

VIDAS RARAS

11
out-dez
2016

• UMA PUBLICAÇÃO DO INSTITUTO VIDAS RARAS •

ISSN 2359-6104

CONHEÇA

Características, sintomas e
tratamento do hipoparatiroidismo

EM FRENTE

Jovem com esclerose múltipla
funda entidade de apoio

QUAL É O PREÇO DA VIDA?

*Supremo Tribunal Federal (STF) adia decisão sobre
obrigatoriedade do fornecimento de medicamentos de alto
custo. A decisão afeta diretamente a vida de milhões de
pessoas. Entidades de pacientes, familiares e a opinião
pública se manifestam por meio de campanha*



Setembro 2016
GZBR GZ-16-09-0364
Ana Barros

COMPROMISSO COM A VIDA!

Anita Fatis é uma nadadora paratleta francesa que foi diagnosticada com esclerose múltipla aos 26 anos e, desde então, sua trajetória é de esperança e confiança em si e no seu potencial. Já conquistou 14 campeonatos de natação tanto em seu país como no mundo.

Com 53 anos, Anita tem uma história de determinação e perseverança que se confunde com a da Sanofi Genzyme. Do lado da atleta, o desejo de superar a sua situação física pelo esporte; do lado da empresa, um profundo compromisso em melhorar a qualidade de vida dos pacientes.

Há mais de 30 anos, a Sanofi Genzyme pesquisa, desenvolve e produz terapias inovadoras para doenças genéticas raras, esclerose múltipla e doenças endócrinas, sentindo muito orgulho de apoiar esta campeã de superação e determinação!

- 04.** EDITORIAL

- 06.** DROPS/SOCIAIS
Doenças raras nas redes sociais

- 08.** PALAVRAS
O papel da família na busca pelo tratamento adequado

- 16.** ESPECIAL
Perspectivas e objetivos do Instituto Vidas Raras para os próximos anos

- 20.** CONHEÇA
Características e tratamento do hipoparatiroidismo

- 24.** EM FRENTE
Gustavo San Martin, fundador da Associação Amigos Múltiplos pela Esclerose (AME)

- 28.** NOTAS
Notícias institucionais, ações e participações em eventos

- 34.** DEPOIMENTOS
Anjos que fazem a diferença na vida da Larissa



12

CAMPANHA
MINHA VIDA
NÃO TEM
PREÇO

“Adotei um cachorrinho, mas como descobri que ele está acometido por uma doença rara, vou mandar sacrificar.”

Muitos se chocam com a declaração acima (e devem mesmo se chocar), já que, para muitas pessoas, o pet é um membro da família. Agora, o que você diria se a decisão de um juiz condenasse você ou seu filho, marido, pai, mãe, irmão, ao sacrifício? Pois é assim que estou me sentindo hoje. Triste, engasgada com a desilusão no ser humano.

Já não basta ter de lidar com uma doença devastadora na minha casa, ainda tenho que matar uma arena de leões por dia e passar por isso. Comecei meu dia com a revoltante notícia de que uma juíza federal “cancelou” várias ações judiciais, já em curso há muito tempo, sem critério e independentemente do tempo que o paciente já estava contemplado com aquilo que o mantém vivo: seu tratamento medicamentoso. Basta dizer que ele já esgotou todos os recursos financeiros disponíveis na família? Não, não basta!

A alegação dessa juíza? O paciente tem uma doença sem cura, que precisa de um medicamento de alto custo, que é financiado pelo Governo, mas independentemente de ser tratado (e, diga-se de passagem, teve grande melhora na qualidade de vida), vai morrer

*mesmo. Morrer mesmo? Todos nós vamos morrer um dia. Isso é fato! O fato mesmo é que podemos morrer com menos sofrimento. Podemos ter menos sofrimento e viver com mais dignidade. Meu maior sonho de consumo é poder comprar o medicamento do meu filho. Se assim fosse, o poder estaria nas minhas mãos. Mas não está! Depender dos outros já não é uma condição fácil e confortável. Mas depender de um governo que não sabe administrar suas contas e que nossos impostos pagos se esvaziem descontroladamente pelo ralo é, no mínimo, desalentador. Enfim, quero solicitar aos nossos amigos, pais, mães, familiares e pacientes que nos ajudem a reverter essa infeliz decisão de uma burocrata que não tem em seu campo de visão o ser que ela está condenando à morte. Hoje, foram esses os condenados. Amanhã, pode ser eu, você, seu filho, seu pai e sua mãe. **A vida não tem preço!** Não importa o quanto ela possa durar.*

Boa leitura.

REGINA PRÓSPERO

Presidente do Instituto Vidas Raras



VIDAS RARAS é uma publicação trimestral produzida pela RS Press para o Instituto Vidas Raras, distribuída gratuitamente. O conteúdo da publicação é de inteira responsabilidade de seus autores e não representa necessariamente a opinião do Instituto. www.apmps.org.br

JORNALISTA RESPONSÁVEL: Roberto Souza (MTB: 11.408) **EDITOR:** Rodrigo Moraes **REPORTAGEM:** Daniella Pina, Danielle Menezes e Fernando Inocente **REVISÃO:** Paulo Furstenu **PROJETO EDITORIAL:** Rodrigo Moraes **PROJETO GRÁFICO:** Luiz Fernando Almeida **FOTO DE CAPA:** Shutterstock **DIAGRAMAÇÃO:** Leonardo Fial, Luis Gustavo Martins e Rodolfo Krupka **COMERCIAL:** Caroline Frigene
Rua Cayowaá, 228, Perdizes, São Paulo - SP | (11) 3875.6296 | www.rspress.com.br



Celebrando o sucesso da campanha para ampliar os diagnósticos de

Niemann-Pick tipo C (NP-C)

PENSE DE NOVO

PENSE NP-C

2
ANOS!

www.pense-npc.com.br



© Shutterstock

ATOR DE STRANGER THINGS TRAZ REPRESENTATIVIDADE PARA OUTROS PACIENTES COM DOENÇAS RARAS

Sucesso na série Stranger Things, da Netflix, o jovem ator Gaten Matarazzo, que interpreta Dustin Henderson, tornou-se um exemplo para pessoas com doenças raras.

Matarazzo tem displasia cleidocraniana, uma doença genética rara que afeta principalmente o desenvolvimento de ossos e dentes. Em entrevista à revista People, o ator falou sobre a disfunção, que pode causar o subdesenvolvimento ou mesmo a inexistência das clavículas, tornando os pacientes capazes de realizar movimentos com os ombros que outras pessoas não são capazes. Em alguns momentos da série, aliás, esses “superpoderes” são explorados.

Por falar abertamente sobre a displasia cleidocraniana, o astro acabou se tornando inspiração para outras pessoas com a mesma doença. “Muitos me escreveram mensagens dizendo ‘você me fez sentir melhor comigo mesmo pelo fato de ser capaz de mostrar na televisão que você tem a doença e é aceito’. Está havendo uma crescente consciência sobre o problema e isso me faz sentir bem”, acrescentou o ator na entrevista.

doenças
raras
nas redes
sociais:



facebook.com/mamasaude

#Mama sempre traz histórias de mães que fazem a diferença na vida de seus filhos. Hoje, temos a honra de compartilhar o depoimento de Regina Próspero. Mãe de filhos portadores de condições triadas pelo teste do pezinho, ela divide sua experiência e ajuda milhares de pessoas através do Instituto Vidas Raras. Assista em: facebook.com/mamasaude/videos.

