



FEDERAÇÃO BRASILEIRA
DE HEMOFILIA



JUNTOS PELA HEMOFILIA

da Federação Brasileira de Hemofilia

ABERTURA

A abertura da primeira edição do Juntos pela Hemofilia se deu com a fala da Regina Cury, agradecendo a presença de todos em nome da Federação Brasileira de Hemofilia, Casa Hunter. Em nome dos citados anteriormente, ela também agradeceu aos que acompanharam o evento pela live no Facebook da Federação Brasileira de Hemofilia. Afirmou também que o dia seria de trabalho intenso, com palestras, debates e muito aprendizado.

Informando que o evento é uma realização da FBH com o apoio da Casa Hunter, Regina reforça que são duas instituições renomadas e com muita tradição na atenção ao paciente e com muitas políticas públicas. Ambas com anos de prestação nos serviços e trabalhos para melhoria da qualidade de vida de seus pacientes.

Agradecendo, dessa vez, aos patrocinadores que possibilitaram a realização do evento. Reforçando que os organizadores do evento estão sempre atentos às políticas de inclusão social, Regina informou que a FBH e a Casa Hunter solicitaram à Secretaria da Pessoa com Deficiência a tradução integral do evento para Libras. Em nome destes, ela agradeceu também à Prefeitura da Cidade de São Paulo pela parceria.

Após a apresentação, Regina Cury chamou os dirigentes e convidados que seriam os responsáveis por abrir oficialmente o evento: Tania Maria Onzi Pietrobelli, presidente da Federação Brasileira de Hemofilia, Antoine Daher, presidente da Casa Hunter e da Febrararas (Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras), Marinalva Cruz, secretária adjunta da Secretaria Municipal da Pessoa com Deficiência da Cidade de São Paulo, representando o secretário, Cid Torquato, Dr. Flávio Francisco Vormitagg, coordenador-geral de Sangue e Hemoderivados do Ministério da Saúde, Cecília Magalhães Pinto, presidente do Centro de Hemofílicos do Estado de São Paulo, Dr. Dimas Tadeu Covas, diretor do Instituto Butantan e diretor administrativo da Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH), Paulo Roberto Amaral Vieira, diretor do Departamento de Políticas Temáticas dos Direitos da Pessoa com Deficiência e o intérprete de Libras Diego Ramos Henrique.

Com todos dispostos em suas cadeiras, Regina chamou Tania Maria Onzi Pietrobelli para dar as boas-vindas.

Tania Maria Onzi Pietrobelli

Cumprimentando todos os presentes com um bom-dia, Tania Maria iniciou sua fala agradecendo a presença de todos, agradeceu aos participantes da mesa de abertura, ressaltando que nela estavam pessoas extremamente importantes para a hemofilia. Agradeceu a parceria de Antoine Daher, presidente da Casa Hunter, que, de acordo com Tania, ajudou a fazer com que o evento acontecesse.

Agradeceu também a presença de todas as associações do Brasil, filiadas à Federação Brasileira de Hemofilia, agradeceu aos patrocinadores e aos palestrantes por terem aceito participar do Juntos pela Hemofilia e informou que são pessoas capacitadas e que todos aprenderão muito com eles, tendo uma troca de conteúdos extremamente interessante.

Tania também pediu atenção ao evento. Disse que quem não pudesse estar presente estaria convidado a assistir pelo

Facebook da FBH, para que todos saíssem capacitados e mais conscientes de suas responsabilidades porque, de acordo com ela, essa responsabilidade não é exclusiva do governo, do tratador ou do paciente, mas de todos juntos.

A presidente da FBH reforçou que hoje o Brasil tem um tratamento adequado para todos, e todo tratamento de hemofilia é disponibilizado pelo SUS, então é papel dos presentes fazer com que esse tratamento chegue a todos. Ela afirmou que, depois desse evento, ela tem certeza que muitas coisas irão melhorar em relação ao acesso, finalizando sua fala desejando a todos um bom proveito do evento.

Naquele momento, iniciou-se um vídeo institucional sobre a Federação Brasileira de Hemofilia e o tratamento da doença, com o depoimento da presidente da Federação, especialistas, pacientes e pais de pacientes, que ao final foi aclamado com palmas.

Antoine Daher

Daher começou sua fala desejando a todos um bom dia e afirmando ser uma honra estar no evento com todos os presentes. Cumprimentou todos os componentes da mesa de abertura e disse à Tania que essa parceria honra muito a Casa Hunter porque a luta incansável da presidente da FBH fez com que todos aprendessem muito e eles continuam aprendendo até hoje. Parabenizou Tania pelo seu trabalho e pela luta ética em prol dos pacientes.

De acordo com Daher, a hemofilia, como a maioria as doenças raras - 80% delas - são de ordem genética, hereditárias e hoje, graças aos avanços tecnológicos, é possível falar sobre terapia gênica, que há 10 ou 15 anos era impossível enxergar a cura ou pelo menos a tentativa de cura para esses tipos de doenças.

Daher informou ter uma boa notícia, contando que há 10 dias houve pela primeira vez no mundo a aprovação do FGA para a primeira terapia gênica para a doença rara AME, nos Estados Unidos. Segundo Daher, isso possibilita que os especialistas brasileiros sonhem mais, que trabalhem mais procurando pela cura da hemofilia e outras doenças raras de uma forma efetiva. Ele reforçou que isso deve ser trabalhado com uma comunidade científica para ter sustentabilidade.

Ele conta que todos falam que doenças raras custam muito caro, mas as novas tecnologias em si custam caro, só

que o governo precisa enxergar que até para tratar as doenças comuns daqui a cinco ou 10 anos, precisará de genética. Então, segundo ele, o caminho é a genética, o mapeamento de DNA, mapeamento para tratar todas as doenças, não somente as doenças raras, mas também as doenças comuns.

Daher usou como exemplo uma empresa que já está fazendo pesquisa clínica para diabetes tipo 1 na terapia gênica, procurando curar essa diabetes com a terapia gênica. Isso comprova que o caminho é o investimento certo em genética. Ainda sobre custos, ele disse que como hoje são para poucas doenças, mas daqui a pouco será para muitas, o que barateará o custo e por isso eles pedem ao governo e Ministério da Saúde para serem proativos e enxergar esses tipos de doenças não apenas como um gasto, mas sim um investimento para o futuro. É preciso decidir onde queremos estar daqui a 10 anos na saúde e na medicina. Queremos ter uma medicina avançada com todas as tecnologias ou uma medicina precária? Para ele, é essa a atitude que o governo deve tomar para que todos tenham uma saúde digna a todos os brasileiros e um acesso democrático para todos.

O presidente da Casa Hunter tornou a agradecer a oportunidade de estar presente na primeira edição do Juntos pela Hemofilia e desejou a todos um bom proveito do evento.

Paulo Roberto Amaral Vieira

Vieira iniciou sua declaração dando bom dia a todos e relatando que o evento é de extrema importância, parabenizando a organização do evento e a presidência porque era um dia de todos adquirirem muita informação sobre a hemofilia e essas informações adquiridas seriam levadas para a vida.

Ele informou que está presente com a amiga Tania, que está na luta há muito tempo. Não só ela, mas todos que estão presentes em parceria para conseguir evoluir juntos na luta. Vieira também informou que ficou muito contente em se encontrar com a Tania pela primeira vez no evento e que ele descobriu que ela também fala a língua de sinais, então eles conseguiram se comunicar e isso o deixou feliz e emocionado.

Vieira informou que é surdo e tenta mostrar ao Brasil a necessidade de Libras. Ele informou que em São Paulo existe a Central de Intérprete de Libras, então qualquer atendimento que for necessário em um hospital ou até mesmo relacionado

à hemofilia, os participantes podem contactar a central para ter esse atendimento.

O diretor do Departamento de Políticas Temáticas dos Direitos da Pessoa com Deficiência aproveitou para apresentar seu amigo que estava presente: Paulo Camargo, que tem um filho que também é hemofílico. Ele questionou como Camargo se comunicaria em um ambiente de saúde sobre o atendimento, sobre a doença do filho dele, então ele reforçou que está tentando disseminar isso para o Brasil para que todos possam evoluir juntos.

Vieira relatou que estava presente no evento substituindo a secretária Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência, Priscila Gaspar. Ele contou que há pouco tempo a secretária estava em Nova Iorque em uma reunião na ONU e isso deu muita visibilidade para a comunidade surda e para o mundo, porque é uma pessoa surda no alto escalão do governo e isso também foi uma inovação nes-

se governo. Então ele reforçou que em Brasília eles estão trabalhando muito, que os departamentos já estão organizados e está sendo criada uma coordenação de doenças raras, assim como o Ministério da Saúde também tem essa coordenação que, de acordo com ele, é mais um motivo para trabalharem em parceria.

Ainda sobre projetos, ele mencionou que a partir da parceria e da criação da coordenação, poderão também chamar o presidente da Casa Hunter para que o objetivo possa ser disseminado para o Brasil porque quando se fala em doenças

raras, é compreensível pensar que o tratamento é caro, mas se descobrirmos doenças precocemente, esse investimento pode se tornar mais barato do que imaginamos.

Ele finalizou sua fala agradecendo a todos os presentes que participaram do Juntos pela Hemofilia, e disse que gostaria de mostrar a todos um sinal de Libras. Ao fazer o gesto com a mão, ele contou que o sinal vem do inglês “we love you” e quando juntando os três sinais fica “I love you”, que significa “eu te amo”. Novamente agradeceu a todos e desejou um bom-dia e bom evento.

Dr. Dimas Tadeu Covas

Em nome da ABHH, Dr. Dimas Tadeu Covas disse ser uma satisfação enorme estar presente no 1º Juntos pela Hemofilia e que tinha a impressão de estar no evento porque é uma das testemunhas vivas. Contou que ingressou na faculdade de medicina em 1976 e naquela época os hemofílicos contavam com transfusão de plasma e não existia nenhum tipo de organização, nenhum tipo de política pública para o tratamento dos hemofílicos. Ele ainda disse que, felizmente, depois de tanto tempo, hoje há um programa, mesmo que não seja ainda o ideal, mas que os hematologistas sofreram junto com os pacientes, junto com a associação.

Ele mencionou que Maria Cecília, que estava presente no momento, também é da época em que os especialistas dividiam angústias. E ele acha que tanto a comunidade de mé-

dicos, a comunidade cientistas, de pesquisadores e comunidade dos pacientes, das associações têm que, cada vez mais, estar trabalhando juntos, estar trabalhando em consecução de objetivos muito definidos.

Dr. Covas opinou que estamos em uma época propícia, estamos sofrendo mudanças do ponto de vista político e ele diz achar que é hora de avançarmos na área de tratamento das coagulopatias de forma geral e das doenças raras, como o presidente da Casa Hunter mencionou.

O especialista afirmou ser uma satisfação enorme estar presente no evento e espera que o Juntos pela Hemofilia seja a base para que os avanços propostos possam acontecer. Finalizou sua fala agradecendo o convite e dizendo esperar que todos tivessem um bom encontro.

Maria Cecília de Magalhães Pinto

Desejando um bom-dia a todos e agradecendo o convite e a oportunidade de participar do evento e da estrutura dele, Maria Cecília continuou dizendo acreditar que nos últimos quarenta anos, e de acordo com ela pode falar com certeza porque em 2019 ela completou 40 anos de trabalho voluntário com a hemofilia, os especialistas assistiram, como o Dr. Covas falou, a todo tipo de situação e sofreram juntos.

Para ela, a comunidade e de pacientes se uniram para lutar junto às autoridades de saúde. Não brigar com as autoridades, mas lutar demonstrando as fragilidades, as dificuldades, para construir uma política porque, de acordo com ela, apenas uma política nacional pode atender a todos os pacientes.

Segundo Maria Cecília, no decorrer dos anos tivemos o privilégio de a Constituição de 88 construir o SUS que, com

dificuldades, com problemas, mas ainda assim é a maior conquista do povo brasileiro. Maria ainda afirmou que é o processo mais democrático que dá acesso a todo e qualquer paciente ao tratamento igualitário. Ela também reforçou que igualitário não é tratar todos da mesma forma, mas sim tratar todos de forma igual, respeitando a individualidade de cada um.

Complementando sua fala anterior, ela reforçou que estão no momento de ultrapassar, de dar outro salto porque a vida é cíclica e passamos por várias etapas, demos saltos, e agora é um salto para o futuro, e o futuro são as novas tecnologias, as novas terapias, e ela deseja que o Juntos pela Hemofilia impulse a todos e incentive a todos. Concluindo, ela agradeceu novamente e se despediu da plateia.

Flavio Francisco Vormittag

Dr. Vormittag desejou um bom-dia a todos os presentes e agradeceu o convite para participar do Juntos pela Hemofilia e afirmou acreditar que esse seria o primeiro de muitos. Saudou a todos os colegas da mesa e informou que a coordenação geral de sangue e hemoderivados tem o privilégio de ter uma organização já de alguns anos e que já vem funcionando, de acordo com ele, de forma bastante adequada, conseguindo prover o tratamento para a totalidade dos pacientes do SUS cadastrados em sua base.

Segundo Vormittag, a hemofilia é tecnicamente uma doença rara pela sua incidência, entretanto, graças a essas políticas temos a felicidade de ter um tratamento bastante adequado para a população de pacientes.

Para ele, é importante que todos tenham a cooperação, colaboração e parceria com as entidades de pacientes que, representados pela Tania, presidente da Federação Brasileira de Hemofilia, e também da comunidade científica, que estava representada pelo Dr. Dimas Covas, da ABHH. De acordo com Vormittag, essas parcerias são importantes para que se consiga avançar. Parafraseando a presidente da FBH em seu vídeo introdutório, Vormittag disse que não é só a parte técnica que resolve tudo, temos que ter outras forças, políticas, de sensibilização, congressistas, para que continuemos avançando.

Ele também informou que em sua área de coordenação há o teste do pezinho que está também muito focado da detecção de doenças raras, detectando hoje seis doenças, mas tem sido constantemente desafiado à incorporação de novos testes.

Na ocasião, ele reforçou que a operação de novos medi-

camentos, novos testes, todas as novas tecnologias na área de saúde são submetidas e avaliadas pela CONITEC, que é a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS, onde vários aspectos são avaliados, tanto da parte médico-científica quanto segurança e eficácia, como também das questões econômicas, a questão custo-efetividade. Ele relatou que há várias empresas que submeteram com sucesso vários medicamentos que foram incorporados e eles estão sempre trabalhando dentro do Ministério da Saúde para conseguir incorporar dentro de um orçamento que todos sabem que é limitado, mais agora do que nunca, de acordo com Vormittag, explicando que nos próximos 20 anos o teto de gastos está congelado.

Para ele, a boa gestão leva sempre a novos negócios, tendo a sensibilidade de muitos fornecedores no sentido de que possam proporcionar os tratamentos para o maior número de pacientes, ou, melhor do que tudo, a 100% dos pacientes que precisam. Então, ele completou, todas essas parcerias, tanto as de pacientes quanto da academia, como dos outros agentes, inclusive agentes econômicos privados que tem que ter uma parceria. Segundo ele, não existe mais aquela questão de que o parceiro privado está presente apenas para ganhar, faturar e ter lucro. Eles têm que faturar e ter lucro, isso é normal para qualquer empreendimento privado, ele informou. Mas a parceria tem sido constante e ela é uma parceria de vários atores, o que é muito importante.

Ao final, ele agradeceu mais uma vez o convite e desejou sucesso a todos durante as atividades.

Marinalva Cruz

Marinalva iniciou sua fala desejando a todos um bom-dia e informando que, em nome do secretário Cid Torquato, ela gostaria de agradecer imensamente o convite, especialmente à Tania e ao Antoine, que tem sido um parceiro importante para a Secretaria Municipal da Pessoa com Deficiência, agradeceu também aos demais componentes da mesa.

Segundo ela, a Secretaria Municipal da Pessoa com Deficiência da Cidade de São Paulo é um órgão que existe para interlocução principalmente dentro das outras Secretarias, mas que também depende e conta muito com o trabalho da sociedade civil e das instituições que atendem não só pessoas com deficiência, mas pessoas com doenças raras.

Na Secretaria, existem grupos de trabalhos para discutir o tema e recentemente, ela quis compartilhar com todos, uma lei foi aprovada no primeiro semestre de 2019 que cria o Programa de Atendimento às Pessoas com Doenças Raras na cidade de São Paulo.

Na opinião de Marinalva, essa é uma lei muito importante e sempre falam que o ideal é que não tivessem novas leis e que pudessem atender todos da mesma maneira, mesma qualidade, lembrando que, como já foi mencionado pela Cecília, igualdade de tratamento não quer dizer necessariamente equidade. Então, ainda segundo sua opinião, precisamos da igualdade de oportunidades, inclusive de atendimento, medicação e tudo mais, porém temos que

respeitar e garantir a equidade porque cada pessoa é uma e por mais que a patologia seja a mesma, não necessariamente os cuidados do tratamento e todo o resto vai ser igual para todo mundo.

Voltando a explicar a lei criada, ela afirmou que muitos pontos dessa lei são importantes, mas quis destacar dois: um que é capacitação, o quanto é importante que as pessoas tenham informação, tanto na parte da educação quanto nas famílias, os próprios pacientes e disseminar as informações para que as pessoas consigam ajudar umas às outras e também saber como lidar em determinadas situações; o outro ponto importante quando se fala de doenças raras no nosso país é, segundo ela, muitos dados não existem de quantas são as pessoas, no caso da hemofilia, por exemplo, ela citou, já tem um trabalho de muitos anos e hoje a gente consegue mensurar isso com mais precisão, mas existe uma série de outras doenças raras que ainda não evoluíram para chegar no ponto de conhecimento, tratamento e tudo mais. Então, ela continuou, esse é um ponto que também está colocado na legislação e ela espera que isso não fique apenas em São Paulo, mas que vá para o Brasil e o mundo todo.

Para ela, é importante que esses dados sejam cada vez mais precisos, para que consigamos não só no município, mas em outras esferas também criar políticas públicas em parceria com comunidade civil, área acadêmica e instituições para trazer mais qualidade de vida para pessoas com deficiência.

Ela explicou que a Central de Intermediação e Libras, que Paulo Vieira mencionou, é um serviço da Secretaria de São Paulo que se você conhece pessoas com deficiência auditiva, pessoas surdas ou pessoas surdas cegas que muitas vezes não conseguem ser atendidas em diferentes tipos de serviços na cidade porque falta essa comunicação, porque existe essa barreira na comunicação, a Central de Intermediação e Libras é um serviço que pode auxiliar toda essa população nesses serviços públicos disponíveis na cidade de São Paulo. Ela explicou também que para acessar o serviço, basta baixar o aplicativo no celular, seja smar-

phone, iOS, Android, qualquer sistema operacional e a hora que a pessoa surda ou a pessoa com deficiência auditiva chega em um consultório, ela aciona o intérprete de Libras, faz uma espécie de videochamada e do outro lado vai ter um intérprete de Libras, como a gente tem aqui (ela citou o intérprete do evento) fazendo essa tradução para que essa pessoa seja atendida com a mesma qualidade que as outras pessoas. Ela contou também que além de estar disponível no celular, a Central também funciona de duas outras formas: presencial nos lugares onde tem a instalação do serviço, e também tem o atendimento in loco, que é no caso de uma pessoa surda cega, o aplicativo não serve para essa pessoa, então nesse caso ela agenda o atendimento por e-mail ou via WhatsApp e no dia da consulta, audiência, seja qual for o serviço, um guia intérprete vai junto com ela para fazer essa interlocução entre o profissional que está lá no serviço e esse cidadão. Então, ela continuou, essas duas experiências são trabalhos que não são frutos da Secretaria Municipal da Pessoa com Deficiência, mas de todo um grupo de pessoas e com certeza eventos como esse contribuem para que mais políticas públicas sejam criadas na cidade para trazer mais qualidade de vida para todas as pessoas.

Novamente em nome do Secretário Cid Torquato, ela agradeceu o convite, a oportunidade de estar no evento, informando que estar em eventos como aquele é sempre muito gratificante e ela tem certeza que o Juntos pela Hemofilia não seria diferente e que todos sairiam de lá melhores do que entraram e com mais conhecimento e informação para poder compartilhar com uma população inteira, que nem sempre tem a oportunidade que eles têm de estar ali compartilhando e aprendendo.

Ela afirmou acreditar que essa seria também a responsabilidade dos presentes: transmitir o conhecimento para que mais pessoas tenham a informação e mais pessoas possam ajudar mais pessoas e assim ir criando e fortalecendo essa rede do bem.

Novamente ela agradeceu e desejou um ótimo dia a todos.



APRESENTAÇÕES

- 1. DR. DIMAS TADEU COVAS**
Diretor do Instituto Butantan e Diretor Administrativo da Associação Brasileira de Hematologia e Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH)
- 2. DR. FLAVIO VORMITAGG**
Coordenador-geral de Sangue e Hemoderivados do Ministério da Saúde
- 3. DRA. MARGARETH OZELO**
Diretora da Divisão de Hematologia do Departamento de Clínica Médica, FCM UNICAMP

PERGUNTAS

DR. DIMAS TADEU COVAS

Diretor do Instituto Butantan e Diretor Administrativo da Associação Brasileira de Hematologia e Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH)

O palestrante foi convidado a falar sobre a Hemorrede e seu papel dentro do Sistema Único de Saúde (SUS) durante a primeira edição do Juntos pela Hemofilia.

De acordo com a fala do Dr. Covas, antes da década de 1980 não se falava em um Sistema Único de Saúde (SUS), existiam ações chamadas Ações Integradas de Saúde e depois o Sistema Unificado Descentralizado de Saúde (SUDES) e em 1986 aconteceu a 8ª Conferência de Saúde, que deu força à ideia de ter um Sistema Único de Saúde, o que resultou na Constituição de 88 com a criação de fato do SUS.

O doutor também lembrou pontos relevantes ao assunto, como o fato de que existem fatores que influenciam na transmissão de doenças infecciosas pelas transfusões de sangue e hemoderivados, como a ausência de uma Política Nacional de Sangue e Hemoderivados, a ausência de doadores “seguros” e o uso desnecessário e transfusões. Dr. Covas também comentou cada tópico e afirmou que a ausência de uma política é fator de risco para que doenças sejam transmitidas tanto pelo sangue e componentes quanto hemoderivados.

Tendo como base a Organização Mundial da Saúde (OMS), Dr. Dimas Covas citou que o sangue é um recurso nacional estratégico, sendo responsabilidade do governo assegurar que o suprimento de sangue e hemoderivados seja seguro, adequado para atender às necessidades dos pacientes e disponível. Para Dr. Covas, isso se trata de políticas públicas. Quando se fala de tratamento de pacientes hemofílicos, isso implica em política pública, e política pública nos remete então ao SUS.

Utilizando como exemplo um gráfico que apresenta números de casos de Aids no Brasil desde 1991 a 2017. De acordo com a apresentação, no início 8% dos pacientes transfundidos e dos hemofílicos, isso chegou a 60%, foram contaminados pelos vírus HIV e também, na época,

hepatite, que era chamada de hepatite não A e não B. Dr. Covas também afirmou que isso ainda não parou de acontecer, informando que até 2018 houve notificações de pacientes hemofílicos e pacientes transfundidos infectados pelo HIV.

Com relação ao SUS, Covas explicou sua base legal, passando pela Constituição Federal de 88, a Lei 8.080 de 1990 e sua característica de composição pelas três esferas de poder: Federal, Estadual e Municipal, ressaltando que estas são esferas independentes e não existe subordinação de uma esfera em relação à outra. Ele também ressaltou ser importante que todos entendam esse fato, uma vez que em diversos casos colocam a responsabilidade na esfera federal, mas o município em que estão é a primeira instância. O Estado e o Governo Federal também participam, mas é uma responsabilidade solidária, de acordo com o especialista. Existem também os Conselhos Decisórios, que são: Conselho Municipal de Saúde, Conselho Estadual de Saúde e Conselho Nacional de Saúde. Para Dr. Covas, é comum que procurem o Conselho Nacional de Saúde, mas raramente procuram o Conselho Municipal e Estadual.

Ele afirmou que o sistema foi bem pensado, mas não é usado na sua total extensão e muitas vezes é “mal falado” com expressões como “O SUS não funciona” e questiona essa fala, dizendo que talvez a comunidade não esteja usando as instâncias que existem na lei à sua disposição. Ele também lembrou a todos que o Conselho Nacional de Saúde é a instância máxima de deliberação, está na lei que ele tem como missão a fiscalização, deliberação, acompanhamento e monitoramento de políticas públicas de saúde; e os Conselhos Estaduais e Municipais têm as mesmas atribuições em seus respectivos níveis.

Quando o palestrante fez uma espécie de questionamento sobre o Conselho Nacional ser “politicamente aparelhado”, ele mesmo respondeu: devemos nos questionar quem aparelha

politicamente o Conselho. Somos nós? É essa a pergunta que deve ser feita.

Retomando o tópico de instâncias, Dr. Covas afirmou que também existe uma outra instância pouco utilizada, a Comissão Intergestores Tripartite (CIT). Ele explicou que essa comissão de chama Tripartite porque fica em Brasília e é onde se reúnem os executores do SUS, os executores do nível federal, do nível estadual e do nível municipal, os secretários e o ministro. De acordo com a fala de Covas, nessa Comissão ninguém é subordinado a ninguém, ela é paritária, e ainda de acordo com ele, sua função é definir diretrizes, estratégias, programas, projetos, alocação de recursos. É lá que se discute orçamentação, passagem de dinheiro do nível federal para o nível estadual e para o nível municipal, o que se vai remunerar em termos de procedimento. O especialista ainda explicou que a nossa interlocução com a Tripartite são os secretários e os ministros, e que são eles que vão decidir, mas ele afirmou não saber se esse recurso está sendo usado de forma adequada.

