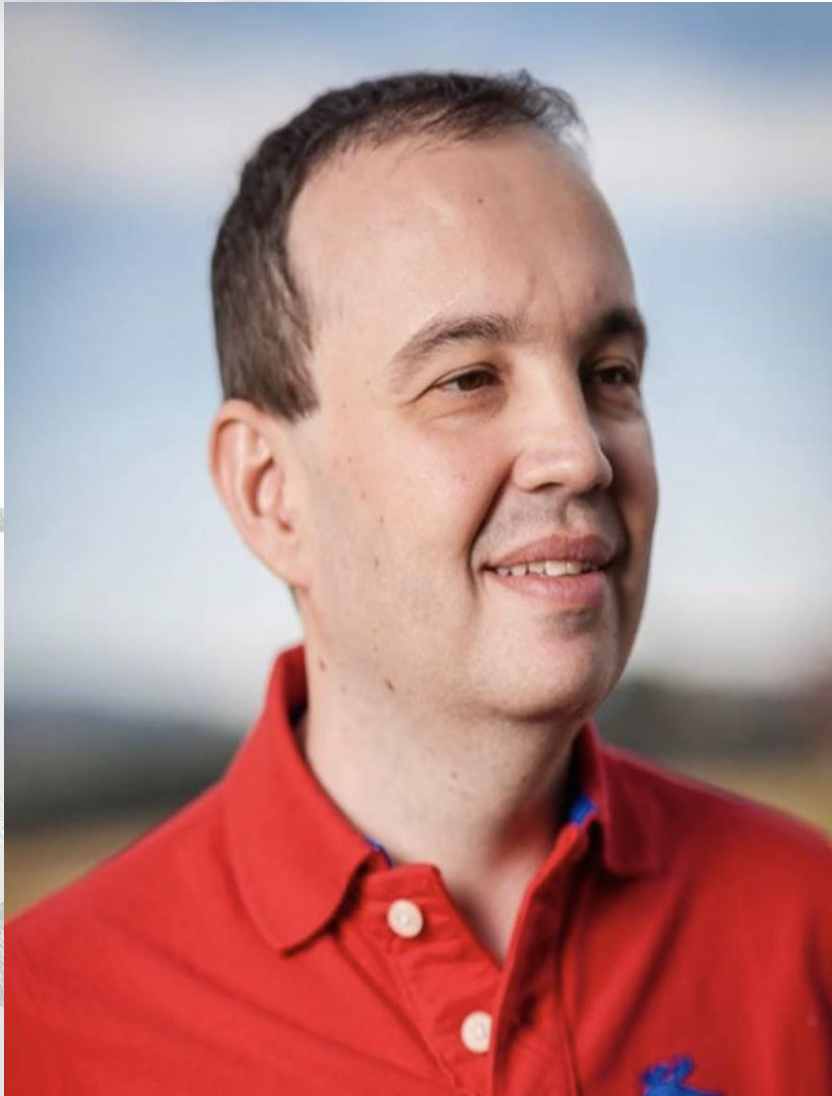
- Data de Registro no FDA: 26/03/2003
- Data de Registro no EMA: 13/11/2002
- Data de Registro na ANVISA: 2005
- Pedido de Incorporação CONITEC: 13/04/2012  
**Negado: 11/10/12**
- Fonte: IVR



# PARAMILOIDOSE

## **VYNDAREL**

- 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
- 1ª 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
- 1ª 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

FONTE: ABRAPES

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



# 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
- 1ª 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
- 1ª 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



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

[g1.globo.com](https://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,

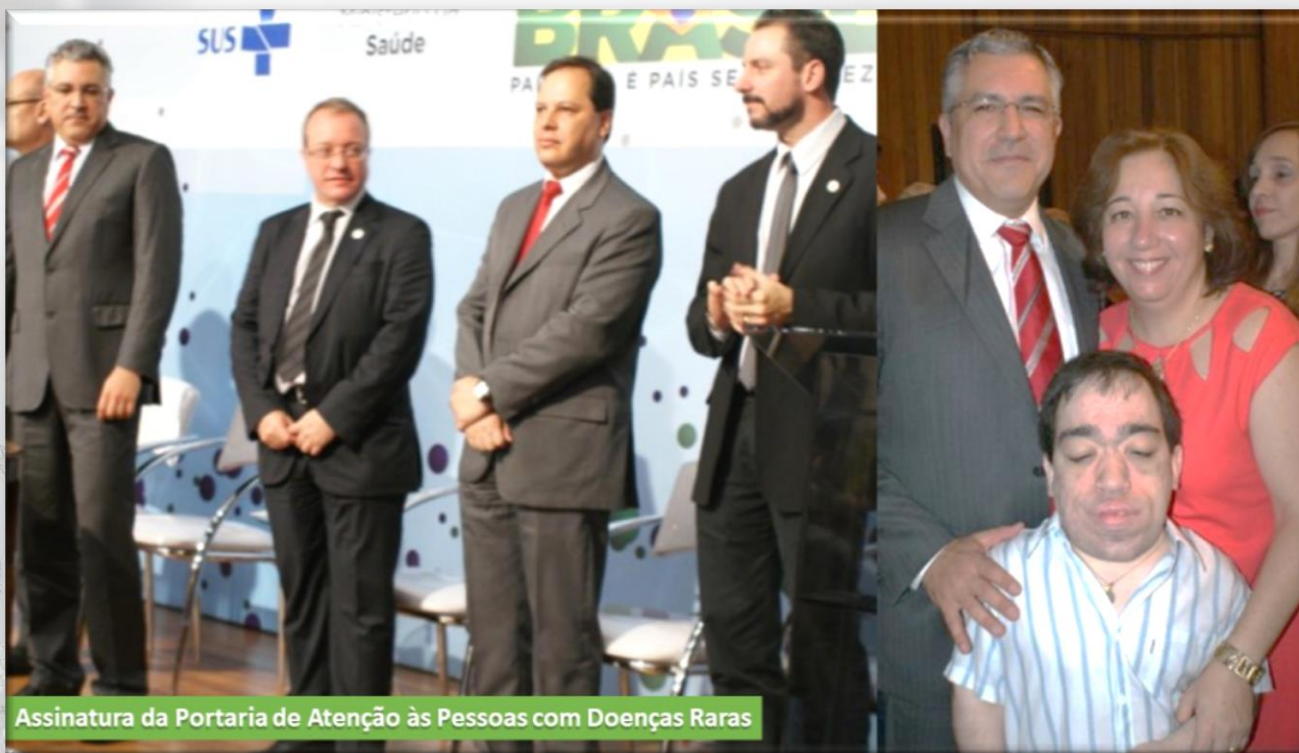




## ✓2012 Criação do GT de Doenças Raras pelo Ministério da Saúde



✓ **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



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





## 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 Política Estadual de Doenças Raras e Acolhimento as Pacientes Raros;
- ✓ Nº 1.303/2015 – que estabelece a Triagem Neonatal na Modalidade Ampliada para Rede Pública 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



# NOSSOS PARCEIROS



Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal







INSTITUTO

*Vidas Raras*



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



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



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



[@apmpsVIDA](https://twitter.com/apmpsVIDA)



11 2414 3060



meu desejo?  
Viver!



**RARE DISEASE DAY**  
FEBRUARY 28



**#TODOSPELOSRAROS**