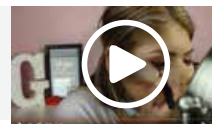


@hulkparaiha

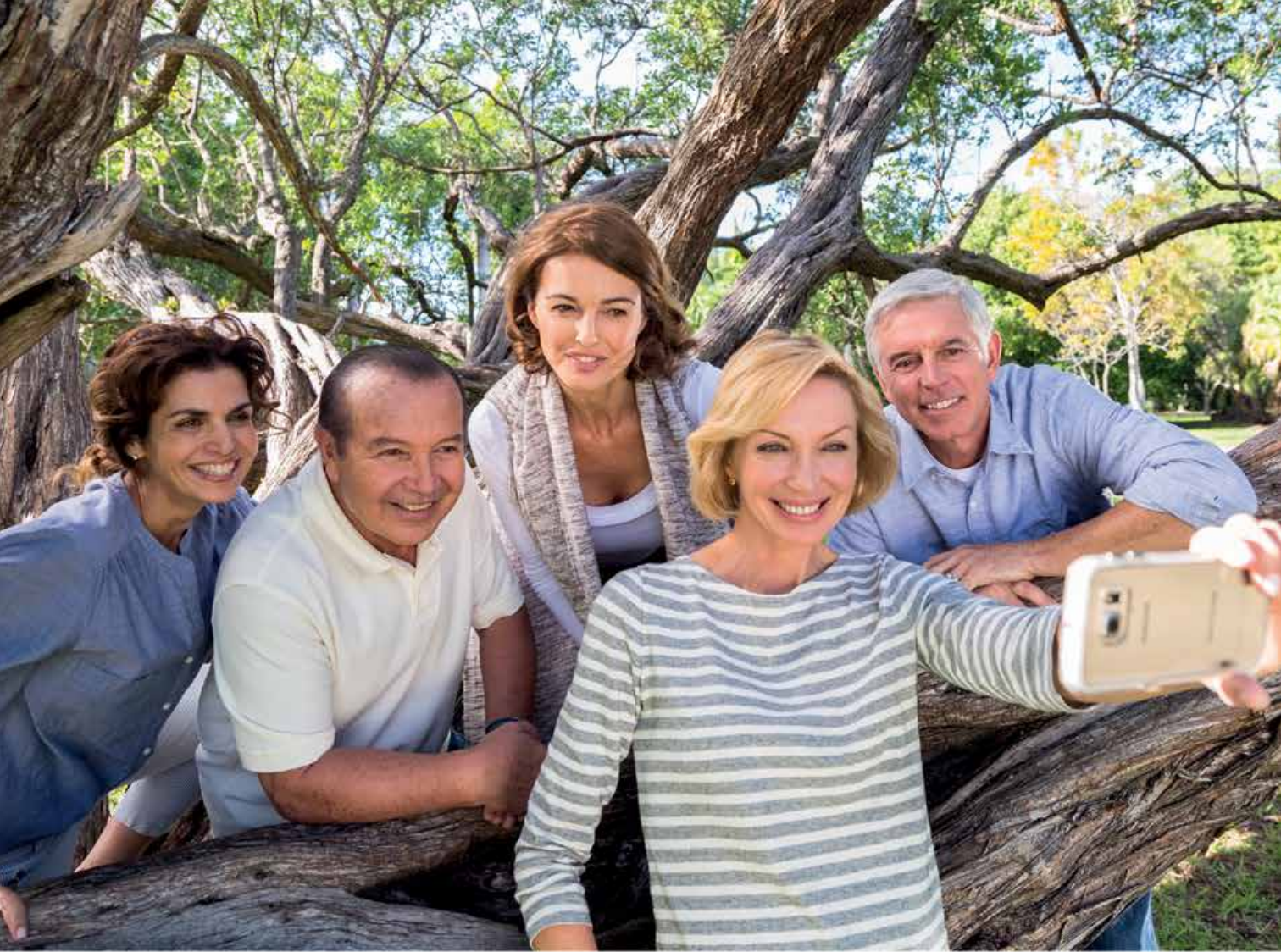
O jogador de futebol ex-atacante da seleção brasileira Hulk gravou um vídeo de apoio à campanha Minha Vida Não Tem Preço, pedindo ao STF que mantenha o fornecimento de medicamentos para doenças raras ou graves.



@STF_oficial todos têm direito à saúde, não os abandone #DoençasRaras
Gleice Pessoa @GleiceSBC



Marimar Quiroa é uma jovem vaidosa e cheia de autoestima. Nascida com higroma cístico, uma condição rara de saúde, ela decidiu começar um canal no YouTube para dividir seus truques de beleza e apoiar outras pessoas com deficiências. “Para mim, beleza significa aceitar-se por ser quem é e ignorar o que os outros dizem.” Seus vídeos já foram vistos por mais de nove milhões de pessoas.



Nós permitimos que as pessoas com condições especiais possam ter uma vida melhor.

“O nosso objetivo é claro: fazer a diferença na vida das pessoas que são afetadas por doenças raras e condições especiais.”

Shire

Serviço de atendimento ao consumidor

0800-7738880



“ A FORÇA DA FAMÍLIA ”

O tratamento adequado pode fazer a diferença na saúde e qualidade de vida de uma pessoa com uma síndrome rara.

A advogada Jussara Aparecida Farias Tarumoto fala do papel da família nesses casos, e o quão isso é determinante para garantir o bem-estar da criança

Por **DANIELLE MENEZES**

Independentemente de classe social, raça, sexo ou nacionalidade, receber o diagnóstico de uma doença rara não é fácil para nenhuma família, principalmente quando o acometido tem apenas meses – ou até dias – de vida. Essa foi a realidade na casa de Jussara Aparecida Farias Tarumoto, advogada e mãe do pequeno Yudi, hoje com quatro anos. O primogênito da família foi diagnosticado com síndrome de West aos cinco meses de idade. A doença é definida como uma forma de epilepsia que se inicia ainda na infância e causa pequenos espasmos nos primeiros meses de vida. Essas convulsões afetam a parte cognitiva da criança e resultam em uma deficiência intelectual. Pelo menos 70% dos bebês com síndrome de West apresentam problemas de desenvolvimento no futuro.

Por isso, o tratamento de Yudi é indispensável para garantir seu bem-estar e qualidade de vida no futuro. Segundo Jussara, a procura pelas melhores opções de tratamento para o filho começou na observação de exemplos de outras crianças portadoras da síndrome. Ela e o marido, Akio Takumoto, atualmente residem em Itápolis, no interior de São Paulo, e fazem de tudo para que o filho tenha acesso a todas as terapias importantes para sua saúde.

Em entrevista à Vidas Raras, Jussara fala da importância da dedicação que os pais precisam ter para garantir o acesso ao tratamento da criança. Ela conta ainda sobre a rotina do pequeno Yudi e como outras famílias também podem conseguir tratamento. Confira!



O diagnóstico de doenças raras geralmente é difícil e pode levar anos. Como foi no caso do Yudi? Esse fator foi determinante no início de seu tratamento?

Com quatro meses de idade, o Yudi aparentava muitas dores abdominais, chegando a ficar internado algumas vezes. Lá pelos cinco meses, quando voltou de uma internação que tratava novamente de cólicas, percebi que ele tinha uns espasmos alternados e comecei a pesquisar. Deduzi que ele tinha síndrome de West. Marquei um neurologista na cidade de Ribeirão Preto (SP) e, na ocasião, levei um vídeo dele tendo os espasmos. O médico logo me disse que eu estava certa e que para fechar o diagnóstico deveria realizar alguns exames como tomografia e eletroencefalograma. Depois de realizados, ficou devidamente constatado.

Acredito que a descoberta da síndrome de maneira precoce ajudou a cessar os espasmos e, em nosso caso, as convulsões. Com o fim dessas crises, ficou mais fácil evoluir com o tratamento, o que foi um passo enorme para a tranquilidade da nossa família.

O que vocês sabiam sobre a síndrome de West antes do diagnóstico do Yudi?

Nunca tínhamos ouvido falar em síndrome de West, e, quando buscávamos conhecimento, era um horror, muito triste e desesperador. Acredito que a fé nos deixou em pé todos os dias e Deus nos guiou e continua nos guiando.

Como a família recebeu a notícia de uma doença rara? Vocês precisaram de um tempo para adaptação?

A adaptação acontece aos poucos. Pode ser que a ideia de algo futuro nos pareça terrível hoje, mas quando acontece, nos acostumamos com ela. Por exemplo, quando o Yudi tinha dois anos, eu acreditava que ele nunca iria usar cadeiras de rodas. Hoje ele usa, e quando pegamos a primeira, não víamos a hora de acontecer, devido à qualidade de vida que ele teria com o uso da cadeira, e nós também.