Após sua explicação sobre a CIT, Dr. Covas explicou brevemente a CIB, Comissão Intergestores Bipartite, que atua nos estados, e a Comissão Municipal, que atua nos municípios, partindo para a estrutura geral do SUS, que forma um sistema que abrange todos os municípios, todo o território nacional, guiando o assunto até a Hemorrede, que está dentro do Sistema Único de Saúde. O diretor administrativo da ABHH também falou sobre o que é a Hemorrede, que na verdade é o conjunto de hemocentros, que têm como nome Sistema Nacional de Sangue e Hemoderivados, sendo assim um subsistema do SUS. Portanto, tudo que se aplica ao SUS, se aplica ao SINASAN. Todas as instâncias decisórias são as mesmas, todas as instâncias de financiamento são as mesmas, não existe diferença.

Comentando a Lei Federal 10.205, ele relatou que ela regulamenta o artigo 199 da Constituição, que trata especificamente sobre o sangue. Questionando os presentes, Dr. Covas citou o artigo falando que o sangue não pode ser comercializado e que todo o parágrafo no artigo 199 foi regulamento dessa maneira.

O 8º artigo da Lei 10.205 afirma que o SINASAN é formado por organismos operacionais, que são os Hemocentros, Hemonúcleos, os bancos de sangue – públicos ou privados; Centros de produção de Hemoderivados, reforçando o plural escrito na lei na palavra Centros, reforçando que não é apenas a HEMOBRÁS.

Além do artigo 8, ele também citou partes importantes da lei, como os artigos 10 a 13, que afirmam o seguinte:

Art. 10 – A Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados observará os princípios e diretrizes do Sistema Único de Saúde.

Art. 11 – A Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados será desenvolvida por meio da rede nacional de Serviços de Hemoterapia, públicos e/ou privados, com ou sem fins lucrativos, de forma hierárquica e integrada, de acordo com o regulamento emanado do Ministério da Saúde.

Art. 12 – O Ministério da Saúde promoverá as medidas indispensáveis ao desenvolvimento institucional, modernização administrativa, capacitação gerencial e consolidação física, tecnológica, econômica e financeira da rede pública de unidades que integram o SINASAN.

Art. 13 – Cada unidade federativa implantará, obrigatoriamente, no prazo de cento e oitenta dias, contados da publicação do regulamento desta Lei, o Sistema Estadual de Sangue, Componentes e derivados, obedecidos os princípios e diretrizes desta Lei.

Dr. Dimas Covas ainda reforçou que se os hemocentros não funcionam, se os hemocentros não têm capacidade física, se estão tecnologicamente defasados, o primeiro responsável é o Ministério da Saúde e solidariamente tem as Secretarias de Saúde dos Estados, mas isso não está na Lei, o que está na Lei é o Ministério. Já comentando o artigo 13, ele lamentou que até 2018 apenas um estado tinha seu Sistema organizado, que era São Paulo.

Ainda tendo como base a Lei, ele também falou sobre gestão, citando os artigos 16 e 17.

Art. 16 – A Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados, cuja execução estará a

cargo do SINASAN, será dirigida, em nível nacional, por órgão específico do Ministério da Saúde, que atuará observando os seguintes postulados: **I** - coordenar as ações do SINASAN; e outras funções.

Art. 17 – Os Estados, Distrito Federal e Municípios, por meio de suas Secretarias de Saúde ou equivalentes, coordenarão a execução das ações correspondentes do SINASAN no seu âmbito de atuação, em articulação com o Ministério da Saúde.

Em forma de brincadeira, Dr. Covas afirmou que a culpa não é apenas do Ministério da Saúde, apesar de a culpa maior ser, como ele afirmou.

Seguindo a Lei, ele ainda citou mais alguns artigos.

Art. 18 – O Conselho Nacional de Saúde atuará na definição da política do SINASAN e acompanhará o cumprimento das disposições constantes desta Lei.

Art. 20 – O SINASAN promoverá a estruturação da Rede Nacional de Serviços de Hemoterapia e Laboratórios de Referência Estadual e/ou Municipal para controle de qualidade, a fim de garantir a auto-suficiência nacional em sangue, componentes e hemoderivados.

Parágrafo único: A implantação do SINASAN será acompanhada pelo Conselho Nacional de Saúde.

De acordo com o palestrante, é importante lembrar que quem define a Política de Sangue e Hemoderivados do país é o Conselho Nacional de Saúde. Para ele, é importante porque, com base em sua experiência, isso não tem sido feito assim, estando o Conselho Nacional de Saúde distante e desconhecedor do que ocorre nessa área. Ou seja, descumpra o que está na lei.

Após a criação da Lei, houveram alguns decretos para regulamentação, entre eles o Decreto Federal 3990, que regulamenta o artigo 26 da lei de funcionamento do SINASAN.

Art. 7º – Os gestores o SUS das esferas federal, estaduais e do Distrito Federal, deverão instituir, na estrutura dos sistemas de sangue, câmaras de

assessoramento para formulação da política de sangue, componentes e hemoderivados.

Parágrafo único: As câmaras de assessoramento deverão ser constituídas, no mínimo, por representantes da hemorrede pública, que as coordenará, e das áreas de vigilância sanitária, vigilância epidemiológica, planejamento e controle e avaliação.

Covas continuou comentando que o decreto sobre as câmaras terem representantes da hemorrede pública foi respeitado até 2002/2004 e depois disso, nunca mais, não sabendo informar o motivo pelo descumprimento.

Então ele mencionou o 5045 de 2004 que diz:

Art. 4º - Ao Ministério da Saúde, por intermédio da Secretaria de Atenção à Saúde, objetivando a gestão e coordenação do SINASAN, compete:

I - Formular a Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados, assessorando tecnicamente os Estados e os Municípios, quando necessário;

(...)

XIII - submeter à homologação do Conselho Nacional de Saúde o Plano Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados.

Dr. Dimas questionou então o decreto acima, uma vez que na Lei é afirmado que quem formula é o Conselho Nacional, já no decreto indica que isso compete ao Ministério da Saúde, em uma maneira de mudar o que foi firmado em lei. Nas palavras do especialista, isso é um absurdo. Além disso, ele questionou o trecho XIII, onde está afirmado que o Plano Nacional deve ser submetido à homologação, mas não exemplifica quem deve realizar o Plano. Para o médico, sempre que há uma discussão política é feita a hierarquia Municipal, Estadual e Nacional, portanto, o plano deveria ser feito pelos conselhos dessa mesma maneira.

Após o comentário, ele citou algumas teratologias do decreto 5045:

Art. 9º - Após a aprovação dos planos diretores estaduais de sangue, componentes e hemode-

rivados, os gestores estaduais do SUS deverão formular solicitação de aprovação do plano ao Ministério da Saúde, que emitirá parecer técnico.

Art. 12º - O repasse dos recursos da União para a área de Sangue e Hemoderivados está condicionado à aprovação do plano diretor estadual de sangue e hemoderivados, pela área responsável do Ministério da Saúde. (NR)

Nos tópicos acima, o palestrante mostrou sua incompreensão no fato de que, se o estado tem autonomia, por que ele deve solicitar aprovação ao Ministério da Saúde? Segundo ele, o decreto 5.045 deveria ser revogado, reforçando novamente que em seu ponto de vista isso é um absurdo.

Explicando a Hemorrede dentro do contexto do SUS, ele citou as hierarquias: existe o Sistema Único de Saúde, o Sistema Nacional de Sangue (SINASAN) e a Formulação da Política, que é o Conselho Nacional de Saúde, Conselhos Estaduais de Saúde e eventualmente os Conselhos Municipais de Saúde. A ANVISA como órgão controlador, e os executores – CGSH e as Secretarias Municipais de Saúde, que operacionalizam e não devem formular políticas, devem receber as políticas prontas daquelas instâncias que estão lá, e então, executar essa política.

Ao mencionar as metas do SINASAN, ele explicou que elas já foram muito valorizadas até meados de 2002, elas receberam um forte apoio governamental, e hoje algumas continuam em execução e outras nunca foram executadas. Entre as metas, ele mencionou o Programa Nacional de Hemoderivados porque segundo o especialista este é o programa que diz respeito especificamente ao tratamento de pacientes hemofílicos.

Para Dr. Covas, o Brasil é uma longa história de insucesso, um fracasso comprovado nessa área. Entre as histórias de insucesso do Fracionamento Local ele citou:

1970 - Primeira Planta - Teresópolis - produção de albumina

1980 - Planta Piloto em Pernambuco e Rio de Janeiro

1990 - Pequenas plantas no Hemocentro de

São Paulo, Brasília e no Laboratório LIP no Rio Grande do Sul

1998 - Metas Mobilizadoras Nacionais - busca da autossuficiência; Ministério da Saúde consultoria SBS-Laboral Conclusão: (i) fracionamento do plasma no exterior; (ii) construção de plantas; (iii) fracionamento no exterior em paralelo a construção de uma fábrica

2004 - Criação da Hemobrás

2007 - PDP celebrado entre Hemobrás e LFB para transferência de tecnologia e processamento de plasma no exterior

De acordo com ele, foi uma evolução até a Hemobrás, que é um outra teratologia. Foi criada a despeito de todas as recomendações técnicas. Na época, a ABHH não existia, era Colégio Brasileiro, Sociedade Brasileira, foram contratados técnicos internacionais, Associação Pan-Americana de Saúde, entre outros, e nada do que foi criado se assemelha ao que foi proposto. Portanto, em sua opinião, a Hemobrás surgiu de interesses políticos e não técnicos, tanto que foi implantada no interior de Pernambuco. Para Dr. Covas, a partir dali, toda política de Hemoderivados é um fracasso. Sobre a Hemobrás e o mercado brasileiro, ele citou:

- Empresa pública criada em 2004 pela Lei nº 10.972/2004
- Sede em Brasília
- Busca pela autossuficiência do Brasil no setor de hemoderivados
- Planta fabril sendo construída em Goiana, Pernambuco desde 2010 com uma série de problemas nas contratações
- Área: 42 mil m²
- Capacidade: 500 mil litros
- Investimentos: R\$ 2,2 bilhões
- Envolvimento em escândalos de corrupção

Segundo Covas, hoje a Hemobrás só é conhecida pelos escândalos, citando de forma irônica malas de dinheiro que voam pela janela, plamas jogados no lixo, e logo em seguida afirmou que não estava ali para falar mal da empresa, mas apenas afirmou que ela também é uma teratologia.

Ele contou que tudo o que foi feito para a produção de fatores não resultou em nada, inclusive a última tentativa que foi para tornar o Brasil autossuficiente na produção de recombinantes foram feitas as seguintes parcerias:

2007: PDP com o Laboratório Francês de Biotecnologia (LFB) para transferência de tecnologia e envio do plasma brasileiro ao exterior para a produção de albumina e imunoglobina

2012: PDP com a Baxter/Shire para transferência de tecnologia e envio do plasma brasileiro ao exterior para a produção de Fator VIII Recombinante, já citado anteriormente. Quanto a esse tópico, ele explicou que hoje essa PDP é com a Takeda e a pretensão era instalar uma fábrica, uma produtora de fatores recombinantes, e isso já sofreu inúmeras idas e vindas. A PDP já foi suspensa, já foi revista por decisão judicial, e neste momento ela existe e, de acordo com Covas, vale lembrar que a única coisa que mantém a HemoBrás de pé é essa PDP porque ela compra fatores da coagulação por preços que ele não sabe informar, mas sabe o valor pelo qual ela vende: 35 centavos de dólar a unidade, o que, de acordo com ele, deve ser o maior preço pago no mundo inteiro. E com isso ela tem seu subsídio para sobreviver.

Resumindo sua fala, ele disse que a HemoBrás ainda não produziu nenhum hemoderivado, suas obras foram paralisadas por decisão do TCE e o Brasil não alcançou autossuficiência e continua descartando seu plasma, além

de não absorver a tecnologia para produção de fatores recombinantes.

Um outro lado é o Programa de Atenção Coagulopatias Hereditárias, sem entrar em detalhes, ele apenas citou que na ponta do programa, quem atende os pacientes são as unidades da Hemorrede e se essas unidades não estão adequadamente atendendo, não estão equipadas, não estão tecnologicamente à altura, é porque alguém está falando atrás, ou seja, a política não está sendo executada da forma como deveria.

Ele também mencionou alguns slides que retirou do Ministério da Saúde, entre eles um que fala sobre a evolução do número de unidades per capita, e questionou se hoje os fatores de coagulação são quantitativa e qualitativamente suficientes; quais fatores estão sendo usados, se são os melhores ou se são os que a HemoBrás consegue entregar; sobre as novas tecnologias, fatores de longa duração, economia para o país, questionando a fala em que dizem que “os hemofílicos gastam 1,3 bilhão de reais por ano, vai ser possível aumentar esse valor?”, então Dr. Covas fez uma pergunta diferente: será possível gastar esse valor com mais eficiência, com produtos de melhor qualidade e menos corrupção? Além disso, ele questionou como vão discutir o acesso às novas tecnologias, como vão conservar as tecnologias anteriores para permitir que evoluam nesse sentido.

Dr. Dimas Tadeu Covas encerrou sua apresentação dizendo que “tem a impressão de que é isso” e agradeceu a atenção dos presentes.

DR. FLAVIO VORMITAGG

coordenador-geral de Sangue e Hemoderivados
do Ministério da Saúde

O palestrante foi convidado a falar sobre o Cenário atual da Hemofilia no Brasil. E durante o início de sua fala afirmou que é sempre difícil falar após o Prof. Dimas, que é um profundo conhecedor e um talentoso provocador dos assuntos, mas que tentaria passar uns números e, na medida do possível, adereçar outros assuntos.

Relembrando a fala do Dr. Dimas Tadeu Covas, Flavio Vormittag disse que a Lei 10.205/01 - Lei do Sangue ou Lei Betinho é uma lei de 2001 que procura regulamentar toda a questão do sangue no País e com a introdução da Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados que tem por finalidade garantir a autossuficiência do País nesse setor. De acordo com ele, ainda relembrando a fala do palestrante anterior, as responsabilidades Federal, Estaduais e Municipais, dentro de uma concertação que pretende ouvir as três áreas através dessa comissão de gestores em tripartite, se reúne mensalmente, tem representantes como secretários estaduais de saúde, secretários municipais de saúde, do Ministério e outras entidades também fazem parte, mas, de acordo com ele, basicamente são os três níveis de atuação da área da saúde.

Segundo ele, na questão de planejar e coordenar a política de medicamentos estratégicos imprescindíveis à assistência hemoterápica e hematológica, dentro disso faz parte a questão da fomentação, da coordenação, promoção, das instalações da Hemorrede e, “como bem disse o Prof. Dimas”, ele reforçou que a Hemorrede não é uma entidade criada formalmente, mas são todos os hemocentros coordenadores, toda a rede de atendimento à população.

Ainda segundo ele, o objetivo básico e primordial é garantir o acesso de todos os pacientes aos medicamentos das coagulopatias hereditárias. Em seguida, ele apresentou um breve histórico:

1995 - Início das aquisições centralizadas de fatores de coagulação para tratamento das coagulopatias pelo Ministério da Saúde;

De acordo com Vormittag, o motivo da centralização é basicamente conseguir o poder de compra do Estado, agregando todos os Estados e distribuindo de forma a melhorar a condição de negociação com os fornecedores. Ele explicou que todos os fatores e produtos adquiridos pela Coordenação são de origem estrangeira. Ou seja, não temos produção local, com exceção de até uns anos atrás a Hemobrás que, de acordo com ele, fazia o fracionamento e desde 2016 ela parou de recolher o plasma e agora tem a parceria com uma empresa privada para a produção do fator VIII recombinante.

Segundo ele, a Área de Coagulopatias foi e voltou um período na ANVISA e resultou em vários trabalhos de orientação para a Hemorrede e para os Centros de Atenção ao Paciente, entre eles, manuais diagnósticos, manual de atendimento e, retomando o histórico, ele relatou que em 2009 foi implantado o Sistema Hemovida Web Coagulopatis (HWC) em âmbito nacional, que de acordo com ele é um sistema de controle dos pacientes de forma centralizada e ele basicamente procura fazer com que as informações do consumo dos hemocentros seja comunicada e centralizada ao nível federal e, evidentemente, não há identificação de paciente nem nada disso. Isso, ainda de acordo com seu relato, tem como objetivo os quantitativos de forma a poder fazer um planejamento mais adequado das aquisições dos anos seguintes.

Vormittag explicou que o processo de aquisição de medicamentos e de procoagulantes leva em média 11 meses do início do processo à entrega do produto, quase um ano. Então, quando se planeja o ano seguinte, deve-se planejar dois anos pra frente. E como todos os medicamentos são de alto custo, são cerca de 1,4 bilhão de reais anualmente destinado à compra desses medicamentos, essas informações para o sistema Hemovida são fundamentais no sentido de os especialistas poderem ter uma visão clara do que acontece na ponta, seja em questão de in-

fusões, tratamento de imunotolerância, seja nos tratamentos de profilaxia que estão instituídos desde 2014, e fazer com que haja o melhor planejamento possível e procurar gerir esses recursos que são limitados, embora na área de sangue haja o atendimento à totalidade dos pacientes.

Teve então o controle de estoque na plataforma HWC, a publicação do Manual das Coagulopatias Hereditárias Raras e a publicação do livreto Protocolo de uso de indução de imunotolerância para pacientes com hemofilia A e inibidor.

Segundo ele, em 2013 e 2014 houve a inclusão do NAT, que é um teste laboratorial inicialmente para HIV e HCV e posteriormente foi incluído o HBV, hepatite B, e a partir disso foi procurado dar a maior segurança possível ao sangue transfundido no Brasil. De acordo com o especialista, 100% do sangue colhido no País é testado, tanto em sorologia quanto com o NAT, de forma a diminuir a janela imunológica.

Hoje, existem 14 sítios testadores do NAT, sendo na região sudeste e em outras regiões. Entre os sítios testadores, alguns fazem esse serviço para outros estados que não têm massa crítica o suficiente para justificar o investimento. Dessa forma, todos os estados e o Distrito Federal são atendidos por esse sistema de NAT.

Seguindo o breve histórico, de acordo com Vormittag, em 2018 começaram a retornar a atividades e ainda existem várias dificuldades, principalmente orçamentária na questão de viagens, que brutalmente foram limitadas. Para ele, isso se deve ao sistema de controle de passagens e despesas que agora é centralizado dentro de uma área do Ministério da Saúde.

Também foram iniciados os programas de Avaliação Externa de Qualidade, que os estados e hemocentros fazem, sendo alguns hemocentros produtores de painéis, como a UNICAMP que iniciou com o AEQ de hemostasia no ano passado. Ele também contou que agora estão tentando unificar todos os AEQs em um centro só produtor de painéis e controle disso tudo.

Voltando a citar o Dr. Covas, Vormittag contou que, em 2018, conseguiram remontar a Câmara de Assessoramento da Política Nacional de Sangue, que também foi prevista em lei e a últi-

ma reunião desta Câmara foi em 2008, ou seja, 10 anos de total inatividade.

Em 2018, ela foi republicada, tanto sua formação quanto designação dos representantes. Ele também explicou que a Câmara contempla a Hemorrede, tendo pelo menos um representante de cada região do País, contemplando também associações de pacientes, como a própria Federação Brasileira de Hemofilia (FBH), academia, associações como ABHH que também tem representante, e outras áreas que são ligadas ao setor.

Ele continuou explicando que foi feita a primeira reunião depois de 10 anos, mas a segunda não foi feita pelo período eleitoral, questão de verbas, será retomada nos próximos dois meses.

A Câmara assessora o SINASAN quanto ao planejamento, coordenação e averbação da política nacional de sangue e componentes hemoderivados, e para ele é importante essa ajuda que vem das áreas especializadas, pacientes, do controle social, estejam em sintonia para que se possa direcionar as ações da política da forma mais adequada às necessidades da nossa população de pacientes.

Há também a questão da formulação e implementação de propostas para desenvolvimento, pontos que, de acordo com ele, o Dr. Covas levantou muito bem. Segundo Vormittag, eles pretendem, na medida do possível, com a reativação da Câmara de Assessoramento, colocar isso na maior velocidade possível.

Houve também recentemente e teve dentro da coordenação, comissão de assessoramento técnico para diversas áreas, desde hemostasia, hematologia etc., doença falciforme, e ele sugeriu que como parte das pessoas presentes já tomou conhecimento, todas as comissões do governo federal foram inicialmente extintas e as que se propõem continuar devem ter uma nova proposta, uma nova argumentação e uma nova justificativa, e dentro do Ministério da Saúde esse trabalho está sendo feito e o Ministério está lutando para manter todas, em especial e principalmente, a Câmara de Assessoramento Técnico da Política Nacional de Sangue.

Vormittag contou que hoje existem cadastrados no sistema Web coagulopatias, quase 27

mil pacientes das diversas patologias das coagulopatias. Ele informou que a aquisição para fatores para atendimento à população chega a quase um bilhão de unidades de fator VIII plasmático e recombinante. Hoje, a maior parte dos pacientes de 70 a 30 está dentro da terapia com recombinantes.

Há os programas de imunotolerância e, segundo ele, os programas de profilaxia estão dentro desse volume, sendo um volume bastante expressivo, no caso do fator IX 140 milhões de unidades.

Neste ano, o orçamento foi de 1,35 bilhão e a projeção para o próximo ano é chegar a 1,5, sempre com todas as limitações orçamentárias, isso ainda está em fase de discussão, ele explicou. Ele relatou que dentro do Ministério da Saúde, para compra de medicamentos, é o segundo orçamento de compra de medicamentos, sendo que ele só perde para AIDS. Mas, segundo ele, é um valor bastante expressivo e que já vem sendo mantido há alguns anos nesses patamares, possibilitando o tratamento de toda a população cadastrada.

E então ele reforçou que é por esse motivo que é importante o cadastro, pois seu crescimento possibilita fazer um planejamento mais adequado. E, como ele já comentou antes, total dependência do mercado internacional de hemoderivados, com toda a dificuldade que tem acontecido, principalmente na área dos plasmáticos. Ele citou como exemplo as imunoglobulinas, que são também obtidas a partir do fracionamento do plasma, seu consumo internacional subiu muito expressivamente, fazendo com que os custos dos valores também subissem de forma importante, trazendo dificuldades nas aquisições.

Em seguida, ele apresentou um gráfico sobre o histórico de prevalência das coagulopatias hereditárias e demais transtornos hemorrágicos no Brasil entre 2002 e 2018, que mostra o crescimento de 5% a 10% nos últimos anos, e de acordo com ele, 2018 foi o último ano analisado e os dados não foram divulgados oficialmente ainda, mas será publicado, como sempre, nos manuais como foi feito nos manuais de 2016 e 2017 e até agora o Ministério não consegue editar e publi-

car, nem mesmo virtualmente por dificuldade de orçamento e empresas para fazer esse serviço.

Segundo ele, o nível de dificuldade nunca é pequeno, não apenas no federal, mas em suas palavras, sabemos que os estaduais e municipais as restrições são bem próximas a isso.

Mostrou também um gráfico sobre a distribuição da prevalência de hemofilia A por unidade federada no Brasil em 2018, sendo São Paulo o maior número, seguido de Rio de Janeiro, Minas Gerais, Paraná e Rio Grande do Sul, e reforçou que a maior prevalência está nas regiões sudeste e sul, e só depois vem a Bahia, e assim por diante. Informou também que todos esses dados são do Sistema Hemovida Web Coagulopatias.

Então ele seguiu para o próximo gráfico informando dados sobre a distribuição da prevalência da hemofilia B por unidade federada no Brasil em 2018, também tendo São Paulo como líder. Ele também disse imaginar que embora o estado de São Paulo seja extremamente populoso com mais de 40 milhões de habitantes, a questão da identificação nesses estados seja devido à concentração de pacientes, de rede, sendo que no estado de São Paulo tem cinco hemocentros coordenadores e os demais estados têm apenas um.

Seguindo, ele passou para mais um gráfico, dessa vez informando o uso de fator VIII de 2015 a 2018, que de acordo com ele, são recursos que precisam ser colocados dentro de um orçamento com as limitações que nós temos e sempre buscando uma negociação com os fornecedores que seja a melhor possível.

Apresentou também o gráfico sobre o consumo do fator IX de 2015 a 2018. Informou que muitas vezes essa diferença pode ser porque em um ano compraram um pouco mais de estoque do que no ano seguinte. Sendo então a faixa entre 125 e 130 milhões de unidades.

No próximo slide, ele mostrou uma lista que disse ser o elenco de medicamentos adquiridos centralmente pela coordenação geral de sangue e hemoderivados do Ministério da Saúde, sendo compras centralizadas dentro do Ministério e são distribuídas dentro da hemorrede aos hemocentros coordenadores, que por sua vez, fazem a distribuição dentro de suas áreas de atuação,

seja estado ou região. Vormittag informou que só temos fator recombinante pra fator VIII, para fator IX ainda não temos incorporado. A última proposta de incorporação foi em outubro, segundo ele, de um produto de longa duração e que acabou não sendo incorporada pela questão de custo-efetividade.