© Shutterstock

O que foi preciso fazer para que o Yudi pudesse ter acesso ao tratamento? Quanto tempo esse processo demorou?

Todo o tratamento é realizado por um convênio privado. Não precisei entrar na justiça para adquirir as terapias gratuitamente. O plano de saúde dele cobre a maioria dos custos e alguns eu pago por serem relativamente baratos. Apenas o tratamento na Therapies (clínica de reabilitação intensiva localizada em Campinas), que requer um investimento mais alto, eu pago, mas o convênio reembolsa. Porém tudo o que ele faz poderia ser requerido gratuitamente, tanto com o plano de saúde quanto com o Estado ou prefeitura.

Como advogada, quando alguém me procura para entrar na justiça, sempre indico o promotor de Itápolis (SP). As famílias não precisam pagar por uma coisa que têm direito a fazer gratuitamente.

“A dica principal é que a família tenha vontade de acordar todo dia e veja que a vida continua igual. Não é porque eu tenho uma criança com uma doença rara em casa que vou achar que minha vida acabou”

Jussara A. Farias Tarumoto

Acionei a justiça apenas em um caso. Processei a Prefeitura de Itápolis e o Governo do Estado de São Paulo para adquirir um determinado modelo de andador. Consegui rápido e dentro de 40 dias já estávamos com ele.

Atualmente, como é a rotina dele?

É puxada. Ele faz muitos tratamentos essenciais, como fisioterapia motora, fonoaudiologia, terapia ocupacional, hidroginástica e equoterapia. Todos esses, apesar de aprovados pela fisiatra, não foram exatamente indicados pelo médico. Nós que fomos atrás para que ele pudesse começar.

Fora isso, frequenta escola normal, faz aulas de inglês duas horas por semana e tem tratamento intensivo em Campinas, onde passa por sessões de três horas diárias, durante o mês inteiro, duas vezes por ano. A clínica me mantém informada sobre as melhores formas de tratamento para o Yudi. Não é exatamente uma exigência médica, mas nós sempre buscamos o melhor para ele.

Qual o papel da família nesses casos?

Acredito que a família seja fundamental para o avanço de qualquer ser humano. Nós o amamos demais e fazemos o possível e até impossível para que ele nunca fique frustrado por não conseguir fazer algo. Para nós, ele é perfeito, amoroso, calmo, inteligente, dedicado, lindo. Um orgulho para toda a família!

Minha rotina é bem puxada. Levo o Yudi para os tratamentos no período da manhã. Tenho uma escola de inglês e ainda advogo à noite, às vezes trabalho até as duas horas da madrugada. Faço por ele! Tenho ajuda do meu marido, mas assumo a maior parte das responsabilidades. Já vi famílias com mais tempo e mais condições que nosso caso e que a criança fica trancada o dia todo no quarto. Por isso, acho que a família tem papel fundamental no desenvolvimento da criança com uma doença rara. Yudi depende do meu esforço e de todos aqui em casa.



Respeitar os limites da criança também é importante para os avanços no tratamento? Por quê?

Todas as pessoas devem ter seus limites respeitados. Isso não é diferente para ele. Respeitar os limites é extremamente importante para que o tratamento vá adiante. Não gostamos de fazer algumas coisas também, é comum. Sobre aquilo que é obrigação, ele reclama um pouco, como toda criança. Mas, quando

tem algo que ele não quer de jeito nenhum e chora muito, eu preciso verificar o que está acontecendo.

Até hoje, desde o início do tratamento, ele reclamou só de uma fisioterapeuta. Tentamos umas três vezes para ter certeza, mas sempre que chegávamos próximo do local, ele já berrava, fazia um escândalo e por isso resolvemos trocar. Hoje, ele gosta muito de todos os profissionais e faz as terapias numa boa.

Quais as expectativas para o futuro do Yudi?

Para o futuro, esperamos o melhor! Afinal, temos muita fé e é ela que nos dá força e coragem para acordar todos os dias e correr atrás de sua felicidade.

Quais conselhos você daria para outras famílias que estão em busca de terapias para crianças com doenças raras?

É preciso buscar e acreditar. É possível conseguir esses tratamentos, mas deve-se ter paciência e muita determinação. Muitas vezes, demora um pouco, mas sempre vejo pais correndo atrás de recursos e apoio nas associações de pacientes. Por todo conhecimento que eu tenho como advogada, sei que a família tem direito, principalmente se for de baixa renda. Indico procurar o promotor ou um advogado especialista e entrar na justiça. Muitas vezes, a família ganha também transporte e alimentação. Então, quanto menos condições a família tiver, mais direitos ela vai ter.

Mas é preciso dizer: dá trabalho! Acho que 99% do tratamento da criança depende da família. Nenhum médico ou fisioterapeuta vai fazer milagre. Se a família tiver garra e muito amor, sempre encontrará um jeito de ajudar seus filhos.

A dica principal é que a família tenha vontade de acordar todo dia e veja que a vida continua igual. Não é porque eu tenho uma criança com uma doença rara em casa que vou achar que minha vida acabou. A família tem de saber que pode ter uma vida normal. Não tem nada de tão diferente e tão complicado. Não é porque ele tem uma síndrome que é mais difícil.

EM DEFESA DA VIDA

Entidades se mobilizam na campanha *Minha Vida Não Tem Preço*, a fim de garantir o direito de acesso a medicamentos de alto custo

Por **DANIELLA PINA**

Garantidos pela Constituição brasileira, os direitos à saúde e à vida estão sob ameaça. Desde 28 de setembro de 2016, uma decisão do Supremo Tribunal Federal (STF) aguarda ser retomada para definir a obrigatoriedade de o poder público disponibilizar medicamentos de alto custo que não estejam na lista do Sistema Único de Saúde (SUS).

O Supremo analisa duas ações propostas pelos governos do Rio Grande do Norte e de Minas Gerais contra decisões judiciais que os obrigam a fornecer drogas de alto custo a pacientes individuais. O medicamento do primeiro caso não é fornecido pelo SUS e o segundo não tem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

O cenário de paralisação e incerteza tem assustado milhares de pessoas e prejudicado o tratamento daquelas que dependem dos medicamentos para se manterem vivas.

Diversas entidades de pacientes têm se mobilizado em todo o País, pressionando os ministros acerca da votação. A campanha *Minha Vida Não Tem Preço* foi criada com esse intuito e ganha cada vez mais força nas ruas, redes sociais e meios de comunicação, com a participação de pessoas com doenças raras, familiares, amigos e figuras influentes como artistas e atletas.

“O que defendemos é um direito constitucional do cidadão e um dever do Estado. Caso o STF decida de forma contrária, poderá causar um grande extermínio de pessoas com doenças crônicas”, opina o presidente da Associação Brasileira de Assistência à Mucoviscidose (Abram), Sérgio Sampaio. Na opinião do empresário, a principal causa desse problema é a desorganização do sistema de saúde. “Estive com o ministro da Saúde, Ricardo Barros, e sugeri que, em vez de criminalizar as pessoas com doenças graves, fossem feitos protocolos

clínicos e terapêuticos, registros e incorporações dessas drogas como políticas públicas.”

Uma das alegações das autoridades é que as decisões judiciais envolvendo medicamentos de alto custo podem desestabilizar o sistema. Até julho deste ano, o Ministério da Saúde já cumpriu 16,3 mil ações envolvendo o fornecimento de medicamentos. Tais decisões judiciais custam mais de R\$ 1 bilhão por ano ao País. Os gastos referentes à judicialização – ou seja, quando é preciso entrar na justiça para garantir o acesso a determinado produto – registraram aumento de 727% no período de 2010 a 2015. “Não há sistema de saúde que possa resistir a um modelo em que todos os remédios, independentemente de seu custo e impacto financeiro, possam ser oferecidos a todas as pessoas”, disse o ministro do STF, Luís Roberto Barroso, na defesa de seu voto durante o julgamento realizado em 28 de setembro.

O presidente da Associação Brasileira de Paramiloidose (ABPAR), Fabio Almeida, concorda com a opinião do ministro, mas



Entidades de pacientes assistiram à sessão no STF

afirma que os culpados por essa desestabilização são os próprios poderes executivos e legislativos, por não estabelecerem políticas públicas de saúde para pacientes com doenças raras. Além da morosidade no registro de produtos por parte da Anvisa, Almeida afirma que a avaliação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec) parte do sistema custo-efetividade, o que não serve para as doenças raras, já que são poucos pacientes e remédios de custo mais elevado.

“Estamos muito atrasados na incorporação de medicamentos para doenças raras no SUS, o que abre portas para a judicialização. Isso faz com que o Governo pague até quatro vezes mais caro pelos medicamentos”, afirma Almeida, citando o caso da incorporação das drogas para hepatite C, que resultou em uma economia de 85% para os cofres públicos. O dado apresentado pela Defensoria Pública da



A pequena Manuela tem tirosinemia tipo I e faz uso de tratamento de alto custo para viver



União mostra que o governo federal gastava aproximadamente R\$ 5 bilhões com judicialização para as hepatites. A partir do momento em que incorporou três antivirais pela Conitec, os gastos foram reduzidos para R\$ 700 milhões.

Como paciente, o presidente da ABPAR conta que foi obrigado a contar com a judicialização para assegurar sua própria vida. “Embora sejamos contra a judicialização da saúde, ela é uma consequência e não uma causa. Somos a favor do fornecimento de medicamentos fora da lista do SUS e sem registro na Anvisa desde que sejam essenciais para a manutenção da vida das pessoas e não haja medicamento com a mesma eficácia na lista do SUS”, esclarece.

No caso da paramiloidose, ele explica que há apenas um medicamento no mundo, aprovado na Europa, e que aguarda o registro na Anvisa há mais de um ano. “A judicialização é um processo penoso e terrível para os pacientes, pois não garante a continuidade do tratamento e os processos podem sofrer mudanças, o que muitas vezes causa interrupções no fornecimento.”

QUAL É O PREÇO DA VIDA?

Desde a suspensão do julgamento pelo STF, entidades de pacientes de todo o País se empenham para sensibilizar autoridades e ganhar o apoio da sociedade

civil por meio da campanha Minha Vida Não Tem Preço. De acordo com a diretora-geral do Instituto Unidos pela Vida, Verônica Stasiak Bednarczuk, trata-se de um movimento de todas as associações representativas e das 13 milhões de pessoas com doenças raras no País. “Considere que nenhuma delas pediu para ter uma doença grave, contudo, a Constituição Federal prevê que a saúde é um direito de todos. Ao não pedir para ter uma doença rara, também não escolhemos o tratamento que deveríamos receber. Por conta disso, só pedimos para que a Constituição seja cumprida e que o tratamento seja disponibilizado a quem precisar.”

A discussão sobre o assunto já vem de bastante tempo. Segundo Sampaio, o processo de criminalização nasceu em 2005, quando a então ministra Ellen Gracie proferiu uma decisão que limitava o atendimento a uma gama de medicamentos. Depois, percebeu que cada caso precisava ser analisado em sua excepcionalidade e o movimento continuou.

Após muitos anos paralisada, a pauta foi reaberta após a posse da ministra Cármen Lúcia no STF, neste ano. “Criamos um grande movimento de doentes crônicos e fomos levar essa informação não só para os ministros, como também para a sociedade civil, porque, de repente, o STF poderá tomar uma decisão que atingirá o futuro de todos os brasileiros: jovens de hoje

poderão ter filhos com problemas graves de saúde, afinal não sabemos o que carregamos em nossa carga genética, e essa decisão poderá gerar impacto em curto, médio e longo prazos”, afirma o presidente da Abram.

As várias associações que lutam pelos direitos das pessoas com doenças raras criaram uma petição que foi entregue aos ministros do STF nos dois julgamentos já realizados. “Acreditamos que quase meio milhão de brasileiros dão voz à luta de todos nós, apoiando que o tratamento é dever do Estado e um direito de todos”, diz Verônica, que afirma que o abaixo-assinado será levado novamente aos ministros e à ministra Cármen Lúcia no próximo julgamento.

De acordo com a diretora-geral do Instituto Unidos pela Vida, enquanto aguardam nova data de julgamento, as entidades mantêm suas divulgações e sensibilizações ativas, buscando novos parceiros nessa caminhada. “Como entidades representativas, já entregamos 33 memoriais aos ministros, clamando para que abram os olhos e não permitam que suas canetas sejam a pena que determinará o grande extermínio dessas pessoas no Brasil”, acrescenta o presidente da Abram.

Além do engajamento por meio de petições e mídias sociais, as entidades já foram às ruas em 16 cidades brasileiras, demonstrando que a voz dos raros está sendo ouvida e que essas reivindicações serão levadas em conta na hora da decisão dos ministros. Recentemente, a ministra Cármen Lúcia deu início a oficinas para subsidiar os magistrados em ações judiciais na área da saúde, um importante passo para auxiliar questões como a que está em discussão no STF. “Todas as entidades têm trabalhado em paralelo para conseguir expor as reivindicações aos governantes, ministros do STF e para a mídia, de forma a aumentar o conhecimento da real urgência daqueles que necessitam do judiciário para ter acesso a um tratamento de alto custo”, afirma Verônica.

Na opinião do presidente da ABPAR, as principais conquistas desde então foram colocar o assunto na mídia, reunir-se com ministros do STF e enviar memoriais explicando a situação real de pessoas que só estão vivas graças aos remédios fornecidos por



© Arquivos pessoais



O defensor público-geral da União, Carlos Paz, com Regina Próspero e com o presidente da ABPAR, Fábio Almeida

decisão judicial. Segundo Almeida, as entidades já preparam uma grande mobilização na véspera do julgamento, que ainda não foi remarcado.

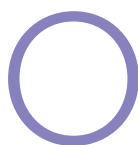
A presidente do Instituto Vidas Raras, Regina Próspero, convida todas as pessoas sensibilizadas com a causa para mostrarem-se ativas, compartilhando os conteúdos divulgados na página do Facebook “STF: Minha Vida Não Tem Preço”, participando das mobilizações e lutando pelo direito à vida. “Peço aos nossos amigos, pais, mães e familiares que nos ajudem a reverter essa infeliz decisão. Hoje, serão esses os condenados, mas amanhã poderemos ser eu, você, seu filho. A vida não tem preço e não importa o quanto ela possa durar. Podemos sofrer menos e viver, sim, com mais dignidade de vida e em vida”, conclui. ●

VIVER!

Na última matéria do Especial 15 anos do Instituto Vidas Raras, o desejo de todos nós para os próximos anos fica evidente: continuar vivendo e trazendo mais conquistas aos pacientes

Por DANIELLE MENEZES

“Eu sei que a vida devia ser bem melhor e será! Mas isso não impede que eu repita: é bonita, é bonita e é bonita!” A música de Gonzaguinha, *O que É, o que É?*, de 1982, nunca fez tanto sentido para o atual momento do Instituto Vidas Raras. **Agraciar a vida e permanecer na esperança de que ela seja melhor no futuro é um sentimento em comum entre as pessoas com doenças raras, familiares e membros da associação. Todos merecem ter uma vida normal, como a de qualquer cidadão, mesmo com suas limitações.**



Instituto Vidas Raras luta, diariamente, para que todos possam ter acesso aos tratamentos e, conseqüentemente, um futuro de qualidade.

Na projeção feita pelo Instituto, os próximos anos serão de trabalho árduo e expansivo para ajudar todos aqueles com uma doença rara a viverem além dela, de maneira digna e acima de tudo feliz. “O Instituto Vidas Raras tem a expectativa de anos difíceis, afinal o País não atravessa um bom momento. Mas acreditamos muito em nosso trabalho sério, transparente, determinado, para dar apoio aos raros. Jamais perdemos a esperança nas pessoas ou no próprio Governo. Sabemos que nossa causa é justíssima. E tudo o que é justo e correto dificilmente não dá certo. Temos de lutar pelos nossos direitos. O Instituto e seus associados, simpatizantes e colaboradores unidos têm muito mais força do que podem imaginar. Vamos mostrar, explicar, dialogar e cobrar também quem tem de ser cobrado. Desistir jamais!”, declara a presidente do Instituto Vidas Raras, Regina Próspero.