Ele reforçou que não havia dúvida quanto à qualidade do produto, mas o problema foi a possibilidade de o estado conseguir incorporar, do ponto de vista financeiro, sendo que hoje existe uma alternativa um pouco menos cara.

Novamente ele informou que todos os medicamentos são de compra centralizada do Ministério da Saúde, e qualquer medicamento que não estava na lista exposta é de aquisição do estado ou dos municípios, mas basicamente o Ministério cobre todo o elenco de coagulopatias, principalmente na área de hemofilia. De acordo com Vormittag, são cerca de 13 mil pacientes.

Após abordar os medicamentos, o palestrante passou para as perspectivas e desafios. Segundo o especialista, um dos desafios é a ampliação da atenção ortopédica, que é a cirurgia para implantação de prótese e embora isso já esteja previsto dentro do SUS, existe demanda de próteses de qualidade superior ao que é oferecido, pela questão de que muitos desses pacientes têm que fazer a cirurgia de atroplastia em uma fase ainda relativamente jovem, e isso precisa e merece uma prótese que possa durar o máximo possível. De acordo com ele, esse trabalho está sendo feito internamente, junto com as comissões de assessoramento técnico, o grande ponto é sempre do ponto de vista econômico e financeiro, que você possa justificar essa inclusão de outros tipos de próteses.

Já sobre a Implantação do Procedimento de Radiossinoviorteses, Vormittag informou que o Ministério já está com uma portaria pronta, apenas terminando dados de radioisótopos e a ideia é também formalizar, colocar em portaria essas possibilidades e promover o treinamento e expansão dessa rede que pode fazer a Radiossinoviorteses.

Ele falou também sobre a melhoria do diagnóstico laboratorial dos pacientes, e informou que dentro da Hemovida Web Coagulopatias

há um número considerável de pacientes cujo diagnóstico não está totalmente fechado, faltando provas um pouco mais sofisticadas, que estão previstas, mas não são todos os estados ou todos os hemocentros que estão habilitados a fazer. Então, de acordo com ele, esse também é um desafio, e espera-se que isso seja feito o mais rápido possível.

Abordando as perspectivas, ele informou que o Ministério está para publicar a Portaria da Política de Atenção Integral às Pessoas com Coagulopatias Hereditárias (Portaria do Programa) e isso também está em revisão, em fase final, consolidando os principais pontos, e a pretensão com ela é substituir a atual que está em vigor, a portaria 158.

Sobre a implantação do projeto “Apoio diagnóstico para pacientes com Doença de von Willebrand”, isso será feito ainda em 2019. O Ministério pretende fazer o mutirão de exames para confirmação diagnóstica daqueles hemocentros e locais que ainda têm um número bastante expressivo de pacientes que estão no sistema da doença de von Willebrand, entretanto, ainda não há todos os testes realizados para confirmação. Ele contou que esse é um projeto que o Ministério está correndo para fazer ainda neste ano, e deve iniciar em agosto ou setembro, e pretende conseguir fazer um mapeamento e um diagnóstico melhor.

Ao final, ele agradeceu e informou que gostaria de colocar mais um ponto sobre a questão do recolhimento do plasma que passa pela Hemobrás e que desde 2016 não faz recolhimento do plasma por falta de condições de armazenamento e segundo porque seu parceiro tecnológico, que é o LFB, teve suas instalações interditadas ela ANVISA desde 2017, impossibilitando que o LFB, que fazia esse fracionamento na França, continuasse a fazer. Produtos que já haviam sido fracionados já estavam aqui no Brasil também foram interditados, não tiveram sua distribuição permitida, existe uma quantidade de plasma ainda na França que está aguardando que a Hemobrás tome uma decisão junto ao seu parceiro sobre o que fazer. Então, ele reforçou, essa é uma questão bastante delicada, e o novo governo, o novo ministro está olhando com

muita atenção, está fazendo gestões para tentar resolver isso, existem dificuldades não técnicas, mas talvez mais políticas/legais, existe uma judicialização muito intensa em tudo que acontece dentro da Hemobrás, então isso está sob análises, existem algumas iniciativas que já foram feitas, mas ainda não há como prever como irá funcionar. Em relação ao fator VIII recombinante, que é uma transferência de tecnologia desde 2012, também previa a construção de uma fábrica dentro do terreno da Hemobrás, fábrica essa que ainda não foi iniciada.

Ele contou que estão indo para o sétimo ano da PDP, agora pretendem que essa fábrica seja iniciada. Novamente citando o palestrante anterior, ele disse que o que aconteceu no passado, uma série de fatos importantes, alguns envolvendo questões policiais, algumas repercutidas muito

na mídia, mas de acordo com ele, o ponto de vista prático é que a Hemobrás completa 15 anos neste ano, e nunca produziu uma gota de nada, que ele afirmou ser uma situação extremamente complicada, e que procura-se uma solução que, em suas palavras, certamente não é muito fácil.

Finalizando, ele acrescentou que só para o público tivesse uma visão do que acontece, nessa questão do fracionamento do sangue, a produção dos fatores VIII, IX, imunoglobulina e abolina, e na questão do fator VIII recombinante, que é uma tecnologia vinda de uma empresa privada, que é a Shire, começou como Baxter Shire, atualmente foi adquirida pela Takeda que se mantém no propósito firme de conseguir fazer essa transferência de tecnologia.

Terminando sua fala ele agradeceu e afirmou estar à disposição.

DRA. MARGARETH OZELO

Diretora da Divisão de Hematologia do Departamento de Clínica Médica, FCM UNICAMP

A especialista foi convidada a falar sobre o tratamento da hemofilia e perspectivas. No início de sua fala, Dra. Margareth desejou um bom-dia a todos e disse que antes de mais nada gostaria de agradecer aos organizadores, em especial à Tania Pietrobelli, presidente da Federação Brasileira de Hemofilia, pelo convite. E afirmou ser uma grande honra estar presente para discutir sobre a evolução do tratamento da hemofilia, o que há de novo do presente e para o futuro, sobretudo porque a plateia era composta por pacientes e seus familiares e por isso ela disse ser uma grande honra estar ali e que gostaria de fazer sua fala com cuidado, pois seu objetivo era que os presentes entendessem o que há de novo, o que pode ser diferente daqui pra frente e, lembrando uma questão importante, ela acha que o grupo de hemofilia sobre o qual ela falaria foi um grupo de pacientes que teve várias questões com que eles tiveram que lidar, como o surgimento da AIDS, que de acordo com ela já foi muito bem lembrado, e outras questões e o acesso ao tratamento.

Ela afirmou já trabalhar com hemofilia há 22 anos e é uma preocupação muito grande que esse assunto seja levantado do ponto de vista político e não por sua causa em si, então ela afirmou acreditar que esta é uma questão que precisa ser lembrada sempre, o que está por trás da política pública envolvendo a hemofilia, que é o paciente. E, de acordo com ela, esse é o foco e é isso que precisam continuar fazendo.

Segundo ela, a questão da hemofilia sempre foi muito importante, inclusive no avanço da hemoterapia, sobretudo no controle das transmissões infecciosas. Ela afirmou que no Brasil isso não foi diferente, e ela acredita que devem continuar com o foco no paciente, como já disse anteriormente, inclusive em doenças raras, pois são esses grupos de pacientes que precisam ter acesso ao tratamento, às novas tecnologias, e que são importantíssimos porque são eles que vão levar as novas tecnologias para outras situações.

Ela iniciou realmente sua apresentação mostrando seus conflitos de interesse, dizendo que grande parte dos estudos clínicos que apresentaria, ela faz parte como pesquisadora principal em seu centro, portanto, muitos dos estudos ocorreram no Brasil.

Após isso, ela começou a falar sobre o tratamento da hemofilia, apresentando uma linha do tempo para lembrar a evolução ao longo dos anos. Então, de acordo com ela, é possível observar que em 1930 o tratamento da hemofilia era basicamente imobilização, gelo, repouso e analgesia. Ou seja, há menos de 100 anos, não havia nem sequer a percepção de como controlar os episódios hemorrágicos, e foi só a partir de 1930 que começou a usar o sangue total como fonte para o controle dos quadros hemorrágicos, e em 1940, já com a evolução do fracionamento do sangue, a pesquisadora explicou que era possível utilizar plasma, isso tanto para o hemofílico A ou B, porque até então não se sabia, não tinha sequer a distinção desses dois tipos de hemofilia, e em 1960 o crioprecipitado, como uma forma de tratamento para a hemofilia A.

Usando como base o slide, ela afirmou ter colocado mais ou menos o que representa o volume de duas mil unidades de fator VIII, comentou que fator IX ficaria até mais complicado. Mas duas mil unidades, ela comentou acreditando que os presentes já soubessem da informação, é uma dose adequada para um adulto em situação comum hemorrágica. Então, se você usar sangue total para obter duas mil unidades de fator VIII, você vai precisar de quatro litros de sangue, se você utilizar plasma, dois litros, então é possível notar que havia uma limitação inclusive para obter o resultado desejado com esse padrão de tratamento.

E mesmo o crioprecipitado que foi utilizado até muito recentemente, na década de 1990 havia a necessidade de utilizar o crioprecipitado no Brasil e para obter duas mil unidades, seria

necessário 400 ml de crioprecipitado. Então, ela explicou haver uma limitação muito importante nesse sentido.

A partir de 1970, com o crioprecipitado e o plasma, foi possível obter os primeiros produtos derivados de plasma em que se concentrava o fator VIII e o fator IX, que eram produtos chamados de pureza intermediária. Com esse concentrado, era possível conseguir as duas mil unidades com cerca de 80 ml.

Em 1980, ela afirmou que infelizmente houve a questão da AIDS, e que aqui, não só no Brasil, mas sobretudo em países desenvolvidos como nos Estados Unidos, que utilizavam amplamente esses concentrados de fator VIII, em que se tinha mil doadores de sangue para se produzir um lote dos concentrados sem a inativação viral, houve uma incidência muito elevada dos indivíduos na comunidade de hemofilia acometidos pela AIDS. Margareth disse que foram quase 90% em determinadas regiões dos Estados Unidos.

Mas segundo ela, houve uma notícia boa. Ela afirmou que com isso a comunidade toda se mobilizou para ver quais eram as alternativas, e foi quando a tecnologia começou a se desenvolver. Uma questão importante da tecnologia foi a inativação viral, então foram estudadas e obtidas formas com que esse plasma pudesse passar por situações que você conseguiria, se houvesse algum patógeno, eliminá-los e obviamente isso, com a evolução, hoje a gente tem tecnologias para a inativação viral, além da questão da triagem muito bem feita dos grupos de risco, eliminados como doadores de sangue, e isso tem sido importantíssimo em assegurar os produtos hemoderivados de plasma, seja fator VIII ou IX, que são utilizados até hoje e são bastante seguros.

Outra notícia boa, de acordo com a pesquisadora, foi que em 1982 para o fator IX e em 1983 para o fator VIII, foi obtida a sequência do DNA desses dois fatores e com isso era possível desenvolver a partir de engenharia genética, os produtos recombinantes. Que foi o que aconteceu no final da década de 1990, a primeira geração dos fatores VIII e IX recombinantes, que embora fossem recombinantes da proteína, eles ainda utilizam albumina humana para sua estabilização, mas depois vieram as outras gerações

em que a terceira geração, que é o fator VIII recombinante utilizado no Brasil, é totalmente isento de produtos de origem animal ou humano, inclusive em sua produção e produtos finais.

Recentemente, ela continuou, além dos produtos recombinantes, usando as tecnologias de engenharia genética, é possível fazer modificações nesses produtos. Hoje, existem os produtos de longa duração e outras tecnologias, como anticorpos monoclonais.

No final da década de 1990, também foi a primeira geração dos estudos de terapia gênica envolvendo hemofilia A e B, ela afirmou que essa época foi muito importante e os pesquisadores participaram disso, mas não se conseguiu nenhuma eficácia, porque o que se tinha estudado em animais, no modelo animal, não conseguiu prever algumas coisas que foram levadas e de acordo com ela serão discutidas melhor quando ela for falar sobre terapia gênica.

A partir do início de 2010, foi publicado o primeiro estudo já com eficácia para hemofilia B para terapia gênica e mais recentemente temos o resultado para hemofilia A.

Após isso, ela passou a explicar o modelo celular da hemostasia e afirmou que parece complexo, mas a imagem da apresentação é um apanhado do que acontece, não in vitro, mas no organismo e onde está o papel do fator VIII e fator IX, cuja principal função é a geração de trombina, e portanto, ativação do fibrinogênio e com isso evitar o sangramento.

Segundo ela, o que acontece na hemofilia é que por falta do fator VIII ou fator IX, esse processo fica comprometido, e não há o controle da hemostasia da coagulação.

Ela afirmou que o princípio do tratamento da hemofilia é bastante simples: falta uma proteína na circulação, seja fator VIII ou fator IX, então basta fornecer essa proteína no sangue, por isso sempre é feito com infusões endovenosas, sendo possível corrigir esse efeito. Para isso, há o tratamento de reposição, que pode ser feito tanto com produtos derivados do plasma, seja fator VIII ou fator IX, lembrando sua fala anteriormente, ela afirmou que hoje os produtos são bastante seguros como produtos recombinantes. Os produtos recombinantes não são he-

moderivados, eles são bioequivalentes porque são semelhantes a outras proteínas.

Margareth disse que já que muito se discute por política pública no evento, é importante lembrar que esses termos talvez devam ser melhor pensados para serem adequadamente contemplados.

Continuando, ela afirmou que o objetivo é repor o fator deficiente diante de um sangramento, mas há algumas limitações e se ela estava falando para os pacientes presentes, ela garantiu que eles conseguem explicar isso muito melhor do que ela. Uma das limitações são as frequentes infusões endovenosas, e isso ainda é necessário pensar que na fase da infância, a primeira infância onde é necessário fazer muitas vezes, às vezes três vezes por semana, tendo pacientes que fazem infusões endovenosas diariamente, isso porque a meia-vida do fator VIII é em torno de 12h, e a meia-vida do fator IX 24h. Ela explicou que isso significa que a partir do momento em que você toma, isso varia muito de indivíduo para indivíduo, mas o fator na circulação vai caindo seu efeito, por isso é necessário tomar uma nova dose para manter o efeito desejado. Além disso, existe o problema do desenvolvimento dos anticorpos contra o produto que você está recebendo, que são os chamados inibidores. Seu organismo não produz o fator VIII, então a gente sabe que em 30% dos hemofílicos agrava, ele começa a receber o fator VIII, então ele pode produzir um anticorpo contra aquela proteína porque o organismo não sabe que ela é uma proteína necessária, e isso é um agravante muito grande para o tratamento.

De acordo com ela, obviamente não é possível deixar de mencionar a limitação do tratamento em relação ao custo. Antes já foi dito, mas ela reforçou que é um tratamento de alto custo, e infelizmente hoje no mundo, acredita-se que apenas 30% dos hemofílicos tenham acesso ao tratamento adequado. Dito isso, a voluntária da Federação Mundial de Hemofilia afirmou com orgulho que o Brasil proporciona um tratamento adequado com a profilaxia, que é um dos grandes avanços, e a imunotolerância, um outro programa muito importante, e o paciente tem acesso a isso independentemente de onde esteja, e

ela complementou que isso é muito importante.

Ela afirmou que os especialistas e pesquisadores não querem que o paciente que tenha acesso seja aquele que está em São Paulo, Campinas ou Rio de Janeiro, mas sim que esse tratamento chegue a todos, independentemente de onde estejam. E isso ela afirmou ser um exemplo para muitos países, não só da América Latina, mas outros lugares, sobre a universalidade do nosso tratamento. Ela lembrou também que tratar hemofílico não é só dar fator, mas o fator é um passo importante para que sejam feitas as principais melhorias, e a profilaxia é, sem dúvida alguma, um dos grandes passos para o tratamento do hemofílico.

A pesquisadora lembrou que a meia-vida do fator é curta, portanto, são necessárias várias infusões. No caso dos produtos de longa duração, os benefícios seriam:

- Reduzir a frequência e doses de infusões
- Facilitar a profilaxia
- Melhorar a aderência ao tratamento

Ela seguiu explicando que existem diferentes tecnologias utilizadas para obter esses produtos de longa duração, sejam eles modificações genéticas, conjugados moleculares, aqui ela chamou atenção para um que os presentes provavelmente conheciam, os complexos peguados (PEG). Ela contou que um dos problemas para as pessoas com hemofilia foi a hepatite C, e um dos peguados era o interferon, que é o mesmo princípio, um composto sintético que quando é acoplado à proteína, é possível recircular essa proteína para mais tempo, e ela fica mais tempo na circulação.

Há outro tipo de tecnologia que são as chamadas proteínas de fusão, dentro delas existem aquelas que utilizam proteínas que a gente tem na circulação, como albumina, uma porção da imunoglobulina, a porção FC e também, mais recentemente, um polipeptídeo XTEN.

Da mesma maneira, isso faz com que a proteína recircule. Para entender isso, basta pensar que a albumina, mesmo a imunoglobulina, tem uma meia-vida na circulação em torno de 21 dias, isso porque existe fisiologicamente um

sistema que recircula essa proteína, e foi esse princípio que foi utilizado para essa tecnologia.

Segundo Margareth, isso significa que se pensarmos nos diferentes tipos de fator IX, por exemplo, de longa duração, foi possível obter um aumento de 5x de meia-vida, que antes era em torno de 18 a 24 horas. Com isso, um paciente que tomava o fator IX duas ou três vezes por semana, com uma única dose semanal ele consegue o mesmo efeito. Ao invés de ele tomar o fator depois de um sangramento, 24 horas depois da última dose, ele pode 48 horas depois, e talvez esse período já seja o suficiente para ele recuperar do sangramento, então talvez não seja necessária essa segunda dose. Esse é o princípio de um produto de longa duração.

Ela mencionou também que existem pacientes que precisam tomar apenas uma dose a cada duas semanas.

Para o fator VIII, tentou-se com o mesmo tipo de tecnologia, obter o mesmo resultado. Mas infelizmente, ela comentou que até então o que se conseguiu foi aumentar 1,5x. E com isso, o resultado não foi tão impactante, muitas vezes alguns pacientes que tomavam quatro vezes na semana, tomando três vezes na semana conseguiu o mesmo efeito. O motivo disso foi estudado e uma questão que impediu que o fator VIII fosse um fator, de fato, de longa duração, foi porque ele na circulação precisa circular junto com o fator de von Willebrand, uma outra proteína importante da coagulação.

Ela explicou que, como fator de von Willebrand tem meia-vida de 24 horas, foi possível aumentar a meia-vida do fator VIII, mas se ele estava acoplado ao fator de von willebrand, não conseguia além da meia-vida do fator de von willebrand. Mas, segundo a especialista, há uma novidade ainda em fase estudo, que é um novo fator VIII de longa duração.

Esse fator VIII já existe no mercado acoplado com uma proteína, a porção FC da imunoglobulina. Este fator VIII conseguiu 1,5-1,6 a mais da meia-vida do fator VIII. Ela tornou a explicar que na circulação existe o fator VIII e o fator de von Willebrand e há uma parte do fator de von Willebrand que se liga ao fator VIII. Margareth afirmou que isso é essencial, essa parte da molécula

do fator de von Willebrand. O que foi feito é pegar este fator que já tinha a meia-vida prolongada, acoplaram apenas a parte do von Willebrand que se liga ao fator VIII e colocaram um peptídeo que é o XTEN, que é uma nova tecnologia para recircular este fator, e com isso obteve-se na clínica, uma dose de 25 unidades por quilo, uma meia-vida de 38 horas. Ou seja, ela explicou, cinco dias depois de o paciente tomar essas 25 unidades, ele ainda tinha 12% do fator VIII. E sete dias depois, uma semana, 5%. Se aumentar essa dose para 65 unidades por quilo, obtém-se 44 horas de meia-vida, cinco dias depois ainda tinha 40%. Sete dias, 18%, então aqui temos uma meia-vida acima de 4x a mais.

Essa é uma nova tecnologia, colocando o fator VIII de longa duração no mesmo patamar do fator IX de longa duração.

E as outras alternativas? O que há de novo em relação a isso? Entre as outras tecnologias, temos que lembrar que o que falta é o fator VIII e o fator IX. Uma tecnologia importante foi usar a tecnologia dos anticorpos monoclonais. Para isso, como observamos, substituiu o fator VIII da hemofilia que está faltando por um anticorpo monoclonal, e o que seria isso? Aqui em laranja, seria o fator VIII ativado cuja função é ligar o fator IX ativado com o fator X. Ele funciona como um apoio para isso, o que chamamos de cofator para essa reação. Com isso, é ativado o fator X e dá continuidade em toda aquela reação em cadeia até a tradução da trombina e, obviamente, do fibrinogênio. O que se fez foi um anticorpo monoclonal que tinha apenas uma ligação com onde o fator VIII se ligaria no fator IX ativado e se ligaria ao fator X. Quando ele faz essa ponte de ligação, ele consegue ativar o fator X e, com isso, estamos recuperando a função do fator VIII. Aqui não é o tratamento que chamamos de reposição, mas estou repondo a atividade hemostática do fator VIII. Esse é o produto conhecido como emicizumabe, que é um anticorpo monoclonal biespecífico porque tem duas ligações. E, por ele ser um anticorpo monoclonal, fazemos as infusões subcutâneas e ele funciona muito bem com uma meia-vida prolongada. Com isso, os estudos envolvendo pacientes hemofílicos A com inibidor – aqui, no caso, são os resultados

dos pacientes adultos -, houve uma redução de quase 80% no número de sangramentos comparando os pacientes que estavam com inibidor recebendo produtos de by-pass ou CPPA ou o fator VII ativado recombinante profilaticamente, mas eles continuavam sangrando. Com o emicizumabe, reduziu para 80% a frequência de sangramentos e mais 70% não teve nenhum sangramento enquanto estava em profilaxia com esse medicamento que é subcutâneo, uma vez por uma semana. Ele obviamente tem alguns benefícios em termos de comodidade. E isso também foi obtido em pacientes hemofílicos A sem inibidor. Tem uma redução de uns 68% porque essa dose é mais estável, é diferente de fazer a profilaxia com o fator VIII, que se você se esquece de uma dose, você deixa de ficar protegido. Vale lembrar que a profilaxia com o fator VIII funciona muito bem. Ela precisa ser feita na dose adequada e da forma adequada. Então é realmente uma ótima alternativa para o tratamento e conseguimos controlar os sangramentos, mas ela precisa ser feita da maneira adequada. O mesmo com a profilaxia do fator IX. Mas o emicizumabe não serve para hemofílico B, apenas para hemofílico A, com ou sem inibidor. Ainda nas outras tecnologias, temos outros princípios, que é inibir os inibidores. O que seria isso? Se entendermos a hemostasia, a coagulação, ela depende de um equilíbrio. Tenho de um lado fatores que chamamos de pró-coagulantes e, de outro, fatores anticoagulantes. Quando falta um produto pró-coagulante, meu paciente tem sangramento, como é o caso da hemofilia. Se faltasse um anticoagulante, o paciente teria trombose, porque essa balança vai para o outro lado. E isso é o equilíbrio que sempre temos que trabalhar: evitar o sangramento, mas não causar a trombose. Na hemofilia, como sabemos, falta o pró-coagulante, o fator VIII e o fator IX, a gente tem sangramento. E o que fazemos até agora de tudo o que falei? Fazemos a reposição daquilo que está faltando. Então dou mais bolinhas vermelhas aqui e restabeleço o equilíbrio controlando o sangramento. A ideia do tratamento até agora é repor o que faltou aqui. A ideia pode ser diferente: em vez de eu dar mais bolinhas onde estava nos pró-coagulantes, eu posso retirar al-

gumas aqui dos anticoagulantes. Com isso, se eu inibir quem está inibindo a produção do coágulo, posso também restabelecer esse equilíbrio. E é esse o princípio de algumas das novas terapias que vou discutir com vocês. Voltando aqui, onde estão eles? Agora ficou mais complicado ainda. Temos três mecanismos muito importantes, que são conhecidos como inibidores naturais da hemostasia. Um deles está aqui, que é o TFPI, inibidor da via do fator tecidual, outro da proteína C e da proteína S e aqui a antitrombina.

Então o que temos de novo nesse novo conceito? Temos inibidores do TFPI. Um exemplo disso é o concizumabe, que ainda está em estudo clínico, indo para fase 3. Ele inibe o inibidor do fator tecidual e, com isso, aumenta a geração de trombina, tanto nessa fase quanto nessa fase. Com isso, temos uma atividade hemostática melhor. O outro princípio dentro dessa ideia seria o fitusiran, por exemplo, que usa uma tecnologia totalmente diferente: ele usa um RNA de interferência. Ele, na verdade, não vai inibir a proteína formada. O que ele vai fazer é lá onde produz a antitrombina, que é no fígado, na célula hepática, ele interfere numa fase dessa produção do RNA mensageiro.

Com isso, diminui a antitrombina disponível na circulação e, obviamente, aumenta a geração de trombina. Resumindo, esses novos tratamentos que são totalmente diferentes do que o tratamento de reposição. Temos, entre eles, o emicizumabe que é um anticorpo monoclonal que vai mimetizar a função do fator VIII, usado subcutâneo numa dose semanal, mas só serve para hemofilia A com ou sem inibidor e já é um produto aprovado pela Anvisa, mas não está disponível no Programa das Coagulopatias. É um assunto que temos que discutir, mas para a população que neste momento precisa e se beneficiaria desse produto, que são sobretudo os pacientes com inibidor. Uma outra classe de produto são os inibidores do TFPI, o concizumabe, e outros produtos – a Pfizer tem outro produto nesse sentido -, também é subcutâneo, alguns esquemas diários, outros semanais, ainda em estudo. Mas aqui ele vai servir tanto para o hemofílico A quanto para o hemofílico B, com ou seu inibidor e até potencialmente para outras doenças, pois não tem nada a ver com o fator VIII ou

IX, ele está restabelecendo aquele equilíbrio que mostrei. E o fitusiran, que é aquele que interfere na produção da antitrombina, tem o mesmo princípio: subcutâneo, ainda em estudo, serviria para hemofilia A, B, com ou sem inibidor e potencialmente para outras doenças porque restabelece o equilíbrio. Então tem muita coisa nova.

Mas, o que também tem de novo, é algo que para mim não é novo porque já estou há 20 anos acreditando que um dia a terapia gênica seria uma alternativa, e hoje posso falar que ela é de fato, é a terapia gênica para hemofilia que, como já foi dito, é uma tecnologia para hemofilia e para outras doenças e as doenças raras sem dúvida se beneficiam muito.

Qual o princípio da terapia gênica? Hoje, tudo o que falamos, é agente da proteína para repor o que está faltando. Basicamente, o que faremos é, em vez de dar a proteína, vou ensinar uma célula do meu organismo a produzir essa proteína. E, quando eu fizer isso, se essa célula incorporar essa receita desse DNA, será possível que ela produza sem que eu tenha que fazer novas infusões. Então a ideia aqui é: eu tenho a sequência de um DNA, eu tenho que fazer esse DNA chegar no núcleo da célula de forma que comece a produzir essa proteína – no caso, seria a proteína, fator VIII ou IX. Para chegar até aqui, ela precisa de um transportador, o que chamamos de vetor. Isso é uma questão muito importante, é um vetor que fará a transferência desse DNA para esse núcleo de uma célula-alvo que começará a produzir aquela proteína. Tem um princípio importantíssimo para a terapia gênica que só as células que já temos que devem receber esse tratamento, são as células somáticas.

De forma alguma, queremos que exista uma contaminação ou que se chegue para as células germinativas, os óvulos ou espermatozoides, o que significa que algumas células vão receber esse DNA. O restante continuará com a mesma receita de DNA que você recebeu da sua mãe. Então um paciente hemofílico, mesmo que tenha sucesso na terapia gênica, em termos de aconselhamento genético, continua igual. As filhas serão portadoras obrigatórias da mutação que pode levar à hemofilia. Isso é importante porque o hemofílico às vezes passa a ter uma nova realidade

porque não precisa mais fazer as infusões, mas continua hemofílico em seu código genético.

E qual seria o princípio da terapia gênica para a hemofilia? O que temos hoje, aqui representando cada vez que você toma uma injeção do fator VIII ou IX, quando você toma ela vai de menos de 1% até o nível dependendo da dose que você está tomando, vai precisar tomar várias. Se você usar algum fator de longa duração, você vai tomar menos. Mas, se não tomar a próxima, vai cair novamente essa atividade. No caso da terapia gênica, uma única administração vai ensinar as células da hemofilia do seu fígado a começar a produzir esse fator. Você não vai mais ter esses picos, mas vai ter o nível dessa produção se essa terapia gênica tiver sucesso.

Aqui, para complicar um pouco, eu tenho que ter o gene que quero transferir – no caso, para a célula do fígado –, então seja o fator IX ou VIII, eu uso um vetor, que, no caso, é um vetor viral. Ele vai numa bolsinha que não tem mais do que 250 ou 500 ml, você recebe esse vetor na veia uma única vez, e o vetor, que tem tropismo, vai procurar o fígado e na célula do fígado (hepatócito), esse vetor deixa o código do gene do fator VIII ou IX. E essa célula começa a produzir o fator VIII ou IX, que cai na circulação e não é preciso mais fazer as infusões. Existem alguns elementos muito importantes na terapia gênica. Um deles é qual o gene, qual o DNA, que eu quero transferir, no caso VIII ou IX.

Qual a minha estratégia para que aquele gene chegue até o núcleo da célula, o vetor, aqui falaremos muito do AAV. Qual a célula que eu quero que comece a produzir, a chamada célula-alvo. Todos os protocolos atuais de hemofilia usam a célula do fígado, o hepatócito. E como eu avalio resposta? Controlando sangramento e conseguindo ver que o fator VIII ou IX começa a aparecer na circulação mesmo sem você tomar nenhum fator. Uma das coisas importantes para entender é que o vetor que usamos é viral, chamado AAV em inglês, adenovírus associado.

Ele é um vírus que está no meio ambiente, um tipo de parvovírus que não causa doença. O que se fez foi tirar toda a parte do vírus que eu não precisava, deixando apenas as partes do vírus – inclusive a cápsula desse vírus – que faz com que

ele seja capaz de ir até o núcleo da célula. Existem vários sorotipos, tem números que vocês vão nos ouvir falar AAV-2 ou 8, isso é muito importante porque isso são os sorotipos, o número dependendo da cápsula desse vírus, cada um gosta de uma célula ou outra, e tudo o que usamos hoje são tecnologias de engenharia genética.

Pega o princípio daquela sequência, mas modifica cada vez mais, mantendo essa capacidade de ir até o núcleo da célula. É um vírus que não integra no DNA daquela célula, mas pode integrar ainda de 2% a 5%. Aqui é como se fosse um DNA da célula do fígado, ele fica como se fosse uma bolinha na célula do núcleo. A capacidade também é importante. Hoje, todas as terapias gênicas para hemofilia

A usam esse fator VIII depletado do domínio B que funciona bem, temos recombinante da mesma maneira, pois senão não cabia dentro do que esse vírus consegue transportar. Já que não é um vírus que integra, quando eu tenho um hepatócito que recebeu, se essa célula se dividir, as células filhas, uma vai levar essa sequência que eu introduzi, mas a outra não. Se isso acontecer, vai diluir o efeito porque se aquele fígado crescer, só parte das células do fígado vão ter essa nova sequência de DNA.

Uma outra questão para imaginar quanto tempo ainda vou continuar produzindo aquela proteína uma vez que comecei é que se essa célula morrer, também perco aquela sequência, então deixo uma célula a menos produzindo meu fator. Por vezes, por alguns motivos, a própria célula deixa de ler aquela sequência do DNA e temos um silenciamento disso. Se uma dessas questões acontecer, tenho uma diminuição da expressão do que eu tinha atingido, e isso é importante no tipo de vetor que estamos usando. Se as células se dividem, uma recebe, mas as outras não.

Existem outras tecnologias que você usa vetores que integram no DNA, que são aqueles ex-vivos, por exemplo, talassemia e falciforme, é essa tecnologia. Então você coloca na célula da medula, você pode expandir a medula fora do organismo do indivíduo, mas todas as células que ela vai replicando vai levando essa sequência. Do que estou falando para a hemofilia, isso não acontece. É uma das razões de não incluir-

mos crianças muito pequenas na terapia gênica para hemofilia.

Nesse momento, a terapia gênica para hemofilia ainda está em estudo, então só incluímos pacientes acima de 18 anos, mas a perspectiva é que crianças muito pequenas, se o meu alvo for as células do fígado, eu não vou incluir, pois as crianças – aqui seria o tamanho do fígado de acordo com o peso da pessoa. De zero a um ano, veja como o fígado se divide, até seis anos ele se divide muitas vezes.

Então a dose que eu der de terapia gênica para uma criança de quatro anos, por exemplo, uma parte do fígado vai receber e a outra não. E isso estamos falando de só 20% das células do fígado que recebe, mas esse fígado vai crescer, essa criança vai crescer, então as poucas células que conseguiram receber terão esse efeito diluído, então não tem perspectiva de incluir, mesmo no futuro, menores de 12 ou oito anos nessa atual estratégia.

A primeira geração que mostrei na linha do tempo já chegou a tratar com o princípio da terapia gênica cerca de 41 indivíduos (3 brasileiros) e agradeço imensamente a colaboração desses heróis que naquela época participaram, pois isso foi muito importante para entendermos esse mecanismo. O que aconteceu aqui, não teve nenhum problema na questão da segurança, mas o efeito não foi atingido, não conseguimos manter a atividade do fator VIII ou IX nesses estudos. Um estudo em particular foi muito importante para todos que estudam terapia gênica não só em hemofilia, porque foi um paciente que vemos aqui em vermelho.

Ele chegou a ter 11% da atividade do fator IX, mas esse fator foi caindo, no mesmo momento que as enzimas do fígado começaram a se elevar, até o momento que o fator IX dele voltou ao que ele tinha, menos de 1%, mas foi observado que conseguimos atingir essa expressão. O que foi observado e não tinha sido visto nos animais é que aqui em azul seriam os vetores, AAV.

Quando esse indivíduo recebeu esse vetor e foi na veia, periférica, outras células do sistema imunológico também foram expostas a esse vetor e eles começaram a reconhecer e indicar para as células do sistema imunológico que são

esses linfócitos aqui, que se tivesse essa proteína desse vírus, era para atacar, pois eles não conseguiram reconhecer o que era aquilo, que eram cápsulas do vetor.

Ou seja, a célula do fígado que recebeu o DNA, que estava produzindo o fator IX também na sua membrana, expôs uma das proteínas das cápsulas desse vetor, que não causa nenhum problema, mas o sistema imunológico reconheceu como uma coisa estranha e destruiu justamente aquela célula que tinha recebido o DNA e portanto estava produzindo o fator.

Quando ela destrói, vai caindo a atividade desse fator na circulação porque não sobrou mais a célula que estava recebendo isso. Hoje, quando fazemos a seleção para todos os estudos de terapia gênica, existem alguns critérios a serem levados em conta. Um deles é muito importante porque não tenho ideia de qual o resultado daquele paciente com quem estou conversando, que é se a pessoa já foi exposta e tem um anticorpo que reconhece aquele tipo de vetor que ele está tomando, que ele tomaria se fosse terapia gênica, daí aqueles números são importantes AAV-8, AAV-6, porque pode ter uma prova cruzada com isso. Então é muito importante, porque às vezes conversamos, temos uma alta expectativa, mas se o resultado vier positivo, que é alguma coisa que não fizemos aqui, isso tem que levar para quem está produzindo aquele vetor, e sempre será assim, provavelmente, eu não vou saber se essa pessoa ainda vai receber esse vetor.

A outra questão é que se as enzimas do fígado começam a subir, eu dou um pouco de corticoide e consigo controlar isso. E obviamente, se as células do fígado são hoje as células da terapia gênica, o fígado tem que estar bom, e eu tenho que preservar esse fígado para sempre, porque se eu tiver, 15 anos depois de receber a terapia gênica, produzindo meu fator VIII e IX, e tomar algum remédio que me ataque o fígado ou beber demais e destruir as células do fígado, as enzimas sobem e se eu destruir as células que estavam produzindo, eu perco aquele efeito e não recupero mais.

Com isso, em 2011 e 2014, com esses avanços, foi possível acontecer pela primeira vez o efeito que o fator IX começou a baixar e a enzima

do fígado começou e eles deram um pouco de corticoide, uma dose habitual de 60 mg, quatro semanas, com isso sendo possível bloquear e houve ainda a expressão do fator IX e isso dura nesse paciente por oito anos e ele continua expressando o fator IX dessa maneira. Outros pacientes desse estudo tiveram o mesmo resultado. Conclusão: hoje temos, só para hemofilia B, pelo menos oito estudos em aberto. Algo que chamo atenção, com níveis muito bons do fator IX, em torno de 33%, 47%, muito próximos da faixa normal e sem dúvida acima do hemofílico leve. Aqui com doses diferentes do vetor que são coisas que temos que levar em conta nós que trabalhamos com isso. Aqui para mostrar os resultados, cada um desses é um paciente, aqui é 60%, aqui é 10%, a grande maioria acima de 10%; a média da atividade desse grupo atingida foi de 33,7% depois de um ano do tratamento e os pacientes obviamente pararam de sangrar. E para a hemofilia A? Está tão bom quanto.

Alguns estudos chegaram a 270%, o que também não é muito bom, pois não quero inverter a balança e ir para o lado da trombose. Não precisamos de 200%, se ficar em torno de 50%, está muito bom. E temos vários outros estudos, alguns em fase mais adiantada, outros em fase inicial para hemofilia A. Aqui um estudo para hemofilia A dentro da faixa da normalidade, 60% estudo da BioMarin, sete pacientes depois de dois anos ainda mantêm dentro da faixa normal em torno de 30% de atividade e reduziram a frequência dos sangramentos – dois anos depois, 86% dos pacientes não sangraram mais, sem tomar nenhum outro produto.

Nos últimos 20 anos, muita coisa mudou, inclusive no Brasil. O tratamento que temos hoje é muito bom, nos orgulhamos, mas tem coisas para melhorar, é sempre isso que temos que buscar. Existem novos produtos tanto para o tratamento de reposição, pensando em pacientes para quem não tínhamos muito o que oferecer, principalmente pacientes com inibidor e de outras coagulopatias e a terapia gênica que eu acredito que é uma das grandes opções para um país como o Brasil. Mas quero usar o slogan da Federação Mundial de Hemofilia que o mais importante é garantir o tratamento para todos. Obrigada!

PERGUNTAS

Dadas as perspectivas de novos tratamentos recombinantes, valeria a pena ainda investir na produção nacional de fatores plasmáticos?

Dr. Dimas

Eu não sou a autoridade responsável por decidir os rumos da Hemobrás. Mas em 2004, quando ela foi criada, já não fazia sentido ter todo um direcionamento como foi feito prevendo uma cadeia de frio monstruosa, uma logística quase impossível de ser mantida. Em 2004, já não fazia sentido, então a resposta está dada, hoje não faz sentido, na minha visão. Quando falamos em produção industrial, mesmo que a produção brasileira fosse feita com todo o plasma disponível, não chegaria a atender 10% das necessidades dos pacientes, portanto o Brasil continuaria tendo que importar produtos plasmáticos para situações especiais.

Do ponto de vista de uma política pública, investir – e hoje já deve estar na casa do um bilhão e meio do que já foi investido – e, veja, o plasma está deteriorando, o plasma que foi recolhido está sendo jogado no lixo. A cada dia que passa, milhares de bolsas estão sendo descartadas. A tecnologia hoje é uma outra tecnologia.

O objetivo hoje de produção do ponto de vista de plasma é imunoglobulina que é o grande motivador da indústria mundial e, à medida que aumenta a necessidade de imunoglobulina, aumenta a quantidade de plasma coletado e fator VIII plasmático vira um subproduto. Tanto que os valores disso vêm caindo e vai chegar a um valor muito baixo porque é um subproduto.

A indústria está aumentando a produção de recombinante, principalmente agora que existe essa disputa tecnológica para ver qual fator, se o fator de longa duração será custo-efetivo, se vai substituir o fator recombinante tradicional – na minha percepção, acontecerá mais dia, menos dia – e, portanto, estamos com investimento em coisas do passado. Temos que olhar para o

futuro, e não continuar olhando para o passado. O mundo mudou, a biotecnologia muda muito rapidamente e o País não está adequadamente preparado para enfrentar esses desafios. Infelizmente, essa é a verdade.

Dr. Vormittag

Dr. Dimas tocou num ponto importante, que hoje no fracionamento do plasma, o principal produto em termos de significado econômico e financeiro é a imunoglobulina. Seu consumo mundial está crescendo, há entrada de grandes consumidores, como a China. Os preços, por conta desse aumento de consumo, também estão subindo.

No caso da Hemobrás, se ela estivesse em plena produção, caso isso tivesse acontecido, ela foi projetada para fracionar 500 mil litros de plasma ao ano, a produção de fator VIII decorrente dessa produção não cobriria, 15%, 20% dessa necessidade do País. Então a questão do recolhimento do plasma e fracionamento tem sentido no sentido de conseguir imunoglobulina.

Não é tão importante na questão do fator VIII. No fator IX, poderia chegar a suprir praticamente 100% se houvesse a plena produção. Temos também a questão que muitos pacientes em terapia recombinante têm desenvolvido imunotolerância, como a professora Margareth mostrou, em torno de 25% a 30%, e havia, quando foi iniciado o fator VIII recombinante no Brasil, uma projeção que ele responderia por 30% a 35% do consumo e seria 30% eficaz no plasmático. Essa lógica foi invertida, hoje é 70% e 30%. E volto a falar, do ponto de vista de saúde pública e orçamento, o custo do recombinante é muito mais elevado que o plasmático. Existe ainda uma parcela de pacientes que estão no plasmático e vivem relativamente bem, sem grandes problemas.

Então é uma questão que não tem uma resposta tudo ou nada, tem uma série de fatores a

levar em consideração. Em relação à Hemobrás, como o professor Dimas bem colocou, a legislação fala em centros, não em centro. Então existe a possibilidade de alguns outros players nessa questão e esperamos que realmente venham a produzir.

Quais as perspectivas de produção nacional de fatores? Há alguma previsão para que a Hemobrás fracione fatores plasmáticos? O Instituto Butantan tem a intenção de fazer a produção também? Qual o papel da Tecpar nesse cenário?

Dr. Vormittag

A produção de fatores – plasmáticos ou recombinantes – ainda não acontece no Brasil e não há perspectiva de curto ou médio prazo para que isso aconteça, pelas questões que comentamos recentemente. Em 2017, o Ministério da Saúde definiu que três laboratórios públicos estariam dentro dessa lógica do sangue: a Hemobrás, Instituto Butantan e Tecpar, que já tem atividades nessa área há bastante tempo, não no fracionamento do plasma, mas eles têm conseguido incorporar uma inativação viral e produzem boa parte dos insumos para o sistema NAT de Biomanguinhos. Então essa era a lógica, que não progrediu totalmente, houve dificuldades, a maioria não técnica, mas de ordem política, até eleitoral, e isso não caminhou adequadamente. Em relação ao Butantan, ninguém melhor que o professor Dimas para responder.

Dr. Dimas

Voltamos à questão essencial. Tanto a Hemobrás quanto a fábrica do Butantan quando foi projetada em 2008 já não levavam em consideração a realidade do mundo. Uma porque foi hiperdimensionada e a outra porque foi projetada com uma tecnologia que ainda era absolutamente em escala menor. Da forma como foi projetada originalmente, faria algum sentido. Hoje, o esforço maior do Butantan é no sentido de dar um sentido a essa fábrica e certamente não é a produção de fatores. O problema não está no Butantan, o problema está no governo federal, na relação do governo federal com a Hemobrás, e essa relação mantém esse monopólio da Hemobrás porque os fatores recombinantes

são adquiridos com exclusividade da Hemobrás, e isso limita qualquer outra iniciativa.

O Butantan não pode entrar na área de desenvolvimento industrial de fatores recombinantes porque não tem acesso ao fornecimento ao Ministério. Isso acaba se tornando um ciclo vicioso: você não resolve um problema principal e esse problema impede qualquer outra iniciativa de ir à frente. Hoje, a Hemobrás é um empecilho para que o País evolua na área de biotecnologia, na área de fatores recombinantes, na área de outros produtos derivados do plasma e aparentemente não há solução no horizonte. Não é de hoje, mas continua. Talvez o novo governo tenha, em algum momento, dito que esse problema seria resolvido, mas acho que lhe faltam os meios para resolver, porque existem ações judiciais, injunções de outra ordem. Na minha opinião, isso nem está mais na mão do Ministério da Saúde para resolver.

Por que o Ministério da Saúde não viabiliza o Hospital Sara para realização de cirurgias da colocação de próteses nos hemofílicos, tendo em vista ser sua especialidade e as dificuldades que temos em encontrar tais cirurgiões em algumas especialidades?

Raimundo, da Associação dos Hemofílicos do Distrito Federal

Dr. Vormittag

Essa questão do Distrito Federal é restrita ao GDF, do Governo do Distrito Federal. Como em toda hemorrede, essas questões operacionais – definição de que centros vão fazer o quê – são dentro da rede estadual ou municipal. A União não tem como atuar nessa área.

A terapia gênica é para todos os pacientes? Existem critérios? Os fatores de longa duração podem ser usados por todos os pacientes? Os outros fatores continuarão sendo usados?

Ligia Concelos

Dra. Margareth

A terapia gênica tem seus critérios e limitações. Hoje, da tecnologia que temos não é para todos.

Inclusive, se a pessoa já tiver o anticorpo contra aquele vetor que vai ser usado, provavelmente se ela receber o vetor, ele não terá a mesma eficácia e não vai funcionar bem. Tem também a questão da idade. Temos que aprender mais com a terapia gênica. O que acredito é que há possibilidade para todas essas opções. O que acontece de diferente hoje na hemofilia é que, em vez de sermos restritos a poucos produtos, poucos fornecedores, hoje ampliamos o leque de nossas opções de tratamento.

Existem pacientes que se beneficiam mais de um ou de outro, até pelo tipo de estilo de vida ou de acesso ou idade. Derivado de plasma continua tendo a possibilidade de utilização e lembrem-se de uma coisa que mostrei lá atrás: segundo dados da Federação Mundial de Hemofilia, no mundo, só 30% são tratados. Se só 30% são tratados, 70% das pessoas no mundo precisam ainda ter acesso ao tratamento. Então quanto mais opções tivermos, mais aumenta nossa possibilidade de tornar isso possível, e nisso acho que entram todas as tecnologias. Sempre existem limitações nos produtos, se tem ou não inibidor, se aquele produto é melhor ou não para aquele indivíduo, e é onde caminhamos para o outro lado da medicina hoje, que é a medicina personalizada.

Quando temos mais opções, tenho condições de sentar com meu paciente e discutir com ele, das opções que posso oferecer, qual se encaixa melhor para ele. E acho que esse cenário da hemofilia só mostra que a gente cada vez mais amplia e torna mais possível o acesso de pessoas aos diferentes tratamentos.

Como foi falado, são quase sete anos de PDP sem nenhuma transferência de tecnologia feita até hoje, e o governo adquirindo fator VIII recombinante de uma única empresa. Com tantas novas tecnologias, qual a opinião do Ministério da Saúde sobre em 2019 iniciar novamente a transferência de tecnologia de um produto que já está ultrapassado? Como ficam as incorporações das novas tecnologias? Como o MS paga US\$ 0,35 se, como foi dito, existem preços muito menores?

Dr. Vormittag

A questão dessa parceria de desenvolvimento

produtivo (PDP) fica dentro da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, uma outra área à qual não tenho acesso. De qualquer forma, as PDPs em geral, o conceito de quando foram criadas, em 2010, 2009, que começou, elas tinham conceitualmente uma coisa interessante, que era colocar um laboratório público, que teria dificuldades de conseguir tecnologias sofisticadas por si só, um laboratório privado, que tinha interesse em fazer essa transferência no sentido de manter essa possibilidade de venda por mais tempo, e o Estado, que com seu poder de compra conseguiria fazer uma aquisição por preços menores.

Teoricamente, as PDPs deviam começar com valor de venda ao governo 15% abaixo do mercado e em matéria de 5% ao ano. No caso específico da PDP da Hemobrás, ela já começou acima do mercado. A PDP era de [2:46:53] 0,70, cerca de 700 reais, foi subindo, subindo, e hoje está em 1,20. Então está na contramão do que é o espírito da PDP. Outro ponto bem abordado é o seguinte: se se iniciar a construção da fábrica do fator recombinante em 2019, antes de 2020, 2022, ela ainda não vai estar pronta. Serão 10 anos após o início da PDP, que foi em 2012. Com o surgimento de novos medicamentos, sejam eles fatores recombinantes ou até as novas terapias que têm vindo, realmente se questiona se manter exclusivamente nesse produto é o adequado. Isso está em discussão. Há fatores de discussão que vão de encontro a isso, no sentido de que não deveria fazer; inclusive, até que ponto internalizar essa tecnologia é importante ou não para o país, até porque a evolução dessa área de tecnologia – recombinante, anticorpos monoclonais e toda essa área - tem evoluído de forma bastante rápida e impressionante.

A questão dessa PDP está dentro da Secretaria de Tecnologia, e a questão da Hemobrás está ligada diretamente ao gabinete do ministro. Digo isso porque nós, da Coordenação do Sangue, embora sejamos compradores, a definição de onde se compra e das PDPs está fora da Coordenação de Sangue, o que não nos exige de continuar avaliando e estudando como estamos fazendo.

Considerando a Lei de Acesso à Informação, por que dados do perfil de coagulopatias não são disponibilizados anualmente? Isso não facilitaria a gestão da política de coagulopatias estadual?

Dr. Vormittag

Os dados são disponibilizados anualmente dentro do Manual publicado. O último foi em 2016. Não pudemos publicar os seguintes por questões burocráticas do Ministério, falta de verba, falta de empresas para fazer diagramação, coisas assim absurdas, mas os dados que já estão compilados até 2017 podem ser acessados por qualquer indivíduo ou sociedade que tenha interesse, através da Lei de Acesso à Informação. Estamos fechando agora a compilação de 2018, acho que em um ou dois meses isso já terá sido feito, mas até 2017 esses dados já estão disponíveis, embora ainda não estejam disponibilizados como nós fazíamos todos os anos através da publicação do manual de coagulopatias que fica disponível na biblioteca virtual de saúde, onde todas as nossas publicações ficam disponíveis. São dados públicos.