Por isso, o desejo principal para os próximos anos é colocar os medicamentos na lista de tratamento de alto custo. “O mínimo que o Governo tem a fazer é ampliar o rol de tratamentos, fazer com que a pessoa com uma doença rara não precise peregrinar por um tratamento como é hoje. Se o Governo conseguir seguir as próprias leis que impõe e propõe teremos grandes sucessos. Melhorar a qualidade de vida dos pacientes, o que

conseqüentemente irradia para os familiares, é um desejo diário. Para o futuro, gostaríamos de seguir trabalhando pelas conquistas para as pessoas com DRs. Que elas possam sofrer menos”, acrescenta Regina.

Uma das maiores vontades da associação é que todas as doenças tenham tratamento disponível e viável para todas as famílias, independentemente de classe social ou região. Graças ao forte trabalho das associações em políticas públicas, e também ao grande avanço das tecnologias, as pessoas com doenças raras que ainda não têm um tratamento definido têm esperanças renovadas diariamente, já que as terapias podem estar cada vez mais perto. “Sendo hoje uma das mais antigas instituições de apoio aos raros, temos mais informações para trabalhar por esses pacientes. Entendemos que o Brasil precisa incentivar e investir mais em pesquisas clínicas e formar mais geneticistas. Estamos muito aquém do mínimo necessário. Precisamos divulgar mais, falar mais de doenças raras, tanto em faculdades de medicina quanto em congressos”, afirma a presidente do Instituto Vidas Raras.

Outro desejo para o futuro é que a medicina avance a ponto de facilitar o acesso ao diagnóstico, que, se for rápido, pode trazer melhor qualidade de vida. “Quando falamos de uma doença genética, rara e progressiva, o tempo pode significar um divisor entre a vida e a morte. E o diagnóstico rápido irá proporcionar ao paciente uma chance de vida muito maior, além de evitar possíveis sequelas, dependendo de seu estado clínico. Por isso,

“Para o futuro, gostaríamos de seguir trabalhando pelas conquistas para as pessoas com DRs. Que elas possam sofrer menos”

Regina Próspero

trabalhamos muito para disseminar informações sobre as doenças raras, pois com um maior conhecimento médico dessas patologias, o panorama pode ser mais favorável para essa pessoa e sua família”, diz Regina.

Os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDTs) para todas as doenças raras também estão na lista de desejos do Instituto Vidas Raras. Atualmente, apenas a doença de Gaucher tem um protocolo aprovado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec). Segundo o site do Ministério da Saúde, outras 12 doenças já têm um PCDT lançado e a previsão é apresentar mais 47 até 2018. Para Regina, esses protocolos são essenciais para a qualidade de vida de um paciente com doença rara. “O PCDT não dá só o remédio – seu papel é nortear as diretrizes, desde o diagnóstico até o tratamento. Ele é completo, prevê uma linha de ação. Nós ansiamos por esse dia, porque muitos pacientes morrem por uma má condição de tratamento. O protocolo brasileiro de Gaucher é um dos melhores do mundo, então podemos nos basear nele. Temos modelos bons, basta querer seguir”, completa.

INVESTIMENTOS

Tanto os pacientes quanto as associações dependem dos investimentos governamentais para continuar na luta contra as doenças raras, seja para o diagnóstico,

seja para o tratamento. Por isso, o esforço do Instituto Vidas Raras está concentrado em atuações com o governo federal, Ministério da Saúde e Secretarias, para mostrar a necessidade de uma atenção especial. “Nossos pacientes são raros e não podem depender da situação econômica do País para ter seu tratamento de ‘vida’ garantido. Saúde não espera prazo ou condições. Nosso trabalho de conscientização vai muito mais além de mostrar apenas as dificuldades vivenciadas por essas famílias. Estamos mostrando que a situação de judicialização não é por culpa dos que precisam, mas sim pela própria ‘inatividade’ dos governos”, informa Nilton Próspero, membro do Instituto.

Um dos entraves que podem atrapalhar os investimentos futuros na saúde é um julgamento no Superior Tribunal Federal (STF) que visa suspender o fornecimento de medicamentos de alto custo pelo Governo. Caso seja aprovada, a decisão poderá trazer um impacto total, já que algumas famílias não têm condições financeiras de arcar com os medicamentos de alto custo, principalmente para os tratamentos com drogas órfãs. “Isso seria a sentença de morte para os que recorrem ao judiciário para suprir a falta de políticas públicas por parte do governo federal. Se isso acontecer, o Governo estará decretando o fim de muitas vidas”, alerta Regina.

Além disso, o governo federal anunciou a Proposta de Emenda à Constituição (PEC) 241, que visa determinar um teto global de gastos para os próximos 20 anos. Com isso, o orçamento para a saúde, por exemplo, poderá ser atingido. Para Nilton Próspero, essa proposta traz insegurança, já que não há como garantir que os pacientes com doenças raras terão seus tratamentos garantidos. “A PEC 241 é uma medida do Governo para estabilizar as contas públicas e sempre existe a insegurança de que essa limitação orçamentária impacte diretamente a criação de novas políticas, porém, o papel do Instituto Vidas Raras será fiscalizar que isso não aconteça. Estamos e estaremos sempre atentos quando algo acontecer, chamar a atenção ou colocar a saúde dos raros em risco.” ●

Que a magia e a Vida que brotam do Natal, te acompanhe em todo 2017!



INSTITUTO
Vidas Raras

★
Fé★
AMOR★
vida★
tolerância★
CARIDADE★
ESPERANCA★ PAZ★
união★ saude★ luz★
VIDAS★
RARAS★

Feliz
Natal



DIAGNÓSTICO SIMPLES, SINTOMAS HOSTIS

Apesar do nome difícil, doença consegue ser bem controlada com tratamento específico

Por **FERNANDO INOCENTE**

Doença rara que decorre da falta de um hormônio (paratormônio ou PTH) secretado pelas paratireoides - quatro pequenas glândulas localizadas atrás da tireoide -, o hipoparatiroidismo possui características bem particulares. De acordo com o endocrinologista, médico assistente e líder de grupo de pesquisa no Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HC-FMUSP), Dr. Bruno Ferraz, o PTH é responsável por regular

a quantidade de cálcio no sangue, atuando nos ossos e rins para manter a medida dentro do ideal. “Normalmente, a doença decorre da destruição das paratireoides, que se localizam na região anterior do pescoço e podem ser removidas acidentalmente em cirurgias no local. Mais raramente, doenças genéticas congênicas ou agressões autoimunes, causadas pelo próprio sistema imunológico da pessoa, podem levar a defeitos das paratireoides e acarretar hipoparatiroidismo.”



© Shutterstock



Dr. Sergio Maeda

De acordo com documento produzido pela Sociedade Brasileira de Endocrinologia e Sociedade Brasileira de Cirurgia de Cabeça e Pescoço para o Projeto Diretrizes da Associação Médica Brasileira (AMB): “é importante conhecer a definição de hipoparatiroidismo para poder incluir esta desordem como diagnóstico diferencial nos pacientes que apresentem quadro clínico ou laboratorial sugestivo de hipocalcemia, principalmente se houver história prévia de cirurgia com manipulação da área anterior do pescoço, como a tireoidectomia.

Os sintomas mais comuns são provenientes justamente da falta de cálcio no sangue, chamada de hipocalcemia, e incluem formigamentos em extremidades e ao redor da boca, câimbras, movimentos musculares involuntários e até mesmo crises convulsivas. “Além disso, hoje são reconhecidos sintomas crônicos, como dificuldade de raciocínio e de concentração”, diz Dr. Ferraz. “Outros sintomas da doença são catarata e arritmias”, complementa o professor de endocrinologia da Universidade Federal de São Paulo (Unifesp), Dr. Sergio Maeda. Ele, que também é presidente do Departamento de Metabolismo Ósseo e

Mineral da Sociedade Brasileira de Endocrinologia e Metabologia (SBEM), ressalta que traumas pós-cirúrgicos de tireoide, paratireoide e neoplasias de cabeça e pescoço são a principal forma para desenvolvimento da doença como consequência da cirurgia no pescoço. “A doença tireoidiana é mais comum em mulheres e, como o número de cirurgias consequentemente é maior, o hipoparatiroidismo pós-cirúrgico acaba sendo mais comum entre elas também.”