Sobre perspectivas no tratamento da hemofilia, o que você poderia informar sobre o atual tratamento do canabidiol para hemofílicos com dores crônicas?

Francisco Soares, hemofílico

Dra. Margareth

Acho que não é uma questão simplesmente para os hemofílicos, mas isso tem uma discussão importante na comunidade da hemofilia. Talvez demos pouca atenção para como controlar a dor. Temos que nos habituar a ouvir melhor os pacientes sobre isso, principalmente sobre a dor crônica, mas lembrando que a dor hoje precisa de outras alternativas e isso amplia todo o espectro do que for necessário. Por outro lado, devemos pensar em como evitar que a dor surja e tratar o que a está causando. Acho que é esse meu papel como tratadora: ao mesmo tempo disponibilizar o controle da dor e evitar, tratar o que está causando a dor, que, na hemofilia, isso é possível com procedi-

mentos ortopédicos adequados, profilaxia feita adequadamente e outro medicamento ou outra possibilidade de controle de dor não seria restrito aos hemofílicos.

O que o senhor sugere às associações para que a implantação de novas medicações seja incorporada no SUS e que isso não venha nos trazer retrocessos, pois como somos salutar, a maioria já fez uso de tratamentos existentes no País?

Francisco Marcelino, estudante do curso de ciências sociais da UFC, presidente da Associação dos Hemofílicos do Ceará e atual diretor administrativo da FBH

Dr. Dimas

É uma pergunta extremamente importante. As políticas públicas no Brasil não podem ser verticalizadas, elas têm que ser horizontalizadas. Temos que discutir-las com as instâncias que têm que levar isso aos fóruns competentes. Hoje, ela é verticalizada, existe uma coordenação, um grupo que decide o que vão ser as PDPs, o outro que decide como vão ser os tratamentos. E onde está a população, a comunidade, os médicos, as pessoas que fazem isso acontecer no dia a dia? O que precisa é organização. A sociedade precisa se organizar. A sociedade de pacientes precisa se unir com a sociedade médica, com a Academia, precisa fazer valer sua voz, pois daí existe a possibilidade de quebrar um pouco essa situação que não é a situação ideal. Se você pensar nos hemofílicos de uma certa maneira, a política de coagulopatias é até uma política bem-sucedida, mas e as outras questões? Como sociedade, ainda estamos muito enfraquecidos.

O fato de não termos até recentemente acesso às decisões da Coordenação porque não tinha representação efetiva, as Câmaras não funcionavam há muito tempo, o que se construiu no passado até 2002, 2003, de repente houve uma total inversão, a sociedade passou a ser tratada de uma forma quase clientelista – “eu tenho uma solução que eu acho que é a melhor solução para vocês”.

Então acho que associações são importantíssimas, associações médicas, de pesquisado-

res das nossas universidades. Eu também, como a Margareth, sou pesquisador, mas estamos distantes do mundo do dia a dia, do mundo prático, das dificuldades políticas e econômicas. A gente precisa olhar para esse conjunto de variáveis e tentar uma solução que seja não a melhor, mas a que seja boa para todos nesse momento.

Dra. Margareth

Eu queria fazer um comentário que acho ser pertinente, já que muitas das questões aqui questionam as políticas públicas e o que tem sido adotado até agora. Sobre o que o professor Dimas acabou de falar aqui, a participação da sociedade. Isso é um exemplo onde a sociedade participa ativamente.

O que acho que fomos carentes até um tempo atrás foi na transparência de algumas decisões, e aí acho que entra a questão de implantação da Hemobrás, a forma como aconteceu e todas as questões e, infelizmente, acho que por se tratar de uma doença de alto custo, que tem um orçamento que grita aos olhos dentro dos gestores, não podemos perder o foco do que é melhor para o paciente, com a otimização do recurso, e isso não pode ficar refém de uma situação que seja corrigir ou implementar uma nova política pública que possa beneficiar o outro lado. Acho que isso tem que ter um foco, tem que garantir qual o objetivo, é um orçamento batalhado por essa comunidade de pacientes.

Então se temos os números que o Dr. Flavio mostrou hoje que eu também orgulhosamente mostro fora deste país, foram os pacientes que batalharam por isso. Esse orçamento não pode ficar refém de algumas ações que possam beneficiar terceiros enquanto novas políticas, já que é um orçamento tão gritante. Acho que isso é o que esperamos. Existem questões que podem ser melhoradas e existe foco, e temos que otimizar os recursos, pois estes são sempre limitados, mas acho que a comunidade que está envolvida no tratamento desses pacientes, essa sociedade aqui tem condições e reconhece todo esse recurso que é colocado para o tratamento desse grupo de pacientes. Então isso precisa de transparência e não pode perder o foco.

Dr. Vormittag

Isso vem ao encontro do que falei na abertura. É importante haver essa parceria e troca de informações, portas abertas de todos os lados. A minha sempre está aberta, aliás, nem tenho sala, então nem tenho porta. É só chegar perto e vir à minha mesa, já está lá dentro. Mas a parceria com as sociedades representativas de pacientes com a Academia – a senhora Margareth, o senhor Dimas e outros tantos que estão na Academia –, sociedades médicas da área como a ABHH e inclusive com empresas privadas. Tenho portas abertas e recebo todos que me procuram. Pelo menos na minha área, não há agenda oculta, nada que não seja transparente e republicano. Essas parcerias são de interesse sempre do paciente. Acho que todos nós – evidentemente a Federação e as associações de pacientes, a Academia, os médicos, a classe médica, as associações científicas e, principalmente, do governo. O objetivo é procurar dar o melhor e mais abrangente tratamento possível aos pacientes. Todas as contribuições são sempre bem-vindas.

Ainda é grande a heterogeneidade na atenção à hemofilia nas diferentes regiões do Brasil, por níveis diferentes de capacitação de profissionais, alta rotatividade de pessoas treinadas, falta ou irregularidade de insumos para diagnóstico, reagentes, freezers. Se a responsabilidade é do Ministério, e não dos estados, o que está sendo feito a respeito?

Cintia, médica

Dr. Vormittag

Eu posso dizer que a responsabilidade é tripartite, não é apenas do Ministério, mas também dos estados e municípios. E essas aquisições de insumos, exames, contratação de profissionais habilitados, treinamento, capacitação de equipes multidisciplinares como fisioterapia e outras que são muito importantes no tratamento são responsabilidade dos estados e municípios. Obviamente, a União está sempre buscando... nós implantamos sistemas de controle de qualidade, avaliação externa da qualidade; fazemos visitas periódicas aos hemocentros através de

nosso programa nacional de qualificação da hemorrede, no sentido de buscar esse aumento da qualidade. Infelizmente, tanto em nível federal quanto estadual e municipal, as limitações muitas vezes são de ordem orçamentária, boa parte de tudo o que é feito nos estados e municípios é dinheiro enviado pelo MS através do que chamamos de teto MAC (teto de média e alta complexidade).

Esse teto MAC e diversas outras atividades de atenção estratégica entram nesse pacote e esses valores são entregues aos estados. Nos últimos anos, não tem havido inadimplência da União em nenhum desses setores. Compete ao gestor estadual, municipal, muitas vezes fazer esse direcionamento. Às vezes, há situações mais emergenciais, mais críticas, e ele pode fazer a alocação diferente do que vem, mas do ponto de vista federal, temos esses programas e, como falou o professor Dimas, a questão da participação social dos Conselhos Municipais e Estaduais de Saúde é algo que deveria ser aumentado.

Dr. Dimas

Vou falar um pouco diferente. Minha percepção é a seguinte: cachorro que tem muito dono morre de fome. E essa definição se aplica à Hemorrede nacional. Ela não se incluiu de forma adequada ao SUS, ficou um híbrido do que era antes do SUS, que era o programa nacional, o Pró-Sangue, que não dependia de ninguém, era um andar inteiro do Ministério e aí reuniam os hemocentros, davam recursos aos hemocentros etc. Ela não evoluiu dessa situação para a situação de

subsistema do SUS. Então hoje todos os entes federados, principalmente o federal e estadual, fingem que financiam a Hemorrede, mas não financiam. O federal: com base ainda em valores de tabela que estão absolutamente defasados há 10 anos sem correções nos procedimentos.

A realidade hoje dos hemocentros é muito ruim do ponto de vista do País como um todo. Se você falar que tem um hemocentro com uma situação financeira boa, que está equilibrado, isso não é verdade. Eu e a Margareth somos diretores de hemocentros e sabemos as dificuldades que enfrentamos para sobreviver. As contas não fecham. Na minha ótica, é isso: a Hemorrede não se incluiu da forma adequada ao SUS. As instâncias do SUS não incorporaram a Hemorrede. Tanto no nível regional, os hemocentros não participam das discussões orçamentárias, não participam ativamente das discussões dos PPAs de seus estados. Eles existem, mas sempre com o discurso do Flavio: a responsabilidade é federal, estadual e municipal.

Como eu disse, todo mundo joga, e o cachorro que tem três donos continua morrendo de fome. Então acho que essa situação precisa ser revista, não pode permanecer porque estamos perdendo um sistema que foi bem pensado e planejado e agora está voltando aos antigos patamares de 2000, 1998, uma desarticulação agora não só política, como econômica e financeira que impede seu crescimento e isso se reflete em todas as suas atividades. Reflete na qualidade do sangue, na qualidade do atendimento aos pacientes hemofílicos, falcêmicos, leucêmicos e assim por diante.



PAINEL

SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE DESAFIOS E OPORTUNIDADES

- 1. DRA. ELIANA CORTEZ**
Especialista em políticas públicas
- 2. JOÃO BATISTA DA SILVA JR.**
Gerente de Sangue, Tecidos, Células e Órgãos da Anvisa
- 3. DR. JORGE ALVES DE ALMEIDA VENÂNCIO**
Coordenador da Comissão Nacional de Ética e Pesquisa (Conep)

PERGUNTAS

INTRODUÇÃO EM NOVAS TERAPIAS

Vivemos essa situação bem delicada que é o equilíbrio entre desafios e oportunidades. Sabemos que os desafios são grandes, tanto para o próprio hemofílico ou portador de coagulopatia hereditária rara quanto para o gestor, pensar em incorporar e financiar essas tecnologias. Também é um desafio grande para os médicos, que têm conhecimento de novas tecnologias, gostariam de beneficiar e utilizar essa nova tecnologia, mas ela não está disponível no SUS.

Também é um desafio para a indústria, que investe um grande volume de recurso para pesquisar, desenvolver, então é fundamental a participação deles, eles desenvolverem novas tecnologias. Não imaginamos que tudo vá ser incorporado no SUS, não tem recurso para tudo, mas não incorporar nada também é complicado, porque a indústria vai falar “vou ficar desenvolvendo tantas tecnologias, vou fazer um grande investimento e... fica difícil”. E também as pessoas que convivem com a hemofilia, as coagulopatias hereditárias precisam ter oportunidades de serem bem tratadas, bem cuidadas e usando a tecnologia que é melhor para seu tratamento.

Quando pensamos nesse trajeto que é incorporar um medicamento no SUS, sabemos que é um caminho longo, complexo, que apresenta grandes desafios. Um desafio é passar pela Conitec. Qualquer tecnologia – e medicamento é considerado uma tecnologia – para ser incorporada no SUS, precisa ser avaliada pela Conitec, precisa de uma recomendação sua. A Conitec não incorpora medicamento, ela recomenda e quem incorpora uma tecnologia é um gestor. Quem publica a decisão da incorporação no SUS é o secretário de Ciências, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde. Qual o papel da Conitec? Ela tem a responsabilidade de assessorar o MS na inclusão, exclusão, alteração de tecnologias, tanto de medicamentos quanto de protocolos, que também são considerados tecnologias. Então um protocolo, para

ser disponibilizado e ficar público no SUS, precisa também ser avaliado pela Conitec.

Ela está dentro da estrutura do MS. Não é subordinada ao ministro, está ligada ao ministro, pois nem tem como ser subordinada, sendo que nem todos os seus membros são do MS. Um Conas, que representa as Secretarias Estaduais, um Conasem, um Conselho Federal de Medicina, que participam, não vão ser subordinados ao ministro da Saúde. Então, sobre a composição da Conitec, ela tem um plenário e uma Secretaria Executiva. O plenário é composto por representantes de todas as Secretarias do MS, um representando o Conselho Federal de Medicina, Conselho Nacional de Saúde, que está representando a sociedade, um Conas, que representa os 26 estados e o Distrito Federal, o Conasems, que representa 5.570 municípios do Brasil, a Agência Nacional de Saúde Suplementar e a Anvisa.

A Secretaria Executiva da Conitec está dentro de um departamento do MS. O papel do plenário da Conitec é ser responsável pela recomendação. Ele recomenda a incorporação ou não incorporação da tecnologia no SUS. Esse é o fluxo, quem vai submeter a tecnologia, que não precisa ser só seu fabricante, pode ser a sociedade, uma sociedade médica, um gestor estadual ou municipal também podem solicitar a avaliação da Conitec para incorporação da tecnologia no SUS. Então passa pela Secretaria Executiva, que vai verificar se estão todas as informações ali, para que seja possível fazer essa avaliação, depois elabora um relatório, vai para o plenário da Conitec, o plenário avalia esse relatório, faz a recomendação e, dependendo do parecer, vai ser colocado em consulta pública. Depois verifica todas as contribuições da sociedade, ele avalia todas elas. Eles podem ratificar – fica mantido o parecer inicial da Conitec – ou podem retificar, dizendo que o primeiro parecer era para não incorporação, depois, a partir das contribuições enviadas via consulta pública, eles podem modificar. Daí vai para o secretário

de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos, e ele vai avaliar se precisa ser feita uma audiência pública.

Até hoje, não vi nenhuma, só consulta pública. Depois disso, é publicada a decisão no diário oficial. Vamos então focar aqui quando a Conitec passa pelo plenário, este faz a recomendação e isso é colocado em consulta pública. Qual o principal objetivo da consulta pública? É ampliar a discussão e embasar as decisões sobre a formulação e definição de políticas. É a hora que o gestor coloca para ouvir a sociedade. É o momento em que ele fala “sociedade, é esse o parecer, a recomendação da Conitec”. Então a sociedade vai se manifestar em cima daquele relatório elaborado pela Conitec. Então as recomendações são disponibilizadas, sai um relatório, em que constam as informações sobre o medicamento e justificativas (por que a Conitec recomendou a incorporação ou não no SUS?). E como nós, a sociedade, podemos contribuir? Saem dois relatórios, um formulário é contribuições técnicas e científicas, e a outra é de contribuições de pacientes. Então esse é um momento muito importante em que a sociedade se manifesta em relação àquela recomendação da Conitec.

Aqui eu trouxe como a Conitec disponibiliza as consultas públicas, tb quais foram as contribuições recebidas. É também importante acompanharmos o que a sociedade, os técnicos estão pensando sobre aquele relatório de recomendação da Conitec. Depois que se coloca em consulta pública, volta para a Secretaria Executiva da Conitec, que vai compilar isso e ser avaliado de novo pelo plenário da Conitec sobre aquelas contribuições. Como a Conitec avalia as contribuições? Elas são organizadas e inseridas em relatórios técnicos, daí vai para o plenário, ele discute e, a partir dessa discussão, ele emite um relatório e vai para o secretário de Ciências e Tecnologia para ele avaliar se concorda ou não com a recomendação da Conitec. Esse é outro pedaço, podemos acompanhar porque sai publicado no site da Conitec a pauta da reunião e depois da reunião sai a ata da reunião e a recomendação que foi discutida e aprovada pelo plenário da Conitec.

Depois sai a publicação do relatório e a portaria está publicada no diário oficial do secretário de Ciência e Tecnologia dizendo se foi incorporada ou não no SUS. O que se leva em consideração na incorporação? As evidências científicas e também o estudo de avaliação econômica. Então a Conitec tem 180 dias para fazer essa avaliação, que pode prorrogar por mais 90. Esse é o prazo para que a Conitec avalie a tecnologia que foi solicitada para incorporar. Depois disso, se o secretário de C&T defere, concorda e publica incorporando, tem 180 dias para a tecnologia ser disponibilizada no SUS.

Aqui também tem muita discussão em relação a isso. Às vezes se fala “se o medicamento já foi aprovado na Anvisa, por que a Conitec tem que avaliar?”. Ela já foi aprovada, mas é importante – isso também está no site da Conitec, dizendo quais as evidências que são consideradas. Para a Anvisa registrar um medicamento no Brasil, para ter registro sanitário no Brasil, ela vai considerar a evidência de eficácia e segurança. Bastou comprovar isso, para a Anvisa está ok. Para a CMED, que define o valor que o medicamento vai ser comercializado no Brasil, vai comparar o custo desse tratamento, desse novo medicamento, com o que já tem. Ou verificar preços internacionais, essa é a evidência que eles vão olhar. Que é diferente da evidência considerada pela Conitec, que vai verificar evidência de segurança, de eficácia, custo-efetividade em relação à tecnologia que já está incorporada no SUS. Então a Anvisa não vê isso nem a CMED.

O único que vai comparar com a tecnologia que já está incorporada no SUS é a Conitec. Então todo medicamento avaliou, o secretário publicou a decisão de incorporar, ele vai para a Rename. A Rename não é uma lista de medicamentos básicos. Ela é uma relação de medicamentos que têm que estar disponíveis no SUS. Então publicou a incorporação, ele vai para a Rename. Ela tem cinco anexos, então o medicamento foi incorporado, ele tem que se encaixar em algum desses anexos.

Sabendo em que anexo o medicamento foi incorporado, sabemos a regra do jogo dele. Então temos quatro anexos que são para uso laboratorial e um de medicamentos de uso hospitalar.

Os medicamentos para hemofilia e coagulopatias estão no componente estratégico. Isso significa que o MS é responsável por financiar e comprar os medicamentos que estão no componente estratégico. O medicamento está no componente estratégico? Essa é responsabilidade do MS. Aqui dando uma olhada no cenário, no que consta lá no site da Conitec, o que identificamos o que foi verificado. Infelizmente, não são muitas tecnologias que foram submetidas à avaliação da Conitec, mas somente uma, que foi o fato VIII recombinante que já até sabemos que, se há transferência de tecnologia, ele vai ser incorporado no SUS, é o MS da que vai adquirir o medicamento. Quanto aos demais medicamentos, os pareceres/recomendação foram de não incorporação. Temos um medicamento que é da Roche, que foi submetido recentemente (26 de março) e ainda está em análise. Esse é o cenário das tecnologias demandadas para que a Conitec avalie em relação à hemofilia, esses são os dados encontrados. Eles publicam qual foi o parecer.

Em relação ao medicamento para hemofilia A, eles disseram que a Conitec avaliou os estudos e que estes apresentam baixo nível de evidência, devido aos poucos relatos encontrados na literatura e inexistência de estudos mais robustos com maior número de pacientes. Esse foi o motivo dado pela Conitec para a não incorporação. Em relação ao medicamento para hemofilia A, eles disseram que a análise econômica apresentada, o impacto, e também tem muitas incertezas, ele é bem superior às tecnologias que já estão disponíveis no SUS. Então as duas tecnologias foram recusadas e os motivos apresentados pela Conitec foram esses. Imagino que esse é um novo momento, que pode representar uma nova oportunidade, é essa portaria que foi publicada neste mês pelo MS, que é em relação ao projeto piloto para o risco compartilhado, para a incorporação por meio desse compartilhamento de risco.

É um projeto piloto, definido que é para atrofia muscular espinhal tipos 2 e 3. Para o tipo 1, a Conitec avaliou, o parecer foi favorável, e o secretário de C&T incorporou. Para o tipo 2 e 3, ele colocou nesse novo projeto de compartilhamento de risco. O que é esse acordo? É um

instrumento celebrado entre o MS e a indústria farmacêutica, fornecedora do medicamento, em que situação? Quando tem razão de incertezas.

Uma das incertezas é o custo-efetividade do medicamento incorporado no SUS em condições reais. Sabemos que muitas vezes uma coisa é o estudo, que é um número pequeno, acompanhado, então você escolhe, mas quando você coloca no mundo real, pode ser muito diferente do estudo. E a estimativa de consumo. Porque muitas vezes não sabemos que consumo é esse, sabemos que muitas vezes é colocado e subestimado o número de pessoas que vão usar aquele medicamento, então o Ministério faz uma análise do impacto orçamentário disso, e a hora que o medicamento é incorporado, que você vai ver no mundo real, é completamente outro e nem sempre tem orçamento suficiente para dar conta disso.

Os objetivos também são possibilitar mediante um acordo de compartilhamento a incorporação de medicamento, o projeto piloto é para esse medicamento, também para promover o equilíbrio do custo do medicamento no SUS, coletar evidências adicionais sobre o uso do medicamento em condições reais, possibilitar a reavaliação da incorporação porque a avaliação foi negativa. E também, importantíssimo, é que ele vai subsidiar a edição de uma futura norma geral para outros medicamentos.

Então isso pode ser uma possibilidade, é fundamental acompanhar isso. Foi escolhido o Albert Einstein para acompanhar isso, essa tecnologia vai ser disponibilizada em alguns centros de referência, vão ser escolhidos esses centros e vai ter esse acompanhamento para verificar como se comporta o medicamento no SUS. Nesse acordo que será assinado entre o MS e a empresa fornecedora do medicamento, deve constar a redução do preço do medicamento, isso é fundamental, é uma grande discussão, sempre o Ministério quer que reduza, mas também precisamos verificar que redução é essa para verificar se realmente esse é o preço que tem que ser para o SUS.

A descrição da doença, a definição dos critérios, de desfecho de saúde esperados, que é extremamente importante, porque como se

avalia se uma tecnologia é boa ou não se você não acompanhar isso. Também será definido o número máximo de pacientes por ano, então vai ficar aberto em termos, porque vai ser definido um número; se passar daquele número definido, a empresa que terá que bancar. A definição do critério de interrupção, que também é um ponto bem delicado, sabemos que no Brasil não é fácil desincorporar uma tecnologia e a definição de periodicidade de avaliação dos parâmetros.

O que também acho fundamental que está nessa portaria de compartilhamento de risco é que a Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e Insumos Estratégicos deverá realizar avaliações periódicas desse projeto, objetivando subsidiar futura edição. Sabemos que realmente é complexo, a hora que a Conitec faz essa avaliação, o Ministério faz a avaliação do impacto financeiro, é complicado muitas vezes, isso é um grande limitador, então falar “o Ministério nunca abre o jogo, não incorpora por causa do dinheiro”, mas é que é bem difícil. E também o Ministério precisa, e essa é uma regra, que a evidência tem que ser comparada com a tecnologia que já está hoje no SUS.

Olhando um pouco do horizonte tecnológico, vemos hoje, esse foi um levantamento que peguei dos relatórios que foram feitos pela Conitec, mas vimos com a Dra. Margareth que ele é muito maior que isso. É bem gratificante saber que o universo é bem maior, que tem mais indústria, mais gente pesquisando, existe mais possibilidade de que novas tecnologias que poderão dar melhores respostas para alguns casos, que estejam sendo estudadas e avaliadas. Isso é fundamental. Também achei muito interessante o que ela disse: não dá para dizer que

só porque é novo, ele é melhor que qualquer outra coisa e tem que substituir o que já tem. Acho que cada caso é um caso, mas para os portadores de hemofilia ou coagulopatia hereditária que não respondem bem ao que está hoje disponível no SUS, eu acredito que é um direito que esse cidadão tem de ter a possibilidade de usar um medicamento que seja mais adequado ao seu tratamento.

Então levantei tanto para hemofilia A quanto para hemofilia B, são os medicamentos que estão no horizonte tecnológico, a Conitec já sabe disso, sabe que daqui a pouco vai bater na porta dela, solicitando a avaliação para a incorporação dessa tecnologia no SUS. Quando pensamos no tratamento de hemofilia e coagulopatias hereditárias raras no SUS, vemos que o que foi submetida as avaliações, os pareceres foram contrários, mas eu acho que podemos até ter uma nuvem cinzenta, mas temos que ter capacidade de olhar além disso. Acho que devemos todos sair de nossa zona de conforto, tanto a sociedade quanto o SUS, não falo só o MS. Temos que pensar um pouco fora da caixinha, não adianta só sair da caixinha, temos também que pensar.

Olha eu saí, mas não penso, continuo fora, mas pensando do mesmo jeito, tampouco vai resolver. Acho que nosso grande desafio, o que é fundamental, é que todos se unam. Todo mundo, toda a sociedade, a Anvisa, o gestor, os profissionais, nos unamos para colocar nossos conhecimentos, nossa expertise, à disposição da sociedade para que consigamos ofertar um tratamento melhor para os hemofílicos. “Unir-se é um bom começo, manter a união é um progresso e trabalhar em conjunto é a vitória”, frase de Henry Ford.

JOÃO BATISTA DA SILVA JR.

Gerente de Sangue, Tecidos, Células e Órgãos da Anvisa

A INTRODUÇÃO DE NOVAS TERAPIAS

Do ponto de vista legal, a Anvisa é uma agência vinculada ao MS, uma autarquia. As autarquias têm independência financeira e administrativa, então temos clara uma missão que é ligada à saúde, ao Ministério da Saúde, mas temos uma administração financeira e uma liberdade administrativa maior. Por que isso? Para fazer o processo fiscalizatório de forma isenta das questões políticas. Essa é a tese da teoria da regulação.

Eu trouxe onde está baseada a legislação, que suporta essa questão da avaliação da vigilância sanitária, a Anvisa foi criada em 1999, fez 20 anos neste ano, é uma jovem agência comparada com outras agências reguladoras do mundo, como a FDA, que tem mais de 100 anos. Ela é incorporada na Constituição de 1988 e assume as ações da vigilância sanitária, que é muito mais antiga, tendo nascido no Brasil quando a família imperial veio para o País. Na época do Brasil colonial, a vigilância vem no modelo europeu para controlar principalmente os portos, os produtos que vinham da Europa precisavam passar por um controle, muitas vezes cartorial, nascendo assim a vigilância sanitária. Então ela traz um legado ruim, do ponto de vista de ser só uma ação cartorial, só papel. Claro que a vigilância sanitária tem feito um papel excelente, mas a sociedade não conhece esse papel, pelo nosso legado histórico.

Então a Anvisa, em 1999, adquire, assume para si a coordenação do sistema de vigilância sanitária, então passamos a compor o mesmo mecanismo que compõe o SUS, como vimos hoje de manhã: uma instância federal, que é a Anvisa, uma instância estadual, que são as vigilâncias sanitárias estaduais, e uma instância municipal, que é a vigilância sanitária municipal, cada uma com seu papel na perspectiva de fazer uma avaliação de risco dos produtos e serviços ligados à saúde. Isso para entendermos as legislações que suportam a Anvisa.

Então qual a missão da Anvisa? Avaliar risco. No campo da incorporação de novas tec-

nologias, a Dra. Eliana colocou bem claro isso, vamos ver daqui a pouco o papel da Conep também, que é no início do desenvolvimento desses produtos, que é quando vai começar os ensaios clínicos, a Conep tem um papel muito importante, a Anvisa entra nesse meio para acompanhar o desenvolvimento do produto, registrá-lo no País, independentemente se esse produto no futuro vai ser incorporado ao SUS ou não. Existe uma instância do Estado para avaliar se existe risco para o paciente, se é eficaz aquele produto ou se não é um charlatanismo aquilo tudo. Então a Anvisa tem esse papel tanto de produto quanto de serviço. E posteriormente, tem a Conitec que vai “olha, isso aqui é interessante, está registrado, mas no SUS isso não é interessante, porque tem outra alternativa mais barata, da mesma eficácia...”.

Dra. Eliana colocou bem a separação, ficou bem claro os órgãos envolvidos nessa questão. Vou puxar a sardinha para o nosso lado, que é o que vim fazer aqui. A missão da agência, então, é fazer a avaliação de risco. E essa é uma missão às vezes dura, difícil, porque muitas vezes, nesse contexto da avaliação de risco, onde estou avaliando uma balança de risco, benefício, às vezes o risco é maior que o benefício, mas o paciente que está sofrendo lá na ponta quer o benefício independentemente de qualquer coisa. Então é uma situação que precisamos cada vez mais deixar transparentes as decisões, discutir, para que todos nós possamos compartilhar esse risco que é difícil para a agência fazer, mas sua missão é essa, fazer essa medição do risco sanitário.

Nesse contexto, isso é tão importante para o desenvolvimento do País. Um país onde não tem uma agência ou órgão regulador forte, o país não desenvolve produtos, pois é preciso ter um arcabouço regulatório, ou seja, normas regulatórias claras para dizer para os produtores, para os fabricantes, os hospitais, enfim, para quem for prestar o serviço ao cidadão, dizer que existem regras, “cumpra essas regras e você vai

conseguir prestar um serviço de qualidade para a sociedade”. Então muitas vezes o papel da Anvisa é corrigir o mecanismo, tentar junto com o produtor, com o prestador de serviço corrigir as arestas desse processo.

A Anvisa é muito ampla, então avalia desde medicamentos, alimentos (lá no supermercado, a Anvisa teve um papel importante naquele produto que está na prateleira), os produtos para a saúde (tudo o que está no hospital, utensílios, equipamentos, foram avaliados pela Anvisa; saneantes domissanitários, que são os sanitários que usa tanto em hospitais quanto em nossas casas), cosméticos (o Brasil é hoje um dos maiores produtores e usuários mundiais de cosméticos), agrotóxicos (que estão famosos, na mídia toda hora, e a Anvisa tem um papel importante junto com o Ministério da Agricultura nessa questão), tabaco (todos os produtos ligados ao cigarro e produtos fumígeno), serviços de saúde (é uma das únicas agências do mundo que avaliam serviços de saúde, geralmente eles são avaliados pelos Ministérios da Saúde), sangue, tecidos, células e órgãos (hoje, o sangue usado em transfusão; tecidos, células e órgãos usados em transplante, todos são avaliados, tem um mecanismo regulatório avaliado pela Anvisa e vigilâncias sanitárias locais).

Anvisa e inovação. Quando falamos em inovação, estamos discutindo isso bastante. Hoje de manhã, ouvimos sobre a terapia gênica. A inovação só é possível com o desenvolvimento científico e tecnológico. O Brasil só será realmente um produtor de tecnologia inovadora se investir em ciência e tecnologia.

A maior parte da nossa produção é de importados, nós importamos tecnologias, então precisamos avançar nisso. Eu trouxe essa frase porque essa frase é importante: é muito importante termos capacidade regulatória para avaliar novas tecnologias, que as pesquisas brasileiras avancem para que produzamos novas tecnologias. O que traz isso? Queda na mortalidade, melhoria na qualidade de vida das pessoas, aumento do volume de conhecimento, então quando você desenvolve tecnologia, tem todos esses ganhos. E mais importante para nós como cidadãos e usuários do SUS, é que queremos cada vez mais

tecnologias que melhorem nossa qualidade de vida. Esse é um ponto fundamental.

E outra questão importante na inovação é sempre pensar nos custos. Obviamente é importante ter inovação, mas é importante que ela seja sustentável, por isso é muito importante o que a Dra. Eliana colocou, que teve na mesa de manhã, essa discussão de políticas, como otimizar os recursos para que as tecnologias usadas, incorporadas, possam ser acessíveis para todos, de forma racional.

Como podemos pensar nos elementos que acompanham a inovação. Então eu falei no governo, é importante que ele esteja envolvido nas políticas, estimulando a inovação; universidade, porque é dali que sai a pesquisa, novas tecnologias. As universidades brasileiras têm demonstrado cada vez mais isso, mais qualidade, mais vocação para produzir tecnologia; as empresas, é importante que eles venham para o Brasil, olhem para o Brasil e pensem “ali nesse país, tenho um marco regulatório sólido, tenho um sistema de saúde público ou privado fortalecido e capaz de promover desenvolvimento ali dentro. Eu tenho universidades que posso fazer parceria para desenvolver produtos ali dentro”. Então todos os elementos eu ponho regulação como fundamental porque se não tivermos uma regulação bem feita, nenhuma empresa quer vir desenvolver no Brasil, nem mesmo o pesquisador brasileiro vai conseguir desenvolver aqui porque a regulação está dúbia, então é importante ter essa visão. E o mais importante dessa inovação ao paciente é que ele seja a causa. Se ele não for a causa de todo o processo, a melhoria de vida de todos nós, pois todos nós somos pacientes, não tem sentido todo esse processo.

Alguns desafios. No campo da inovação, a Anvisa tem prestado atenção em todos os campos. Quais são as novas tecnologias para terapêutica? O que está surgindo no mundo que não veio para o Brasil ainda? Como podemos nos preparar para receber essas novas terapias? Aumento da eficácia em relação aos medicamentos existentes. Esse é um outro caminho, que depois a Conitec vai discutir se vai incorporar ou não, mas para a Anvisa, se aquele produto traz alguma melhoria de eficácia, diminuição de efei-

tos adversos, já é um fator positivo para registrar esse produto, autorizar. Redução de custos, quantas vezes uma tecnologia é desenvolvida para reduzir custo de outra tecnologia ultrapassada. São algumas ideias de quais são os desafios e de por que a inovação é importante. Aqui também eu vou passar do ponto de vista do ambiente regulatório.

Temos discutido muito, principalmente no campo das terapias avançadas, falarei mais adiante, mas o ambiente regulatório é fundamental. Precisamos ter normas claras, fluxos claros para quem está desenvolvendo, conhecer qual é o ambiente regulatório, onde ele está pisando e até onde pode avançar. Regular sem transformar a normatização em obstáculo. Isso não é simples, porque em tese regulamentamos pensando no risco, lembrem que a missão da Anvisa é diminuir risco. E quando você não conhece? Quando você conhece alguma coisa, você sabe os riscos. E quando você tem diante de você um produto que você não conhece os riscos? Você vai conversar com quem está desenvolvendo e parece que conhece menos os riscos. Tudo isso torna difícil, então é importante ter um mecanismo regulatório que aproxime o desenvolvedor, a empresa, a indústria ou quem está fazendo, a universidade, do regulador para poder ir juntos discutir os riscos e daí não ter obstáculos ao desenvolvimento. É um mecanismo do mundo inteiro. Cada vez mais, no início do processo, a agência está participando desse desenvolvimento.

Como complemento à aula brilhante de hoje cedo sobre terapia gênica, vou ampliar um pouco o escopo do âmbito regulatório, para vocês entenderem um pouco que produtos são esses e o que nos espera no futuro? Eles são chamados produtos de terapias avançadas. Tudo surge com a questão do potencial célula-tronco, engenharia genética etc., que vêm há muito tempo sendo estudadas no mundo e começam agora a se materializar em produtos, em terapias propriamente ditas. Para fazermos uma discussão didática, hoje, por exemplo, partes do corpo humano já são usadas como produtos terapêuticos: plasma, concentrado de hemácias, de plaquetas, são produtos terapêuticos que são usados, obtidos por meio de doação, passam por processos den-

tro dos bancos de sangue, por exemplo, e depois serão disponibilizados para o paciente no processo de transfusão. São exemplos. Temos terapia com células de tecidos germinativos, para reprodução humana, que é mais ou menos isso também, é uma doação de espermatozoide e é feito um embrião no laboratório e aí implanta numa futura mãe num processo de reprodução humana, então também é uma terapia convencional com partes do corpo humano. Tecidos, pele usada, por exemplo, em grandes queimaduras. Eu pego a pele de um doador cadáver e vou colocar ali naquele paciente para melhorar o processo de cicatrização. São todos produtos do corpo humano usados há muito tempo e chamados de terapias convencionais. Surgem então, nos últimos anos, e na pesquisa surgiu há muito tempo, mas nos últimos anos começam a surgir produtos mesmo que são produtos parecidos com medicamentos, e eles serão submetidos a um registro sanitário. E são produtos que vêm do corpo humano muitas vezes. São produtos que vêm de células humanas que são produzidos em laboratório, então esses produtos são chamados produtos de terapia avançada. Então temos células avançadas.

O que são? Exemplo clássico: pego uma célula mesenquimal, que é uma célula-tronco de gordura, por exemplo, de tecido gorduroso, levo no laboratório e lá faço multiplicações, faço crescer e transformo essa célula em outro tipo de tecido ou aumento o número dessas células no laboratório, faço uns frasquinhos, vazam como se fosse um medicamento e entregar para o médico, para ele fazer a terapia necessária, chama terapia celular avançada. Tenho engenharia de tecidos. Hoje já é possível, tem um produto registrado na Europa que, através de uma célula-tronco retirada de células do limbo, do tecido ocular, pego essa célula num paciente que tenha cegueira, uma córnea toda destruída, levo essa para o laboratório, produzo uma córnea artificial, não tão artificial que é uma engenharia de tecido. Foi construída uma córnea com as mesmas características genéticas do indivíduo.

É praticamente um transplante para mim, eu construí uma célula, um tecido num laboratório, então isso chama engenharia de tecido. Já tem

estudos para construir coração, produzir tecidos e até órgãos artificiais com seu próprio material genético. E a terapia gênica já é uma realidade. O Brasil hoje já tem uma pesquisa clínica aprovada em estudo fase 3, com paciente brasileiro, em solo brasileiro, sendo feito um estudo para hemofilia. São células, são material genético humano, tecidos que serão agora produtos terapêuticos e que serão registrados. Essa é a cara deles, são frasquinhos como se fossem mesmo medicamentos, ou uma bolsa, e esses produtos precisam ser registrados. Pergunta: como trabalhar com eficácia e segurança desse tipo de produto?

Não é uma molécula química, é uma molécula complexa. Então existe todo um mecanismo diferenciado para se trabalhar com isso. Então saímos, por exemplo, de uma aspirina, vai para uma insulina, um material biológico, até chegar numa célula como um medicamento vivo. É o que o futuro nos espera. Eu falei rápido disso aqui, temos uma hoje uma divisão em terapia convencional, que são partes do corpo humano que são produzidas em bancos de sangue, bancos de células, que serão introduzidas em pacientes para transfusão e transplantes, isso já está muito bem regulamentado, o Brasil está cada vez mais avançando nisso, inclusive produzindo produtos de qualidade nesse campo. E agora temos as terapias avançadas. O que acontece nessas células e tecidos é que eles se modificaram completamente do original do doador.

Na verdade, não é mais o que o doador doou, ele foi produzido em laboratório a partir de uma matriz do doador. Mais ou menos isso, em geral. Mas isso tem riscos. É bonito, mas de se ver, tem muita promessa terapêutica, tem cura, vimos aqui a terapia gênica para hemofilia, pacientes que não estão usando fatores há muito tempo. Isso é fantástico, mas é preciso uma avaliação de risco, pois há problemas como todo produto terapêutico. Trouxe alguns casos, as pesquisas avançaram muito, mas houve muito retrocesso devido a falta de conhecimento e mortes no caminho, tanto para terapia gênica quanto para terapia celular, mortes que aconteceram, o que demonstra não que seja preciso parar as pesquisas, mas sim aprofundá-las, e cada vez mais vamos tendo elementos de risco para controlar o processo. É assim que

acontece, aconteceu com medicamento comum e vai acontecer com essas terapias também.

Aqui é uma lista de produtos que são desse tipo registrado, aqui no caso, na EMA, que é a agência europeia de medicamentos, uma Anvisa europeia, eles já têm esse tipo de produtos registrados. A FDA também tem, então hoje o mundo tem cerca de 10, 11 produtos registrados nos países desenvolvidos. O Brasil ainda não tem nenhum produto desses registrado. A Anvisa já começou os trabalhos de regulamentação, temos um marco regulatório para atrair as empresas ao país e também fazer com que o pesquisador brasileiro, as indústrias brasileiras possam desenvolver tanto no serviço público quanto privado, esses produtos em nosso país, pois temos grandes pesquisadores nesse campo. Então já temos a RDC 214, que traz as boas práticas em células. O que é isso?

Como se deve produzir células com segurança e qualidade? A norma traz um conceito técnico que já falei para vocês sobre isso. Qual o modelo que o Brasil vai percorrer, para que vocês possam nos acompanhar nesse processo? Todo o processo de desenvolvimento precisa passar por um ensaio clínico, então tem todo o elemento do pré-clínico, todos esses estudos precisam ser feitos em animais primeiro, in vitro pelo menos, em laboratório primeiro.

Se for seguro, começa a estudar em seres humanos, com as fases necessárias. Provou a eficácia e é seguro, então é submetido a um registro na Anvisa e ela vai então monitorar a produção, certificar essa produção e daí vira um ciclo de produto convencional. O que é importante nesse momento é a participação do CEP-Conep no processo de desenvolvimento. Dr. Jorge vai falar sobre isso, e também da CTNBio, um outro órgão importante do governo. Toda vez que temos um produto geneticamente modificado, terapia gênica é um produto geneticamente modificado, pois um gene de um e um gene de outra espécie e vou fazer a junção disso, então tem que ser avaliado pelo CTNBio também no processo de desenvolvimento nessa primeira parte aqui, pré-clínico e clínico, a Anvisa entra na parte do registro, aí sim o MS vai fazer o estudo para ver se incorpora ou não na lista de medicamentos

e produtos essenciais. Já estamos também para lançar a terceira norma (temos duas normas hoje: uma de boas práticas para a produção desses produtos, uma de ensaio clínico, então hoje tem uma norma que diz como devem ser os ensaios clínicos no Brasil, como o paciente pode se comportar, quais são as regras para a segurança do paciente e dos dados de quem está desenvolvendo o produto, que é a RDC 260) e estamos para liberar nos próximos meses provavelmente, está em consulta pública, a norma de registro.

Essa norma de registro dirá isso: quais são os elementos para comprovar eficácia e segurança e qualidade do produto para ele poder ser usado em seres humanos em larga escala. Porque quando você está em uma pesquisa, você está em ambiente controlado, o médico ali está controlando periodicamente, é um paciente sujeito de pesquisa muito bem definido, mas quando passa a usar na população, aumenta o espectro do uso, então precisa ter mais segurança e mais qualidade do ponto de vista de uso.

Então essa norma vai tratar um pouco quais são os elementos, estamos discutindo mecanismo de registros simplificados chamados registros acelerados, isso é muito importante para esse tipo de produto, esses produtos estão no âmbito de doenças raras, estão no âmbito, por exemplo, de doenças órfãs, que não têm alternativas terapêuticas, então não dá para esperar um estudo estatístico, longo, para ter mil pessoas usando porque senão não teremos acesso rápido a esse produto.

Então a ideia seria ter mecanismos simplificados, mecanismos acelerados, com responsabilidade, obviamente, e algum tipo de mecanismo de registro sob condições, e aí vamos casar com a discussão muito pertinente que está acontecendo no Ministério que é sobre o compartilhamento de risco. Isso tem sido feito em outros países, estivemos agora na Europa fazendo um benchmarking com as agências europeias para ver como eles trabalham essa questão do registro sob condições.

O que é isso: eu tenho um produto, ele já foi estudado sob o ponto de vista da segurança, é seguro, e tem indícios de que é eficaz. Por que indícios? A eficácia é um termo quase matemático, eu

preciso ter n resultados para dizer: é estatisticamente é eficaz. Isso acontece com medicamento, com produto para saúde. Nesses produtos, onde estarei trabalhando com doença rara, doenças de poucas alternativas, a possibilidade de eu ter um n para colocar isso como eficácia estatística é muito difícil, então é importante que ele seja seguro, então serão para alguns casos esse tipo de concessão de condições, mas será possível trabalhar um pouco, essa é a proposta, vamos mostrar para a sociedade nos próximos meses, a ideia seria dar oportunidade de registrar esse produto e ele ser monitorado com dados de vida real, ou seja, a empresa ou produtor, quem estiver trabalhando com esse tipo de produto irá monitorar o paciente, a agência estar próxima para saber se está dando tudo certo, se está sendo mesmo eficaz, então é um mecanismo assim, um mecanismo inovador, que será muito importante para o Brasil, para incorporamos esses produtos no País.

E claro que abrirá margem para outros produtos também. A Anvisa tem trabalhado com esse produto como produto piloto, inclusive construiu um escritório de inovação especificamente para esse produto de terapia avançada, na perspectiva de que esse tipo de modelo regulatório e inovador possa também ser usado para outros modelos, para produtos para saúde, hoje temos próteses personalizadas, medicamentos ultramodernos, biológicos, então esse tipo de modelo poderia ser usado em outros modelos também. E a proposta do registro eu trouxe aqui para já ir pedindo a opinião, vocês irem pensando para quando sair a consulta pública todo mundo poder participar.

A ideia é adotar o mesmo princípio do medicamento biológico; esses são modelos regulatórios, só para entendermos o que é o princípio do modelo de medicamento biológico, o que tem que passar por ensaio clínico, registro e certificação de boas práticas, isso é o princípio. Um produto customizado, um tratamento personalizado, um procedimento complexo, temos que lembrar que esses produtos muitas vezes estão ligados à segurança do paciente. É diferente do medicamento.

O medicamento comum, por exemplo, vamos pegar um medicamento sintético qualquer, um paracetamol. Ele é produzido assim,

passou por ensaio clínico, passou por registro na agência reguladora, a indústria recebeu certificação de boas práticas, a empresa produz e coloca nas farmácias. O médico prescreve, o paciente vai lá, usa de acordo com a orientação médica. Esse tipo de produto, de terapia avançada, vão ser produtos otimizados para determinado paciente e muitas vezes num procedimento médico muito especializado, nem todo médico poderá usar determinado produto.

Então o mecanismo de registro é diferente, ele precisa estar concatenado, ligado, “nós vamos liberar esse produto para você usar no Brasil, mas precisa ter um centro dessa forma, um médico especializado dessa forma, para fazermos a conexão do risco, porque senão faremos o risco pela metade”. Então é um mecanismo diferenciado, vamos usar processos acelerados, essa é a perspectiva, principalmente em alguns casos. O que é processo acelerado? É permitir que o paciente tenha acesso e a agência tem que desenvolver mecanismos de monitoramento de vida real, coisa que não temos essa expertise, por isso temos feito parcerias com outras agências internacionais para nos ajudar nesse caso.

Plano de gerenciamento de risco. Será muito importante para a empresa e para o produtor estiver desenvolvendo esse produto apresentar um plano de gerenciamento de risco principalmente em relação a como será a aplicação, a administração, a rede hospitalar que vai fazer esse tipo de produto. E uma certificação adaptada: o grande temor das pessoas é a certificação de boas práticas, porque certificar a produção de um produto estéril como esse não é simples, mas para esse caso é preciso ter mecanismos de adaptação de boas práticas garantindo qualidade sobretudo, mas permitindo que o desenvolvimento aconteça, então essa é um pouco a visão da Anvisa nesse caso.

Aqui é o ciclo de vida do produto, que é o modelo de medicamento que estamos falando aqui: ensaio clínico, registro, fiscalização – esse

ciclo roda, não pode parar. A agência não pode, para esse tipo de produto principalmente, simplesmente registrar e não fazer monitoramento. Então o monitoramento vai ter que desenvolver fortemente na agência. Aqui estão as parcerias que a Anvisa faz, com a agência europeia, a FDA americana, a agência japonesa tem nos ajudado muito porque eles já têm alguns produtos registrados também, é um modelo bem interessante, e a Anvisa faz parte de grupos internacionais de convergência regulatória, o que é isso? Temos que fazer uma norma muito parecida em todos os países, pois esses são produtos globais, que são desenvolvidos em várias partes do mundo.

Se o Brasil tiver uma norma diferente, não vamos conseguir desenvolvimento aqui no país. E aqui tem alguns artigos em língua portuguesa, produzimos algumas ideias regulatórias sobre esses temas, vocês podem ter acesso. Esses produtos no mundo são da ordem de milhões de dólares, há produtos que custam quatro milhões de dólares a dose, então se não discutirmos compartilhamento de risco, será difícil. É uma tecnologia nova, precisa de um monitoramento robusto, então realmente é muito caro. Então as empresas estão investindo milhões para desenvolver esses produtos.

Nessa fase do desenvolvimento, os pioneiros, a tendência é cada vez mais, com o desenvolvimento tecnológico, diminuir esses preços, mas agora tem sido realmente muito alto, então o Ministério começou um bom trabalho na discussão sobre o compartilhamento de risco, que será importante para esses produtos. E a ideia é discutir. Esse é um dos fóruns, temos conversado muito com a Tania, já tem uns três anos que discutimos isso aqui, traz para vocês isso porque só vamos conseguir fazer uma regulação bem feita, obviamente com as empresas, pesquisadores, MS, mas com pacientes. Todos precisam entender o risco e o benefício. Vamos ajudar para que consigamos desenvolver produtos que realmente superem os benefícios dos riscos. Muito obrigado!

DR. JORGE ALVES DE ALMEIDA VENÂNCIO

Coordenador da Comissão Nacional de Ética e Pesquisa (Conep)

IMPACTO DO PL 7.082 NA PESQUISA CLÍNICA NO BRASIL

Primeiro quero dizer uma rápida palavra sobre a função do sistema CEP/Conep, que é o sistema de regulação ética que existe no Brasil há quase 23 anos, começou em 1996, na gestão do então professor Adib Jatene no MS. Um sistema de regulação ética como o nosso, existe no Brasil e no mundo todo, pois seu objetivo é proteger as pessoas que participam das pesquisas clínicas em primeiro lugar, mas nas pesquisas em geral, os seres humanos. Porque muito frequentemente, quando uma pessoa é convidada para participar de uma pesquisa, ela está em uma situação muito vulnerável. Imaginem uma pessoa que acabou de receber o diagnóstico de câncer, por exemplo.

Ela está brigando pela vida, a última preocupação será se seus direitos estão sendo minuciosamente respeitados ou não na pesquisa. Exatamente por essa situação é que no Brasil e no mundo todo existe um sistema de regulação ética para proteger as pessoas que participam das pesquisas e os direitos delas também. Então essa é a função do sistema CEP/Conep.

A Conep coordena um sistema com comitês de ética no Brasil inteiro, nos hospitais, universidades, Secretarias de Saúde, são mais de 800 comitês espalhados em todas as unidades da Federação, desde os três no Amapá e no Acre até os 207 aqui no estado de SP. Assumimos a coordenação da Conep já tem seis anos, foi em 2013, e quando chegamos a situação estava difícil, pois os tempos de tramitação estavam muito elevados. E conseguimos identificar os diversos gargalos que estavam produzindo essa situação, conseguimos enfrentar cada um deles e já estamos há três anos com o tempo de tramitação abaixo de 30 dias. 25 dias é o tempo para tramitação na Conep hoje em dia. Então em três anos isso aí estável, em nenhum momento passou de 30 dias, consideramos que a questão fundamental está resolvida. Aqui a queda nos prazos, o último cortou um pouco, mas é 25. E aqui os últimos três anos mostrando como a situação ficou estável.