Existem ainda alguns casos mais raros de doenças genéticas congênitas – nestes, segundo os especialistas, os sintomas se manifestam desde o início da vida. Já nas situações de agressão autoimune, os sintomas podem aparecer a qualquer momento.

DIA A DIA

O hipoparatiroidismo tem grande impacto sobre a vida dos indivíduos afetados. Sintomas decorrentes da falta de cálcio, que costumam acontecer com mais frequência no início do tratamento até a fase do ajuste da dosagem, mas que podem aparecer em momentos de maior estresse, são bastante incômodos e causam desconforto. Já os sintomas crônicos e as complicações em longo prazo, como calcificação nos rins e no cérebro, podem trazer grande prejuízo à qualidade de vida dessas pessoas. “O intestino é um dos órgãos mais importantes para quem tem hipoparatiroidismo. É por meio dele que as medicações são absorvidas. Em uma diarreia, por exemplo, pode ocorrer a baixa do cálcio no sangue, com piora dos sintomas”, afirma Maeda. Ele comenta que existem medicamentos que podem diminuir a absorção das medicações ou aumentar a perda urinária do cálcio.

O tratamento convencional consiste na reposição do cálcio em grandes quantidades. Para ajudá-lo a ser absorvido no intestino, usa-se também a vitamina D ativa, chamada calcitriol. “O tratamento requer o uso de três a quatro comprimidos por dia, mas, na prática, poucas pessoas aderem com disciplina”, afirma Dr. Ferraz. ●

“

Normalmente, a doença decorre da destruição das paratireoides, que se localizam na região anterior do pescoço e podem ser removidas acidentalmente em cirurgias no local. Mais raramente, doenças genéticas congênitas ou agressões autoimunes, causadas pelo próprio sistema imunológico da pessoa, podem levar a defeitos das paratireoides e acarretar hipoparatiroidismo

Dr. Bruno Ferraz, endocrinologista

”

© Arquivo pessoal



Dr. Bruno Ferraz

Recentemente, segundo Dr. Maeda, foi aprovado nos Estados Unidos o uso de PTH recombinante humano em casos graves. No Brasil, esse tratamento está em fase de aprovação. Para melhorar a qualidade de vida, de acordo com o professor da Unifesp, é fundamental que os pacientes sejam seguidos por especialistas em

endocrinologia que saibam fazer o ajuste correto das doses das medicações, uma vez que tanto a insuficiência quanto o excesso podem trazer complicações em longo prazo. “Seguir o tratamento à risca é de extrema importância para evitar os sintomas e prevenir as complicações com o decorrer do tempo. Para isso, é importante que a pessoa conheça a doença, os sintomas e riscos de complicações e, principalmente, que se comprometa com o tratamento”, ratifica Dr. Ferraz.

PAPEL IMPORTANTE

De acordo com o especialista do HC-FMUSP, a família tem um papel fundamental para o paciente no suporte e incentivo para a aderência ao tratamento. Além disso, os familiares precisam conhecer os sintomas da falta de cálcio para reconhecer situações graves, como convulsões e até mesmo o coma, que podem ocorrer em casos extremos, quando o tratamento não está sendo seguido. “Os serviços de endocrinologia dos grandes hospitais universitários, em geral, congregam a maior parte dos casos, dada a raridade da doença. Entretanto não é incomum pacientes com hipoparatiroidismo serem seguidos em consultórios de generalistas. A importância de ter acesso aos centros de referência é a experiência desses profissionais no manejo da doença e na vigilância das complicações”, atesta o médico.



© Shutterstock

VIVER PARA FAZER O BEM

Pessoa com esclerose múltipla cria associação que se tornou referência na conscientização da doença

Por **FERNANDO INOCENTE**

“ACORDEI UM DIA PARA JOGAR FUTEBOL E PERCEBI QUE O LADO ESQUERDO DO MEU CORPO ESTAVA MAIS PESADO.” Foi assim que o idealizador e fundador da Associação Amigos Múltiplos pela Esclerose (AME), Gustavo San Martin, de São Paulo (SP), teve seu primeiro contato com a doença, levando-o a procurar um médico. A suspeita para esclerose múltipla (EM) ocorreu em 2010, sendo o diagnóstico confirmado em 2011, quando ele estava com 24 anos. Porém, antes de se chegar ao resultado final, alguns médicos chegaram a sugerir outras doenças como câncer e Aids, que foram descartadas.

E foi baseado nesses ‘achismos’ e na demora de um diagnóstico preciso que nasceu a AME. De acordo com San Martin, a Associação trabalha dois pontos fundamentais: ser um local com informações corretas, confiáveis, e mostrar aos pacientes de EM que existe, sim, um horizonte positivo para a vida deles. “Assim que descobrimos a doença, minha mãe acessou um site recheado de informações erradas. Ela começou a chorar, perguntando se eu iria morrer”, conta o fundador da AME, ao comentar que muitas informações sem sentido e curas milagrosas estão presentes aos montes na rede.

Outro motivador para a criação da associação foi uma situação vivenciada por San Martin. Ao fazer uma viagem, o voo atrasou e ele precisava trocar o gelo da medicação de meia em meia hora, pois poderia perdê-la. “Não queriam me deixar embarcar com a bolsa de gelo reutilizável. Tentei recorrer à Agência Nacional de Aviação Civil (Anac), à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e até à Polícia Federal. Tamanha burocracia e demora resultaram na perda do remédio e ainda não me deram certeza de que eu não teria esse tipo de problema ao embarcar em outros voos.”

Dependendo da medicação, o valor pode chegar a R\$ 10 mil, custo que poucas pessoas podem arcar. “Comecei a ver que muitos sofriam também com a falta de remédios. Em determinada ocasião, esse prazo durou duas semanas”, explica San Martin, ao revelar que



© Divulgação

acionou até mesmo a Secretaria de Saúde de seu estado para solucionar a questão. “Nessa época, eu me lembro de ter assistido a uma reportagem sobre um esquema de desvio de remédios de alto custo. Com a repercussão, o hospital onde eu pegava o remédio entrou em contato, dizendo que conseguiria uma caixa para mim. Resolvi contatar uma grande associação de apoio para relatar a situação, mas não deu certo. Então, decidi criar uma associação, para também fiscalizar a falta e o desvio dessas medicações.”

Segundo San Martin, no Brasil, infelizmente, as associações, organizações e institutos atuam, na maioria das vezes, pelos interesses de sua região. Poucas iniciativas, como também é o caso do Instituto Vidas Raras, exercem pressão política. “Acredito que segmentar os pacientes apenas por região é um erro, considerando a qualidade de vida do paciente no Brasil. É preciso ter visão de grupo. Só assim conseguiremos melhorias para a realidade das doenças raras no País”, diz ele, ao explicar que a AME consegue impactar, por meio das redes sociais, cerca de 190 mil pessoas por mês. “Cerca de 1.500 pessoas são atendidas mensalmente pela Associação. Temos um modelo de negócio bem enxuto, focado na eficiência. Contamos com 11 colaboradores,



*Equipe da AME em ações
realizadas pela entidade.*

Ao lado, Gustavo San Martin

que trabalham na AME, e 15 voluntários. Além disso, temos parcerias com outras associações e clínicas de fisioterapia, ressonância magnética, pulsoterapia, entre outras, para facilitar o atendimento.”