Agora vamos analisar o PL 7.082, que está tramitando no Congresso há quatro anos, desde 2015. Ele chegou a passar no Senado e atualmente está na Câmara. Já foi apreciado na Comissão de Ciência e Tecnologia no ano passado, e na terça passada foi analisado na Comissão de Seguridade Social e Família. Ainda temos uma tramitação relativamente longa pela frente, teremos agora a Comissão de Constituição e Justiça, que vai analisar não só a constitucionalidade, mas também o mérito do projeto, e depois tem plenário, emendas de plenário, volta para as comissões para analisar as emendas de plenário, depois volta para o plenário para fazer a análise final da Câmara.

Quando concluir todo esse processo na Câmara, ele vai para o Senado e vai para as comissões do Senado novamente para analisar as alterações que a Câmara fez no projeto aprovado no Senado. Então imagino que temos dois anos para mais pela frente nesse processo. O projeto tem, a nosso ver, alguns vícios e erros fundamentais. O primeiro deles, que considero o mais importante, é que ele está partindo de uma lógica que é a seguinte: para progredirmos, temos que diminuir os direitos das pessoas, os doentes, o que me parece um paradoxo. Não vejo num progresso que faz as pessoas viverem pior, com menos direitos do que tinham antes.

Progresso, para mim, para valer, implica em melhorar a vida das pessoas, e não piorar. Então essa é a primeira questão. Ele analisa como se os laboratórios, os patrocinadores das pesquisas fossem os coitados na história, estão numa situação muito frágil, precisamos melhorar as condições para eles fazerem pesquisa no Brasil tirando os direitos dos doentes, o que nos parece algo equivocado. Primeiro que a situação dos patrocinadores não está de fragilidade expressiva, muito pelo contrário: noutro dia, eu conversava com um alto diretor da indústria farmacêutica aqui no Brasil e ele me deu dado que a lucratividade nas pesquisas clínicas oficial é de

40% a 42% ao ano, o que não me parece uma lucratividade pequena.

Ao contrário, acho que pouquíssimas atividades econômicas dão essa margem de lucro. Segundo: os laboratórios têm uma política mundial, concentram as pesquisas em suas matrizes ou nas regiões muito próximas a essas matrizes. E não será tirando os direitos dos doentes aqui no Brasil que vamos fazer essa política ser modificada. Então vamos discutir, procurar ver as formas de avançar? Estou plenamente de acordo, não estamos satisfeitos com o que temos, mas a primeira coisa para progredir é valorizarmos o que temos construído. Vou procurar mostrar que os avanços que temos no Brasil não são pequenos nessa área de pesquisa clínica.

Vamos entrar no que o projeto propõe, nessa última versão que foi aprovada na Comissão de Seguridade na terça passada. O principal direito de um participante de pesquisa é o direito a receber o medicamento depois que a pesquisa acaba. Ele ajudou a testar o medicamento; se ele teve benefício com a pesquisa, ele passa a ter o direito de receber gratuitamente aquele medicamento depois do fim da pesquisa enquanto houver benefício. Isso agora. Por que isso? Imaginem o exemplo que eu dei, uma pessoa que está com câncer, entra na pesquisa e melhora. Um ou dois anos depois, a pesquisa acaba. O que fazemos?

Mandamos ele embora para casa e se virar? Seria uma desumanidade. Por isso, ele passa a ter o direito de receber o medicamento que ele ajudou a testar, se houve benefício. Se não houve, ele não vai tomar o remédio que não serve para nada ou que piora. A lógica atual é essa. O que o projeto propõe? Ele tem todo um capítulo sexto que coloca no fundamental o critério nas mãos dos patrocinadores e secundariamente dos pesquisadores. Atualmente, como é? Quem decide se a pessoa terá direito ao pós-estudo é o médico da pesquisa ou o médico do paciente, ambos com o mesmo poder de fazer a prescrição. Isso estimula inclusive que eles se entendam, que conversem e cheguem a uma conclusão comum.

Se damos o poder só para o médico da pesquisa, que está sendo remunerado pelo patrocinador, e não é pouco, existe conflito de interesse nisso, então colocamos que quem decide

se há pós-estudo ou não é o patrocinador e só o médico da pesquisa, estamos colocando o interesse do participante da pesquisa em segundo plano. Esse é o problema básico da proposta que está colocada aqui. Então reparem aqui os artigos. O primeiro que fala sobre isso é o 37: “O patrocinador e o pesquisador deverão avaliar a necessidade da continuidade do fornecimento do medicamento experimental após o término da participação de cada indivíduo no ensaio clínico”. É o conflito de interesse que coloquei. O 38 é a mesma coisa: “Antes do início do ensaio clínico, patrocinador e pesquisador submeterão ao CEP um plano específico para cada ensaio clínico, apresentando e justificando a necessidade ou não de fornecimento gratuito do medicamento experimental pós-estudo”.

39: “O patrocinador e o pesquisador deverão realizar, antes do início do ensaio e durante sua execução, conforme disposto em regulamento, uma avaliação sobre a necessidade de continuidade do fornecimento do medicamento experimental pós-ensaio clínico”. Sempre a mesma toada. E aqui o comentário nosso. É importante observar que o artigo 39 diz que o patrocinador e o pesquisador deverão realizar, antes do início do ensaio e durante sua execução, uma avaliação sobre a necessidade de continuidade do fornecimento do medicamento, ou seja, deixou de ser obrigatório, passará a estar em discussão. Se não houver benefício ao paciente, claro que não haverá pós-estudo.

Ou casos de pesquisa, por exemplo, testando um antibiótico para curar pneumonia, a pessoa ficou curada, não vai dar remédio para ela depois. Tem casos em que não há pós-estudo, mas o direito a ele é um direito que atualmente é consagrado. Só não será usado se não houver benefício ao paciente. Aqui ele inverte a lógica. Passa a ter uma discussão se haverá pós-estudo ou não, antes inclusive de a pesquisa ser feita. 41: “O patrocinador será responsável pela avaliação global dos riscos...”.

Mesma coisa, o critério o tempo todo sendo esse. 42: “O patrocinador garantirá aos participantes da pesquisa o fornecimento gratuito pós-ensaio clínico do medicamento experimental sempre que este for considerado pelo pesquisa-

dor como a melhor terapêutica para a condição clínica do participante da pesquisa...”, mesmo critério. Comentário: “O artigo coloca mais um condicionante para a manutenção do medicamento experimental quando da existência de benefício, definindo o fornecimento apenas se não houver outros tratamentos disponíveis...”.

Isso aqui é uma questão importante, ele coloca como uma das condições em comparação com os demais tratamentos disponíveis. Vamos ver que muitas vezes há tratamentos que você tem uma eficácia relativamente parecida com a do medicamento testado. Aí você tem um medicamento com eficácia parecida, já é pretexto para interromper o pós-estudo. Então reparem a lógica que está presidindo esse conjunto de artigos. Por último, o artigo 44, que coloca as condições para suspender o pós-estudo. E ele começa com quatro incisos que são mais ou menos óbvios. Decisão do próprio participante.

Aqui eu até brinquei que isso parecia uma elaboração daquele personagem do Eça de Queiroz, o conselheiro Acácio que fala o óbvio ululante. Então se o paciente não quer receber o remédio, quem vai prescrever? Os três itens seguintes, a mesma coisa: “cura da doença”, ninguém vai dar remédio para quem estiver curado; “quando o uso continuado do medicamento não trouxe benefício”; “quando houver reação adversa que, a critério do pesquisador, inviabilize a continuidade do medicamento...”, a mesma coisa, não vai insistir em dar o remédio. Aqui vem o X da questão. “Impossibilidade de obtenção ou fabricação do medicamento...” Aqui na versão original do relator, quando o laboratório suspendia a produção do medicamento que ele testou, o participante perdia o direito ao pós-estudo, que é completamente diferente da realidade atual. Nós criticamos isso, isso aqui ele alterou, aceitou mudar e colocou que, nesses casos, o patrocinador fornece a alternativa terapêutica mais eficiente existente. “Após cinco anos da disponibilidade comercial...”, então repara: hoje em dia, o pós-estudo é por tempo indeterminado, ele está colocando um limite, e não é obrigatório cinco anos para todos, é um limite de cinco anos, é isso que está dito na proposta. Então teve registro na Anvisa, conta cinco

anos pra frente; mais do que cinco anos, não tem pós-estudo, é essa a situação.

E isso pode ser interrompido antes, segundo outras condições ou quando houver a incorporação ao SUS. Então repara, primeiro: “Ao definir que o medicamento experimental poderá ser descontinuado quando houver ‘alternativa terapêutica satisfatória’...”, é exatamente aquilo que falei, tem remédio que é razoável, o suficiente, você deixa de ter a lógica de que precisar ter o melhor tratamento possível, e passa a ter a lógica de que precisa ter um tratamento satisfatório.

Primeiro que satisfatório é uma coisa altamente subjetiva. Satisfatório para um desconhecido, é uma coisa. Satisfatório se for para alguém da família deles, o critério seguramente vai ser diferente. Então reparem o grau de subjetividade no tratamento dos direitos dos doentes nesse tipo de redação. Segunda questão: “Limita o tempo do pós-estudo a um máximo de cinco anos”. Além disso, transfere, quando um medicamento é incorporado hoje, o que é uma despesa privada, passa a ser transferida para o SUS. E sabemos que as verbas do SUS estão congeladas por 20 anos, pela emenda 95 e não é necessário muita sagacidade para percebermos que está faltando remédio em tudo quanto é lugar, basta ouvir o jornal das sete horas da manhã na TV.

Se ainda vamos pegar despesas que hoje são privadas, que não representam uma despesa elevada para os patrocinadores, muito pelo contrário, nós temos conversado bastante com eles, eu pergunto para eles “quantos participantes vocês têm em pós-estudo no Brasil?”, o laboratório que me falou o número maior até hoje falou em 400, a maioria tem 100, cento e poucos, às vezes até menos. Isso é uma despesa intolerável, que faz as pesquisas ficarem desequilibradas economicamente? Não é verdade.

Onde existia algum desequilíbrio, que era nas doenças muito raras, nós tomamos a iniciativa de limitar o tempo do pós-estudo, que ali foi uma demanda inclusive das próprias associações da área, que estavam tendo dificuldade em fazer pesquisa no País, as pesquisas acabavam indo para outros países e os participantes bra-

sileiros ficavam prejudicados, então isso foi uma situação concreta e tomamos providências e faz um ano e meio de uma resolução nova diferenciando o tratamento das doenças muito raras. No geral das doenças, isso é uma despesa relativamente pequena, e vamos pegar essa despesa e passar para a conta pública.

Com a verba congelada, é matemática, vai aumentar a falta de medicamento que já existe hoje. Vemos aí: pessoa faz um transplante, que custa bem caro, e depois não tenho remédio para evitar a rejeição do transplante; ou HIV, é um tratamento que tem que ser contínuo, quando você interrompe e volta dois, três meses depois, muitas vezes a pessoa desenvolve resistência ao antirretroviral, e aí sabe deus como resolve a questão, tem que usar remédios mais caros ainda, ou às vezes nem tem solução a coisa, nem sempre o novo remédio vai ter o mesmo efeito que o remédio antes da interrupção gerava.

Então nesse momento em que estamos nessa situação difícil, a proposta é passar mais despesas do setor privado para o setor público, o que a meu ver só tem como consequência agravar essa dificuldade. Sobre o placebo, repare. O texto que foi aprovado na comissão anterior, que achávamos bom, dizia no final o seguinte: “Parágrafo único. Em caso de placebo combinado com outro método de profilaxia, diagnóstico ou tratamento, o participante da pesquisa não pode ser privado de receber o melhor tratamento ou procedimento que seria realizado na prática clínica”. Placebo é pílula de farinha.

Em qualquer pesquisa, você compara o medicamento que você está testando com outra coisa. Quando não tem tratamento, compara com pílula de farinha, para evitar os problemas psicológicos que às vezes distorcem o resultado da pesquisa. Quando tem tratamento, não tem sentido você tratar as pessoas do grupo comparador sem remédio nenhum. Seria uma desumanidade. Então você tem que dar o melhor tratamento para ele e pode dar o placebo apenas para ele não saber se está tomando o medicamento da pesquisa ou placebo, mas ele tem que estar recebendo o melhor tratamento. A redação que veio da comissão anterior foi essa, que estava boa.

Daí o relator primeiro fez uma redação que distorceu mais a coisa. Pressionamos ele e ele melhorou um pouco e falou em “receber o melhor tratamento disponível ou o preconizado em PCDTs do MS ou em protocolos terapêuticos...”, até aqui tudo bem. Aí cobramos que a última alternativa, quando não houver o PCDT do MS, seria o protocolo da sociedade de especialidade médica.

E ele botou isso aqui: “...por médicos especialistas da área objeto do estudo”. Conseguir alguns médicos especialistas pra fazer um parecer não é algo muito difícil, e isso aqui é um risco ao direito dos participantes. Essa questão consideramos que não está satisfatória, tem que ser melhorada também, que é conseguir dois ou três especialistas para fazer um parecer, não é algo tão difícil, e não necessariamente ser a opinião da sociedade da área, do consenso da área médica em relação a isso, então é uma questão que está ambígua do jeito que está redigida aqui. Brecha para o prejuízo do participante.

Por último, em relação ao projeto 7082, nos artigos que falam da composição da Conep: qual o problema central aqui? Inicialmente, as propostas que o relator apresentou, ele fez quatro substitutivos diferentes no período, ele deixava claro que queria tirar a Conep do lugar que estava e passar para dentro do Ministério. A consequência principal disso é que no Conselho Nacional de Saúde hoje em dia, a Conep tem total independência, inclusive a escolha de seus membros é feita por uma comissão paritária, metade da Conep, metade Ministério.

Como não tem maioria, você tem que vencer a outra parte de seus argumentos, sobre quem merece vir para cá. Esse critério tem sido tão positivo que nós estamos com o melhor da universidade dentro da Conep. Temos reitores, pró-reitores, decanos, especialistas das mais diversas áreas, uma comissão altamente qualificada. Se você passa a ter uma nomeação política por parte do Ministério, o risco de isso desandar é grande. Mostramos isso e a opção do relator foi a seguinte: ele simplesmente não definiu onde fica a Conep, o projeto foi aprovado e é um mistério onde está a Conep.

Ele fala uma série de coisa, mas quem nomeia os membros da Conep? Não está dito. Como que a Conep vai ser constituída? Quando a lei não define, quem vai definir é a regulamentação da lei que vai ser elaborada na Casa Civil. Na prática, se o projeto for aprovado dessa forma, o Congresso estaria se omitindo de definir como seria a composição da Conep e delegando isso à regulamentação da lei e sabe deus o que vai acontecer. Portanto o risco de prejuízo para a independência da Conep por esse caminho nos parece acentuado.

Aqui está a composição que eles estão propondo. Ele chegou a propor a redução dos representantes de CEPs para um terço da comissão. Quando criticamos, ele voltou a dois terços. Mais cinco outros representantes, mas tem esse artigo misterioso: “A Conep definirá em norma específica o processo de indicação de representantes para o plenário, cuja composição deverá ser renovada a cada biênio, conforme os critérios estabelecidos nesta lei”. O problema é: isso vale para a Conep atual ou só para a que vai ser criada depois?

É completamente diferente. Daí pedimos para ele fazer uma regra de transição do sistema atual para o próximo e bota na lei. Não aceitou. Então estamos bem desconfiados que, ao se delegar isso à Casa Civil, o que está se querendo é manter a proposta original que ele apresentou que era passar inteiramente para as mãos do Ministério e que deixe de ter a independência atual. Agora um pouco da discussão geral aqui. Se alega muito que esse é um caminho para as pesquisas crescerem no Brasil.

Vamos analisar a situação mundial. Esses são os dados do site do Clinical Trials, que é um site do governo americano. 40% das pesquisas nos EUA, 28% na Europa e 32% no resto do mundo. Nesses 32%, qual a posição do Brasil? Quinto lugar, após Canadá, China, Coreia e Israel. Passamos a Austrália recentemente, estamos à frente do Japão, terceira economia do mundo, dos outros BRICs, Rússia, Índia, África do Sul, México, Argentina e por aí vai. Temos que melhorar, mas aqui não é o pior lugar do mundo para fazer pesquisa, é só olhar isso aqui. Essa é a realidade concreta.

Se analisarmos, e eles vieram com esse argumento na reunião que tivemos, “no Brasil, quando vamos analisar o índice per capita, se dividir a quantidade de pesquisas pela população, aí o Brasil fica mal”, pega os BRICs, se botar per capita, o Brasil passa para primeiro, porque a China tem seis vezes a população do Brasil e o dobro das pesquisas. Estamos na frente da Índia, que tem uma população maior, Rússia tem uma população pouco menor que a nossa, então estamos em primeiro lugar dos BRICs por exemplo, se formos analisar o índice per capita.

Então esses argumentos são falaciosos. E aqui a pergunta que fiz no congresso, na apresentação que fizemos na audiência pública: “O que o Brasil ganharia avaliando de forma mais negativa seus centros de pesquisa e o trabalho de seus pesquisadores, do que a análise realizada pelo próprio governo norte-americano e divulgada pelo seu site oficial?”, a que mostrei para vocês. Quer dizer, é assim que vamos progredir, nos desvalorizando? Acho que o jeito de progredir é primeiro valorizar o que temos e a partir daí ver o que precisa mais pra frente. Aqui uma outra questão importante, o exemplo da Índia. Ela foi um lugar onde se praticou essa política de reduzir os direitos dos pacientes. Em 2005, eles fizeram o que chamaram de desregulamentação ética. E o resultado foi um desastre.

Houve um tal morticínio nas pesquisas clínicas, que gerou esse tipo de manchete no maior jornal do país, Times of India, na época: “370 morrem em pesquisas clínicas em dois anos; apenas 21 conseguiram indenização”. Esse é o grau de desgaste que as pesquisas clínicas passaram a ter na sociedade. E a Índia hoje tem pouco mais de 50% das pesquisas do Brasil. Algumas pessoas pensam que a Índia é um país atrasado, mas não é. Ela tem um PIB maior que do Brasil, se for considerar o PIB per capita e o PIB por poder de compra, é bem maior que o nosso. Eles têm uma área científica razoavelmente desenvolvida, tanto que há cientistas indianos em muitos países.

Eles têm renda per capita menor que a nossa, pois eles têm uma população muito grande. Mas estão crescendo o PIB, já há dois anos mais

que a China, 7% ao ano. Então não estão nessa situação de crise que estamos aqui. No entanto, nas pesquisas clínicas, fruto desse erro de 2005, eles têm menos de 60% das pesquisas clínicas que temos no Brasil. Esse caminho de reduzir direitos e deixar os participantes morrerem gera esse tipo de reação. Aqui algumas revistas científicas de lá: “Incerteza na regulação afeta as pesquisas clínicas na Índia”, “Desde que a regulamentação na Índia foi alterada em 2005, em uma tentativa de liberar a realização de ensaios clínicos de drogas, as empresas têm se direcionado para lá devido à diversidade genética da população”, que aqui no Brasil também existe. “(...) Dados do governo mostram que mais de 2.600 pacientes que participaram de ensaios clínicos na Índia morreram no período entre 2005 e 2012, e quase 12 mil sofreram efeitos adversos sérios. Destes, 80 mortes e mais de 500 efeitos adversos sérios foram diretamente atribuídos à droga que está sendo estudada.” Esse é o caminho que temos que evitar, se quisermos ir pra frente. Aqui um dado final, a quantidade de pessoas participantes de pesquisas clínicas em 2017, o último em que fizemos esse levantamento, 459.225. então não é um problema de pouca gente no Brasil, e sim de muita gente participando.

Para concluir, quero citar uma coisa. Lá na discussão da Comissão de Seguridade, na hora

da votação, quando o relator já sabia que ia ganhar a votação, ele fez questão de me fazer um ataque pessoal, dizendo que eu estava numa posição cômoda na Conep e ele estaria combatendo os privilégios e a Conep teria um trabalho que estaria atrapalhando as pesquisas no País. Eu queria argumentar o seguinte: primeiro, o trabalho que fizemos nesses seis anos foi claramente de melhorar a situação da análise ética no Brasil, e com trabalho voluntário tanto meu quanto do conjunto dos relatores da Conep, não ganhamos um centavo. Gostaríamos que houvesse mais deputados trabalhando com essa comunidade e esse privilégio. Ele disse também que atrapalhei muito a aprovação do projeto porque eu ficava conversando no ouvido dos deputados, acho que fiz minha obrigação.

Considere esse ataque uma condecoração. Vindo de quem veio, foi um elogio até. Estamos pensando em continuar a fazer isso porque acho que é nossa obrigação, não podemos deixar passar um projeto desse, conseguimos reduzir o dano em diversas questões, que mostrei aqui algumas, mas o projeto continua muito ruim e precisa portanto ser enfrentado, e precisamos o mais possível da participação de todos, das associações de pacientes e tudo mais porque isso é fundamental para poder evitar que tenhamos um retrocesso muito marcante na defesa dos direitos dos pacientes. Muito obrigado!

PERGUNTAS

A questão da restrição orçamentária é levada em consideração pela Conitec na hora de analisar o custo-efetividade do medicamento ou terapia avançada?

Dra. Eliana Cortez

É claro que para se incorporar uma tecnologia, também é preciso verificar se há orçamento. Normalmente, quem faz essa avaliação não é a Conitec, é a área onde o medicamento vai entrar. Por exemplo, medicamento de componente especializado, é o Departamento de Assistência Farmacêutica que faz a avaliação do impacto dessa tecnologia no orçamento do componente especializado. É importante lembrar, e é um outro desafio, que para os medicamentos entrarem na Rename, também precisa definir em que componente eles vão entrar, precisa ver suas características, mas que tudo é pactuado na tripartite. Então o Conass, Conasems também se manifestam.

O que está acontecendo hoje? Como isso não vem acontecendo antes de se publicar a incorporação e é o Ministério que publica, hoje verificamos, acompanhando as atas da tripartite, que o Conass e o Conasems estão dizendo: Ministério, foi você que incorporou, é você que vai pagar a conta. Então não tem como não se avaliar o impacto orçamentário que isso terá para o gestor e, nesses medicamentos principalmente de alto valor agregado, claro que a pressão é para ficar mesmo com o MS ser o financiador e ele tem que avaliar se tem o orçamento para isso.

Entendemos que os órgãos reguladores atuam juntos. Na sua opinião, essa interligação é importante e caminha de forma adequada?

João Batista da Silva Jr.

Podemos pegar como exemplo aqui o Conep, que é um órgão regulador, a Anvisa, a Conitec

tem um papel importante. Podemos colocar como exemplo os órgãos de representantes de profissionais, como o Conselho Federal de Medicina, conselhos de outras profissões também, pensando nisso como um modelo regulatório. No primeiro momento, o que a sociedade vê é que tem muita gente fazendo muita coisa e isso tudo aparentemente dificulta numa análise mais fria, não aprofundada, o que esse tanto de órgão poderia dificultar o processo. Mas eu penso que quanto mais visões eu tiver daquele processo, melhor será o trabalho. Acho que temos, como Estado brasileiro, é organizar as instituições para que elas sejam mais dinâmicas e interligadas em seus processos. Mas acho que o Brasil tem hoje um modelo regulatório, com órgãos diferenciados, importante para a questão da segurança nesse processo.

Dr. Jorge Alves de Almeida Venâncio

Especialmente com a Anvisa, temos tido uma boa colaboração. Por exemplo, nessa área de terapia celular, temos tido uma discussão grande sobre os processos, como seria, claro que nós com foco em proteger o participante da pesquisa e eles com o foco de proteger quem vai consumir o medicamento posteriormente à aprovação. Mas, guardada essa diferença, temos tido um diálogo bastante intenso sobre quais os cuidados necessários ter, foi uma conversa bem positiva.

João Batista da Silva Jr.

A relação entre os setores do Estado é importantíssima, mas em todos esses setores do Estado é importante ter mecanismos de participação social nesse processo de decisão. Mas é difícil porque estamos em um âmbito muito técnico, tanto Conep quanto Anvisa, Conitec, mas já há modelos internacionais usando participação de

pacientes em câmaras técnicas, dando resultados. Acho que podemos pensar nisso para o futuro. Sei que a Conep, Conitec, tem participação de pacientes, mas a Anvisa tem pouco isso, e acho que podemos avançar em mecanismos de maior participação mais efetiva de associações de pacientes e profissionais. Acho que pode ser um caminho para a Anvisa no futuro.

Fora o ambiente da consulta pública, quais outros meios e/ou espaços existem para a participação ativa dos usuários do SUS? Existem mecanismos de inclusão que possibilitem a participação nas consultas públicas sem depender da internet? Quais seriam as esferas públicas responsáveis em nível municipal em garantir a participação do usuário dentro da tomada de decisão?

Dra. Eliana Cortez

Qual é a participação, o aceite da sociedade ali na Conitec, é por meio do Conselho Nacional de Saúde, que é a vaga do que está no Conselho Nacional de Saúde se entende que a sociedade está representada ali, por meio desse representante, mas, se não for pela internet, não sei se você pode encaminhar. Se você tiver acesso e tiver como encaminhar sua contribuição, acredito que possa fazer essa solicitação à Secretaria Executiva da Conitec para ver se eles aceitam ou pode até se pedir isso para que não limite que a única forma seja por meio de um formulário eletrônico, o FormSUS, que é a forma de se fazer a contribuição na consulta pública.