SABER VIVER

Hoje, aos 29 anos, o fundador da AME, que é formado em administração de empresas, sabe muito bem viver com a EM. Mas, para que a pessoa consiga ter uma boa qualidade de vida, é preciso, junto ao diagnóstico, definir o médico com quem irá se tratar, pois é necessário ter um relacionamento de confiança. “Felizmente, encontrei um profissional que enxerga o lado humano da questão. Comecei o tratamento convencional, cortei o consumo de bebidas alcoólicas e continuei praticando esportes. Faço o possível para seguir vivendo com qualidade, aceitando as limitações que a doença, por vezes, impõe, mas também fazendo minha parte para seguir vivendo bem.”

A Amigos Múltiplos pela Esclerose cresceu, tornando-se uma das cinco maiores associações de apoio a pessoas com esclerose múltipla do mundo. “Foi uma longa jornada, mas é só o começo. Trabalhar por pessoas que vivem a mesma realidade que a minha fez com que a minha dedicação fosse ainda maior, pois entendo



a importância do que fazemos. É uma espécie de síndrome de Pink e Cérebro [personagens de um desenho]: querer resolver todos os problemas que enfrentamos de uma só vez”, afirma San Martin, aos risos. “Hoje, entendo que é importante me policiar e respeitar meus limites”, admite. Ele namora há quatro anos e sonha em se casar e ter filhos. “Encontrei uma verdadeira parceira. Tenho sorte de contar com uma família e amigos maravilhosos que se preocupam comigo. Assim, o dia a dia se torna mais fácil.”

Diariamente, ele toma uma medicação injetável. O futebol? Continua apaixonado, mas está no DM (departamento médico), como diz a boeirada, pois rompeu recentemente o ligamento cruzado do joelho. Sabe como é, coisas de atleta! ●



VOCÊ SABIA?

- Mundialmente, a EM afeta 2,5 milhões de pessoas. As taxas variam nas diferentes regiões e entre populações distintas;
- Em média, a doença é diagnosticada aos 30 anos, sendo que ocorre duas vezes mais nas mulheres em relação aos homens;
- Em 85% dos casos, a esclerose múltipla é diagnosticada após uma síndrome clinicamente isolada (CIS, sigla em inglês), o que significa que os sintomas aparecem em um episódio único ao longo de vários dias.

Sintomas mais comuns:

39% motores
40% sensoriais
30% fadiga
30% visuais

O diagnóstico inclui também os seguintes sintomas:

Equilíbrio (24%)
Sexuais (20%)
Urinários (17%)
Dor (15%)
Cognitivos (10%)

O curso exato da esclerose múltipla é tão individual quanto cada paciente. Existem três tipos de EM documentados:

1. EMRR

A primeira é a EMRR (esclerose múltipla remitente-recorrente), com 85% dos casos. Ela se apresenta com imprevisíveis surtos, que podem ou não resultar em sequelas.

2. EMSP

Algumas pessoas com EMRR podem vir a desenvolver a EMSP (esclerose múltipla secundária progressiva), que é quando a EMRR passa a não apresentar mais surtos, mas uma progressão da doença e de incapacidades.

3. EMPP

Com 10% dos casos, está a EMPP (esclerose múltipla primária-progressiva), na qual ocorre, desde o início, um aumento constante da incapacidade sem recaídas pontuais.

Fonte: www.amigosmultiplos.org.br

DOENÇAS RARAS SÃO TEMA DE MENSAGEM DO PAPA FRANCISCO

O Papa Francisco enviou aos participantes da XXXI Conferência Internacional no Vaticano uma mensagem em que aborda as doenças raras. O pontífice da Igreja Católica apresentou três reflexões que considera capazes de promover soluções realistas, generosas e sociais para enfrentar as doenças raras e negligenciadas.

1. Toda pessoa enferma merece ser acolhida, tratada e, se possível, curada. Na base de toda iniciativa, deve haver uma vontade corajosa de fazer o bem para resolver esse problema global de saúde, ou seja, a “sabedoria do coração”;
2. A prioridade da Igreja deve ser a de estar em “contínua saída” para testemunhar, concretamente, a misericórdia divina entre os marginalizados que vivem na periferia existencial, socioeconômica, sanitária, ambiental e geográfica do mundo;
3. Toda pessoa enferma deve ter acesso à assistência sanitária, independentemente de fatores socioeconômicos, geográficos e culturais. A razão de tudo isso parte de três princípios fundamentais da Doutrina Social da Igreja: sociável, subsidiário e solidário.

© Shutterstock



OFICINA OFERECE SUPORTE TÉCNICO EM DECISÕES DE SAÚDE

Em 7 de novembro, aconteceu em São Paulo (SP) a primeira Oficina para Suporte Técnico aos Magistrados em Decisões de Saúde. A iniciativa é resultado de um termo de cooperação técnica firmado entre o Conselho Nacional de Justiça (CNJ) e o Ministério da Saúde para auxílio em ações judiciais relacionadas à saúde. Presente no evento, a presidente do Supremo Tribunal Federal (STF), Cármen Lúcia, disse que a falta de informação técnica deixa os magistrados sem base para tomar decisões. Muitas vezes, eles decidem sem saber exatamente qual o papel de determinado medicamento no tratamento.

Na opinião da juíza, os magistrados devem tomar decisões independentemente das pressões envolvendo os custos com os tratamentos determinados pela Justiça. “A Constituição diz que é garantido o direito à saúde. Eu entendo que a medicina pode oferecer uma alternativa para essa pessoa viver com dignidade. Convenhamos, a dor tem pressa.”

Entre os temas abordados na Oficina - que teve parceria com o Hospital Sírio-Libanês -, estiveram a elaboração e padronização de pareceres e notas técnicas. Além de promover o encontro, o Hospital criará um banco de dados com informações técnicas para subsidiar os magistrados, em conjunto com o CNJ. As informações também poderão ser usadas pelos núcleos de apoio criados para atender juízes e desembargadores que precisarem decidir sobre questões relacionadas ao SUS.

CONHEÇA A DOENÇA DE MACHADO-JOSEPH

Você já ouviu falar sobre Machado-Joseph? Também conhecida como ataxia SCA3, a DMJ é uma doença neurológica rara, hereditária e crônica, que compromete a coordenação motora, causa desequilíbrios, dificuldades para falar e engolir, visão dupla (diplopia), rigidez dos membros e atrofia muscular, entre outros sintomas. Embora graves, os sinais da doença de Machado-Joseph são sutis no início, o que pode levar a um diagnóstico tardio.

Apesar de não existirem medicamentos específicos para o tratamento da DMJ, é possível melhorar o quadro clínico da doença com uso de medicação. Além disso, é necessária uma equipe multidisciplinar de apoio fundamental para melhorar a qualidade de vida dos pacientes com a doença. No País, a Associação Brasileira de Ataxias Hereditárias e Adquiridas (ABAHE) congrega os portadores de ataxias hereditárias (recessivas e dominantes) e adquiridas, amigos, parentes e cuidadores, representando-os e oferecendo informações sobre orientações e tratamentos. Saiba mais em: abahe.org.br.

Instituto Vidas Raras (APMPS-DR) e ABRAM se reúnem com Ministro do STF

O Instituto Vidas Raras e a Associação Brasileira de Mucoviscidose (ABRAM) se reuniram com o Ministro do Supremo Tribunal Federal (STF), Ricardo Lewandowski, em 24/11. De acordo com as representantes do Instituto Vidas Raras, Regina Próspero e Amira Awada, o ministro foi cordial e recebeu bem as duas entidades. “Levamos a ele a nossa angústia de um processo parado, sem perspectiva de nova chamada. Falamos também com outros ministros que, igualmente, nos deram atenção. Sementes plantadas, esperança renovada, dossiês muito bem construídos pela ABRAM e pelo Instituto Vidas Raras. Aguardemos. Levamos cada um de vocês conosco.”



© Divulgação

GRUPO APOIA PESSOAS COM DOENÇAS DEGENERATIVAS DA RETINA

Consideradas as causas mais comuns da perda de visão na população ativa, as doenças da retina podem causar um grande impacto na qualidade de vida. O Grupo Retina SP tem como missão dar apoio aos pacientes com doenças degenerativas da retina como a degeneração macular relacionada à idade (DMRI), retinose pigmentar, doença de Stargardt, síndrome de

Usher e demais distrofias de caráter hereditário.

O grupo trabalha para incentivar o desenvolvimento das pesquisas para o tratamento e cura dessas doenças, além de informar sobre o avanço das pesquisas, orientar sobre recursos existentes e facilitar o acesso aos tratamentos.

Visite o site: gruporetina.org.br.

Criado comitê na ONU sobre as DRs

Uma conquista muito importante na luta pelos direitos das pessoas com doenças raras: a criação do Comitê de Doenças Raras formado pela Organização das Nações Unidas (ONU). Por meio da Organização, o Comitê de Doenças Raras apoiará e encorajará ações para elevar as doenças raras como uma prioridade na saúde pública global, além de pesquisa, cuidados médicos, assistência social e integração social.

Os principais objetivos do Comitê são promover a visibilidade e compreensão sobre as doenças raras; advogar sobre a questão dos raros, reunindo diversos atores sociais com a comunidade internacional de ONGs, agências da ONU, governos, pesquisadores, acadêmicos e setor privado; atuar na coleta e compartilhamento de informações precisas sobre doenças raras e os

desafios associados a elas, além das necessidades não atendidas, servindo como fonte de informação para as partes constituintes dentro do sistema das Nações Unidas.

A comunidade brasileira será representada no Comitê da ONU pela presidente da Raríssimas Portugal, vice-presidente e representante da Aliber e vice-presidente da Raríssimas Brasil, Paula Brito e Costa. “Não é fácil criar um grupo dentro das Nações Unidas – esse é um lugar sério com uma missão séria que deve ser protegida. Hoje, a comunidade rara faz história quando um comitê global é inaugurado e não pertence a qualquer doença rara específica ou organização de doenças raras, mas a todos, em qualquer lugar”, disse Paula.

Saiba mais sobre o Comitê:
ngocommitteerareddiseases.org.



© Divulgação

#TODOS
PELOS
RAROS

Pulseira com pingente Árvore da Vida
Uma bijouteria que vale uma Jóia!

Adquira a pulseira pelo e-mail: apmps@apmps.org.br



SECRETARIA DA SAÚDE DE SP E MINISTÉRIO PÚBLICO PROMOVEM EVENTO SOBRE S-CODES

Em 7 de novembro, o Instituto Vidas Raras participou do evento que firmou o termo de cooperação entre a Secretaria de Estado da Saúde de São Paulo e o Ministério Público Estadual para apurar irregularidades em decisões judiciais que envolvem tratamentos de alto custo. Participaram do encontro o secretário de Saúde de São Paulo, David Uip; o procurador-geral de Justiça do estado de São Paulo, Gianpaolo Poggio Smanio; e o governador do estado de São Paulo, Geraldo Alckmin.

O acesso às informações das ações judiciais será feito por intermédio de um sistema informatizado, o S-Codes, desenvolvido pela Secretaria da Saúde. O sistema armazena todas as ações judiciais ativas impetradas contra a Secretaria e permite conhecer os diferentes dados que permeiam a questão.

De acordo com a assessoria de imprensa da Secretaria de Estado da Saúde, a cooperação também prevê a possibilidade de promoção de cursos e o apoio técnico com informações bibliográficas, legislativas e jurisprudenciais.



© Divulgação

ENTIDADES SE REÚNEM PARA DEFENDER DIREITOS DE DOENTES CRÔNICOS



Representantes de entidades de vários estados brasileiros se reuniram no auditório da Defensoria Pública de São Paulo para discutir a continuidade da oferta de medicamentos de alto custo pelo Sistema Único de Saúde (SUS) para pessoas com doenças raras ou graves. A reunião teve como objetivo principal a elaboração de diretrizes para compor a defesa dos doentes crônicos nas ações propostas pelos governos do Rio Grande do Norte e de Minas Gerais, em trâmite no Supremo Tribunal Federal (STF).

Em mensagem, o Instituto Vidas Raras disse ser de vital importância a participação de todos os interessados diante da grave ameaça aos direitos daqueles que necessitam de tratamento contínuo. “Agradecemos às associações parceiras que aceitaram nosso convite e vieram de outros estados para advogar conosco. Às associações que se colocam sempre à disposição para ajudar seu próximo e seu assistido, nosso muito obrigado.”

ESSA É A HORA DE DAR VOZ ÀS DOENÇAS RARAS!

Apoie a revista
Vidas Raras.

Para anunciar,
entre em contato com
o nosso departamento
comercial pelo email
comercial@rspress.com.br
ou pelo telefone (11) 3875.6296



**VIDAS
RARAS**

 **rspress**
editora



ANJOS QUE FAZEM A DIFERENÇA

Meses após o nascimento da Larissa, começamos a notar que havia algo diferente com ela, mas foram várias visitas a médicos e não conseguíamos encontrar ao certo o que ela tinha. Até que, em uma manhã de domingo, estávamos saindo de uma missa quando um verdadeiro anjo enviado por Deus veio falar comigo e disse que a Larissa tinha as mesmas características de um sobrinho seu.

Confesso que não dei muita importância para o assunto naquela hora, mas no dia seguinte acabei encontrando novamente esse anjo, que insistiu que podia me ajudar.

Uma semana depois, essa pessoa me apresentou sua irmã – mãe da criança com MPS. Conversamos muito sobre o assunto e elas me ajudaram a levar minha filha para Ribeirão Preto. Lá, foram feitos vários exames, até que finalmente conseguimos descobrir o que ela tinha.

Tenho certeza de que essa história que contei resumidamente parece muito com a de muitos pais que têm filhos com doenças raras. E essa história realmente marcou nossas vidas, pois não é todo dia que encontramos pessoas dispostas a ajudar da maneira que elas fizeram. Nem sei o que poderia ter acontecido com minha filha se esse anjo não tivesse aparecido.

Assim que descobrimos o que a Larissa tinha - MPS tipo 1 -, a presidente da APMPS-DR, Regina Próspero, nos deu todo o suporte necessário. Hoje, a Larissa tem nove anos e se encontra bem. A doença acabou trazendo algumas limitações, porém, ela é uma criança muito alegre - alegria essa que contagia todos que convivem com ela.



© Arquivo Pessoal



Cristiana Rocha Furlan e Luis Carlos Furlan, pais da Larissa Beatriz Furlan

Gostaria de agradecer à APMPS-DR por todo o apoio durante todos esses anos. Minha família sabe muito bem o quanto foi importante ter conhecido a Associação e pessoas que fizeram diferença na vida da minha filha. Obrigada de coração e parabéns pelo lindo trabalho que realizam

MULTICARE

COMPROMETIMENTO COM QUEM PRECISA DE MEDICAMENTOS ÓRFÃOS.

PARA MUITOS PACIENTES, O ACESSO A UM MEDICAMENTO IMPORTADO É A ÚNICA OPÇÃO. A MULTICARE EXISTE PARA OFERECER A ESTES PACIENTES O ACESSO AOS TRATAMENTOS DISPONÍVEIS EM QUALQUER PARTE DO MUNDO, DE FORMA ÁGIL, RESPONSÁVEL E EFICIENTE.



MONITORAMENTO ATIVO das demandas de medicamentos importados pelas Agências Governamentais.



COMPROMETIMENTO com os mais altos padrões de Compliance e Conduta Ética nos negócios.




ESTUDO DE VIABILIDADE para novos produtos, incluindo investigação de mercado e consultoria médica especializada.



multicare
Pharmaceuticals
www.multicarepharma.com





Eles não podem esperar
pelo dia em que terão
opções de tratamento,
e nós também não.

A **Pfizer** investe em pesquisa e desenvolvimento de tratamentos inovadores para atender cada vez mais pessoas, especialmente quando a vida apresenta grandes desafios, como é o caso das doenças raras.

Porque nosso **compromisso é com a saúde e bem-estar de todos**, isso é **respeito pelas pessoas**, por isso buscamos sempre inovação para avançar na prevenção e em tratamentos cada vez mais seguros, eficazes e de qualidade, seja qual for o obstáculo.

PP-BEN-BRA-0010 - Novembro/2016

Pfizer Doenças Raras