Mas eu acho que vale a pena já fazer esse questionamento porque quem sentir que está sendo lesado por não ter acesso à internet e não pode participar, acredito que pode ser feito, tanto para a Secretaria Executiva da Conitec quanto para Secretaria de Ciência e Tecnologia ou mesmo levar esse pleito para o Conselho Nacional de Saúde para o que representa a sociedade, para que o Conselho leve essa demanda da sociedade que está sentindo que gostaria de outra forma de participar que não seja exclusivo pela internet. E o pleito também deve ir para os Conselhos de Saúde, municipal, estadual, discutir com os gestores, secretário municipal, de que forma o

cidadão pode contribuir que não seja por meio eletrônico. Talvez pode-se viabilizar isso para o usuário via Conselho Municipal de Saúde.

No caso da hemofilia, existem novos medicamentos a serem incorporados? Como funcionam as reuniões da Conitec para análise dessas tecnologias?

Dra. Eliana Cortez

Primeiro essa demanda precisa estar lá. O Ministério também pode demandar, não precisa ser só a indústria, também pode ser um cidadão que queira e encaminhar essa solicitação. Claro que não está previsto isso, tem que preencher um formulário, e acho que isso inviabiliza um cidadão de preencher aquele formulário que a Conitec exige para fazer esse pleito. Nesse momento, sei que o Tony já está pleiteando isso, uma cadeira na Conitec, mas isso não está previsto. O que está previsto é que a sociedade está representada no plenário da Conitec por meio desse assento que é do Conselho Nacional de Saúde. Hoje, é assim, mas acredito que o cidadão pode se manifestar pleiteando isso para o MS ou via CNS.

Quando e quem definirá se Conep irá ou não para o MS?

Dr. Jorge Alves de Almeida Venâncio

Quem define, no momento, é o Congresso Nacional, depois o presidente da república sanciona ou não a lei que eventualmente foi aprovada. Ainda temos, como falei, uns dois anos pela frente, pelo menos, então temos bastante chão e temos procurado pelo menos diminuir os prejuízos e tentar evitar que eles aconteçam, que é o que temos procurado fazer na discussão dentro do Congresso. Mas quem decide, em princípio, é o Congresso. Está fazendo uma proposta de lei, se for aprovada, teremos todos que cumpri-la se virar lei realmente. Mas, enquanto estiver havendo a discussão, é hora de intervirmos para evitar que saia alguma bobagem importante como está parecendo que está acontecendo até agora.

O que as principais agências regulatórias internacionais têm feito no sentido de dar um marco regulatório às novas terapias avançadas?

João Batista da Silva Jr.

A terapia avançada é realmente nova no mundo. Na questão Brasil, apesar de não termos produtos registrados ainda – os primeiros produtos começaram a ser registrados em 2007, 2008 nos EUA e Europa. Isso é muito novo. Estamos muito próximos dessas agências, recentemente estivemos na Europa discutindo com eles e eles também estão patinando e pensando em que mecanismos trabalhar. Temos que pensar que o mecanismo de avaliação é muito novo, então, por exemplo, há questões de ensaios clínicos diferenciados. Para produzir um medicamento convencional, tem fase 1, 2, 3, isso está bem estabelecido, cada fase tem sua função. Com os medicamentos de terapia avançada, muda todo esse esquema. Não se fala mais em fase 1 e fase 2, se mistura fase 1 com fase 2, o n é muito pequeno, estou falando de uma medicina personalizada. Recentemente, foi registrado um produto chamado CAR T-Cell para oncologia, para um tipo de linfoma, e esse é um produto personalizado. Você coleta do paciente um linfócito T, leva no laboratório, lá faz modificações genéticas nessa célula, a expande e devolve para o paciente pelo mecanismo de ação a que se propõe.

Mudou toda a lógica, eu tenho agora um produto personalizado, uma indústria ligada ao produto, ou seja, uma indústria ligada diretamente ao médico e ao paciente, então essa lógica toda mudou o mecanismo regulatório. As agências internacionais tiveram que fazer um pulo do gato, tiveram que trabalhar com medicina personalizada sem querer. O Brasil também tem acompanhado e agora estamos experimentando isso na carne, porque uma coisa é ouvir nos fóruns e discussões e não chegar no país, e estão chegando no País discussões, na Anvisa.

O pesquisador brasileiro está desenvolvendo, falei em empresa, mas temos centros brasileiros muito bons que já estão começando a desenvolver seus produtos aqui. Do ponto de vista internacional, apesar de não termos produ-

tos ainda, já pegamos uma discussão bastante amadurecida lá fora, mas isso é muito novo para o mundo. Para você ter uma ideia, a terapia gênica, dependendo do tipo de vírus que vai ser usado para ser o carreador dos genes, terá que ser monitorada por 15 anos depois de usar em paciente. Então isso está demandando uma mudança no paradigma regulatório internacional, mas o Brasil está acompanhando esse processo, estamos desenvolvendo mecanismos parecidos, claro que com nossas dificuldades, mas tentando acompanhar o máximo possível para não perder esse timing e trazer esse produto para o País.

Mas isso acontece principalmente nos EUA, que é um dos maiores desenvolvedores, na comunidade europeia; o Japão avançou um pouco também, a Coreia tem avançado também. No Brasil, tivemos um probleminha, acho que é bom compartilhar com vocês, apesar de estarmos discutindo isso desde 2011, 2012, tivemos uma questão jurídica para resolver. A Constituição brasileira, conforme colocado aqui de manhã, coloca essa questão da impossibilidade da comercialização de partes do corpo humano, com fim de proteger mesmo tanto o sangue para transfusão quanto proteger contra o tráfico de órgãos e tudo mais na década de 1980.

E essa discussão foi feita por juristas, passou por tribunais importantes no Brasil para discutir que os produtos de terapias avançadas, pela modificação celular, pela produção daquela matriz em laboratório, passam a ser um produto, e não mais um original que veio do doador. Isso tudo foi uma discussão difícil e atrasou muito nosso processo regulatório, mas em 2016 houve esse entendimento de que é possível tratar isso como um produto terapêutico passível de registro, ou seja, passível de comercialização, e a norma regulatória teve como convergir com as normas internacionais.

Dr. Jorge Alves de Almeida Venâncio

Só um comentário: na Conep, recentemente aprovamos uma pesquisa desse tipo, com CAR T-Cell. A célula é recolhida aqui, levada para o exterior, feita a modificação lá e volta para ser aplicada aqui. Mas isso traz um conjunto de in-

terrogações inteiramente novas. Primeiro: os resultados preliminares lá fora falam na melhoria e eficácia do tratamento, é um tratamento para leucemia, aumento da eficácia em 90%. Por outro lado, os riscos também são maiores, porque dependendo da composição genética da pessoa, às vezes a modificação que é boa para a maioria das pessoas, para ela especificamente tem um efeito negativo. Então há aumento das perspectivas de benefícios e aumento das perspectivas de risco ao mesmo tempo. Daí conseguir pesar na balança esses dois lados é algo que precisará ter um pouco mais de experiência para conseguirmos fazer esse julgamento com equilíbrio, com dados suficientes para ter segurança deles.

Por outro lado, não podemos deixar os participantes de pesquisa na expectativa de ter um processo muito longo para conseguir fazer essas pesquisas, porque elas já estão sendo feitas em outros lugares, então é uma situação delicada, nova, mas que não tínhamos vivido ainda, de aumentar os benefícios e aumentar os riscos ao mesmo tempo. E é um pouco isso que está acontecendo nesse tipo de pesquisa.

João Batista da Silva Jr.

Ele deu um exemplo importante e eu vou dar mais um exemplo regulatório sobre como tem mudado essa mentalidade. Por exemplo, esse tipo de produto você precisa fazer de forma muito acertada sua exportação e importação porque a célula que vai é a célula que retorna.

E não tínhamos essa experiência no Brasil e sabemos as dificuldades que temos com importação, então está mexendo com uma estrutura dentro da própria Anvisa de como trabalhar com isso de forma que essa célula que vai para fora

para fazer a modificação necessária e voltar para o paciente tem que ser rápida e dinâmica e garantir a conservação desse produto biológico que é produzido e tem que ser usado rapidamente no paciente, então tudo isso muda o mecanismo regulatório como um todo para garantir a conservação desse material, tanto na pesquisa quanto na produção e qualidade. Acho interessantes esses desafios, mas ao mesmo tempo requer uma articulação com os vários órgãos, e uma discussão que muitas vezes não temos na nossa caixinha a resolução do problema.

Dra. Eliana Cortez

Fico imaginando o desafio que vai ser pensar em política pública para isso. Aí vai ter que pensar muito fora da caixinha, até entender como isso vai acontecer, pensando em política pública, hoje não consigo nem pensar.

João Batista da Silva Jr.

Um dos mecanismos que a Inglaterra tem usado é muito parecido com o compartilhamento de risco, porque muitas vezes esses produtos, como o Dr. Jorge colocou aqui, você não sabe muito bem como é a eficácia, ainda é recente. A própria terapia gênica, como a Dra. Eliana colocou, será que esse gene vai expressar por quanto tempo? Então não sabemos. Tudo vai estar sendo estudado ainda. E vai privar o sistema público?

Essa questão do compartilhamento eu coloquei como um fator importante a ser aprimorado e discutido porque pode ser um caminho. A Inglaterra tem usado isso, o Canadá, que tem sistemas públicos, e vamos ter que nos aproximar para saber como eles têm trabalhado diante dessas novas tecnologias como um todo.



PAINEL

DESAFIOS DA JORNADA EM BUSCA DE QUALIDADE DE VIDA

- 1. DRA. CLAUDIA LORENZATO**
hematologista responsável pelo tratamento das
coagulopatias hereditárias no estado do Paraná
- 2. MARIA CECÍLIA MAGALHÃES PINTO**
Presidente do Centro dos Hemofílicos do Estado de São Paulo
- 3. ANDREA DE ALMEIDA SAMBO**
Enfermeira da Unidade de Hemofilia do Hemocentro da Unicamp

PERGUNTAS

DRA. CLAUDIA LORENZATO

hematologista responsável pelo tratamento das coagulopatias hereditárias no estado do Paraná

ACESSO AO DIAGNÓSTICO E TRATAMENTO – HEMOFILIA E VON WILLEBRAND

Dra. Margareth já mostrou essa linha do tempo com as diversas modalidades de tratamento que vimos evoluindo desde 1950. Certamente, o grande marco foi o início das profilaxias, com a Dra. Inga Marie. A ideia é que o paciente hemofílico grave passe a se transformar através da infusão do fator em hemofílico moderado. Dessa forma, ele não vai sangrar os pequenos traumas, os ditos sangramentos espontâneos. No Brasil, só foi implementado pela Coordenação Geral de Sangue e Hemoderivados em 2011 e oficializado em 2014. A profilaxia primária é aquela em que protegemos as crianças pequenas, desde o primeiro sangramento. Mas como começou muito tarde no Brasil, foi necessário que os pacientes adultos também tivessem essa oportunidade e então foi oficializada a profilaxia secundária ou terciária como é realmente denominada.

Barreiras – Acesso ao diagnóstico e tratamento. Sem dúvida, uma das grandes barreiras ao acesso ao diagnóstico é a imensidão do nosso país. O Brasil é muito grande, tem muita diversidade de relevo e geografia, e isso faz com que a densidade populacional varie bastante. É por isso que observamos essas diferentes densidades de pacientes de acordo com cada estado e cada região. Baseado no perfil de coagulopatias que foi publicado em 2018 referente a 2016, podemos observar esse fato aqui. SP é a região que tem maior densidade populacional e vai diminuindo de forma que temos pacientes com hemofilia A em todo o território nacional, mas concentrado principalmente aqui nas regiões sudeste e sul. O mesmo se refere aos pacientes com hemofilia B. Os números que eu mostro ali são um pouco diferentes dos números que o Dr. Vormittag mostrou em função de que ele tem dados mais atualizados, que são de 2018 e eu mostro os relacionados a 2016, que é o que está disponível na Biblioteca Virtual de Saúde. Uma das grandes barreiras é a observação daqueles pacientes que

não foram testados ou ainda não têm diagnóstico. Por exemplo, aqui no diagnóstico de hemofilia A, existe uma taxa que varia de zero a 95% de pessoas que não foram testadas em seus estados ou que não foi informado no Coagulopatias. Isso dá um total de 1.339 pessoas. Observamos que há estados que têm 18%, 13% de falta de informação. O mesmo acontece em relação ao inibidor. O que isso impacta? Primeiramente em um diagnóstico empírico: acho que Fulano tem hemofilia A grave. Ele vai receber um tratamento empírico, vai receber como se fosse grave, podendo ser moderado. O tratamento dessa forma não será individualizado como preconizamos que seja. É preciso que exista um diagnóstico de certeza. E isso impacta também no fluxo das políticas de saúde. Quando vemos aquilo que o Ministério da Saúde precisa comprar para a profilaxia primária, que são os pacientes com hemofilia grave ou menos de 2% que têm um fenótipo hemorrágico, não sabemos como essa criança é, se é grave, leve, moderada, como vai comprar fator para essa criança. O mesmo está relacionado à imunotolerância: acho que meu paciente tem inibidor, mas tem inibidor mesmo ou só tem um fenótipo hemorrágico com uma articulação mais comprometida que não responde bem ao tratamento? Tudo isso precisa ser diagnosticado. Como falei, essa falta de dados impacta na compra das medicações e inclusive no que se fala muito hoje sobre incorporação de novas tecnologias. Coloco como grande barreira a não inserção de dados na Coagulopatias Web, mas também pode ser a falta de acesso a laboratórios de hemostasia. Será que esses estados que não estão informando de forma adequada não é porque eles não têm um laboratório de hemostasia? Para isso, medidas devem ser tomadas. Os laboratórios são de responsabilidade do estado, e não do Ministério da Saúde. Mas, mesmo assim, o MS, através de um planejamento conjunto com o Comitê de Assessoramento Técnico de Hemos-

tasia, fez um treinamento em diversos estados favorecendo que fizessem um diagnóstico de forma mais correta. E está criando um projeto de laboratórios de referência. Se no meu estado, não tenho condições técnicas ou de pessoal para fazer diagnóstico de von Willebrand, eu posso mandar amostra do meu paciente para a Unicamp ou USP para que seja feito. Isso ainda é um projeto que está para ser assinado.

Mas não podemos esquecer que o tratamento da hemofilia não é só fator. O tratamento é multidisciplinar. E aí engloba os hematologistas, enfermagem, fisioterapeuta, ortopedista e inclusive, no centro de tudo, a pessoa com hemofilia. Qual a função do hematologista? Ele é uma pessoa com uma função muito importante. É ele que vai pensar no diagnóstico, investigar, propor o tratamento para o paciente, qual o melhor protocolo e melhor forma que ele vai se ajustar. Vai avaliar as complicações, se é que o paciente já apresenta artropatia hemofílica ou inibidor. Vai avaliar as comorbidades porque há aqueles pacientes que já contraíram hepatite C, HIV; aqueles que devido á artropatia, apresentam dor crônica. Qual a melhor saída, o melhor remédio? É cirurgia, medicação? E o aconselhamento genético. As novas mães são portadoras, filhas de hemofílicos, elas querem ter filhos, o que fazemos? A enfermagem não faz apenas a infusão do fator. Ela tem a função primordial de treinar as UBSs, ensinar a dose domiciliar, autoinfusão. E eu coloquei cuidados gerais entre aspas porque eles são psicólogos, assistentes sociais, são muitas vezes hematologistas, fisioterapeutas, é com eles que a família conversa, abre o coração. Muitas vezes, o médico fica sabendo de determinado problema após relato da enfermagem, então eles são imprescindíveis.

O fisioterapeuta tem a função não só de reabilitar. Sempre pensamos que o fisioterapeuta é aquele que tem que fazer exercício para conseguir aumentar uma amplitude de movimento, para conseguir fazer a pessoa caminhar melhor ou depois da cirurgia. Mas eles nos auxiliam também no perfil musculoesquelético, fazendo com que avaliemos se o tratamento que está sendo proposto é o ideal. Eles também participam na prevenção do sangramento,

favorecendo o fortalecimento muscular. Sabe aquela idade do adolescente, que ele caminha todo torto e cai para um lado e para o outro, se machuca e sangra? Eles nos auxiliam nisso, ensinando exercícios neurossensoriais. Eles orientam sobre esporte. Qual o melhor esporte, qual não é? No Brasil, todo mundo quer jogar futebol. Mas agora está uma moda de jiu jitsu e não sei que mais. Então vamos conversar sobre esporte, o que é melhor daquilo que você gosta? E assim é o tratamento da dor crônica, pois muitos fisioterapeutas fazem acupuntura, através dos exercícios de alongamento daquelas bandagens, aquelas fitas, eles conseguem ajudar no tratamento da dor.

A função do ortopedista, além de tratar as sequelas musculoesqueléticas através das cirurgias de próteses, joelho, quadril, tornozelo, eles trabalham fazendo ressecção e dissecação dos tumores, tratam as sinovites, que são oriundas dos sangramentos crônicos. Mas aqui temos um grande impacto, vários problemas. São poucas as equipes de tratamento ortopédico no Brasil. Faltam próteses adequadas. E é importante que seja incorporado o Protocolo de Radiosinoviotese pela Conitec, que pelas minhas contas faz mais de cinco anos e não conseguimos fazer que haja essa aprovação. Para quem não tem um conhecimento, radiosinoviotese é uma infiltração com uma medicação com radioisótopo dentro da articulação que está tendo muito sangramento. Isso faz o sangramento parar, a pessoa pode fazer fisioterapia e fortalecimento muscular para não voltar a ter sangramentos, então é um tratamento imprescindível. E qual o problema das próteses? Os pacientes são jovens. Um paciente de 30 anos que não recebeu o tratamento de profilaxia em sua infância e adolescência, tem alterações articulares muito importantes e sua articulação fica semelhante à de uma pessoa de 70 anos. Só que se colocarmos a mesma prótese da pessoa de 70 anos, a sobrevivência dessa prótese, o tempo que ela precisa ser trocada, é de 10, 15 anos e esses pacientes teriam que ser submetidos a muitos procedimentos cirúrgicos, então é necessário uma prótese de alta qualidade e que dure mais para evitar esses procedimentos que podem colocar em risco a vida do paciente.

O psicólogo é de extrema importância no tratamento do paciente hemofílico, porque ele é uma pessoa que tem doença crônica, um bebê que tem que conviver com infusões, restrição de atividades, as mães têm que aprender a fazer infusão de fator nos filhos, então é uma família que precisa de assistência. Como é uma doença transmitida através do cromossomo X, uma doença transmitida pelas mães, muitas sentem muita culpa. E é uma culpa que não é verdadeira, não precisa existir, e isso tem que ser tratado. “Ai, coitadinho...” A família tem que ser tratada. Agora, com a profilaxia, temos uma geração de mães cujos filhos não são mais coitadinhos, hoje seus filhos podem tudo: surfar e várias outras situações. Conheço uma mãe que colocou o filho para correr uma maratona infantil, nadar, ele ganha medalhas e ainda faz judô. Nenhuma criança é preparada para fazer tudo isso. As crianças não são super-heróis, e essas mães precisam enxergar isso, por isso a psicologia é tão importante para mostrar a elas que os filhos não são esses super-heróis.

Temos uma geração que já tem sequelas, e por mais que tente mascarar, e muitas vezes na consulta não conseguimos reconhecer, eles têm depressão. São pessoas tristes, sem um sorriso no rosto, com dificuldades no trabalho e relacionamento. Nem sempre na consulta da hematologia conseguimos pescar isso. Muitas vezes a enfermagem consegue, mas certamente a psicologia tem meios de avaliar se essa pessoa precisa de ajuda. E tem aqueles meninos que infelizmente têm esses joelhos completamente alterados, com sinovite grande, deformidade, que precisam ir ao colégio de muleta, que mancam, passam vergonha e os colegas brincam “é o manco, o aleijado”, essas crianças sofrem muito bullying. Então essas escolas precisam do apoio da psicologia frente à pedagogia dessas escolas, com o professor de educação física. Tem que entender que se ele está com dor, tem que ir de muleta para a aula, pôr gelo, fazer repouso. Essas coisas precisam ser reconhecidas. O ambiente escolar precisa entender o que é a hemofilia e entender esse paciente especial. Essas são coisas que muitas vezes passam despercebidas na consulta e a psicologia vai conseguir captar.

O farmacêutico é responsável pela distribuição da medicação, pelo controle do diário de infusão, e levar para casa, para os hospitais, para o interior, o fator. Aqui estou mostrando uma estrada bem bonita, coloquei ‘estrada no Rio de Janeiro’ no Google e ele me deu essa foto. Aí coloquei ‘estradas no Brasil’ e me deu essa foto de um caminhão todo atolado. Aí coloquei ‘transporte na Amazônia’, e me deu essa foto. Então, lembra que falei que uma das grandes barreiras para o tratamento no Brasil era nossa diversidade geográfica? Está aqui o retrato. Tenho dois pacientes que são índios e eles vêm de Rondônia consultar comigo no Paraná. Eles vêm porque fizeram vínculo através da equipe ortopédica da qual participo e, como eles têm dificuldade de médico lá, acabam consultando comigo. Eles são hemofílicos B, então têm deficiência do fator IX e, nessa consulta, o paciente me disse: “Dra., quanto tempo o fator pode ficar fora do gelo?”. “Como assim?”, perguntei. “É porque, quando sai de Porto Velho, o fator leva três dias para chegar na aldeia.” Perguntei como o fator vai, se num caminhão refrigerado. “Não, doutora, vai num barco.” Que é nesse barco aqui. Eu disse, “bom, se for numa caixa com gelox, que eu saiba não vai durar mais que 12 horas, com bastante gelox”. Porque o fator IX da Grifols, por exemplo, tem que ser mantido numa temperatura de dois a oito graus. Em Rondônia, é mais de 30. Três dias dentro de uma caixa de isopor não dá. E eu perguntei se não havia outro jeito. “Pode ser a voadeira.” A voadeira leva sete horas, também não vai dar certo. E daí quando chega lá na aldeia, eles têm uma casa que é de atendimento médico da Funai, onde a enfermeira fica durante 20 dias, e 10 dias ela tem folga. E a geladeira fica ligada só 20 dias, nos outros 10 dias eles fecham a casinha e não tem acesso ao fator. Então todo aquele trabalho que eu tive de ver a atividade dele, prescrever o fator, convencer a fazer a profilaxia, para onde vai? Não sei se o fator que ele recebe depois de três dias andando de barco a mais de 300 funciona. E ele não tem acesso a uma geladeira por 30 dias na aldeia. Então fiz uma carta para a Funai dizendo que o fator tem estabilidade assim, que precisa ser transportado na voadeira, e não no barco, numa caixa refrigerada que tem que trocar o gelo, a casinha da Funai tem que ficar aberta

nos 30 dias para ele ter acesso ao fator. Mas veja que são coisas muito mais importantes que simplesmente ter o fator. Ele tem o fator, mas não da forma adequada. E essa é a distribuição da medicação no nosso país.

A assistente social também é de suma importância. Ela vai orientar a pessoa com hemofilia quanto aos seus direitos e deveres. No Hemeepar, é assim, não tem só direito, tem dever também, pois tem que preencher o diário de infusão, ir nas consultas, tem todas as regras que a pessoa tem que cumprir, não é do jeito que ela quer. Mas os pacientes têm seus direitos: vaga no trabalho, quando a pessoa com deficiência tem deformidade articular, isenção de IPVA e algumas tarifas, direito a comprar carro automático ou com alguma adaptação de acordo com a deformidade física muito mais barato do que as outras pessoas; as mães que não conseguem trabalhar porque têm que cuidar dos bebês logo no início do diagnóstico podem receber auxílio-doença. A assistente social também faz o matriciamento da rede de apoio, ou seja, dentro dos bairros ou das cidades de interior, ela busca qual unidade de saúde pode ajudar o paciente a fazer a profilaxia e ter sua dose domiciliar, treina as enfermeiras desses lugares a fazer infusão nas crianças, então é a assistente social que dá o arranque nesse trabalho.

Mas, como eu falei, a pessoa com hemofilia é o centro da equipe. Sejam esses meninos super-heróis, que agora eles têm orgulho de ser hemofílico, não têm mais vergonha, ou as mais famílias inteiras. Aqui é importante ver o paciente mais velho, com toda as suas deformidades de uma época em que o tratamento não era tão adequado e que faz parte de uma nova faixa etária que temos que aprender a tratar. A população mundial deve chegar a 9,7 bilhões de pessoas em 2050, o Brasil entra no clube de idosos, então aqui em 2016 mostrando que tem pacientes com mais de 80 anos. Então não podemos só pensar na juventude, nas crianças, na profilaxia primária, precisamos lembrar dessas pessoas que têm AVC, enfarte, diabe-

tes, prostatite, Câncer de intestino, todas as patologias que fazem parte de um paciente mais velho.

E eu lembro o Henfil e o Betinho, que a Cris já falou, muitos dos nossos pacientes infelizmente já faleceram, mas tem uma gama de pacientes adultos jovens com hepatite C e HIV decorrente de uma época em que não havia conhecimento da doença e os pacientes foram contaminados.

De quem é a responsabilidade de fazer todo esse ciclo funcionar? É importante saber que todos os estados têm seu hemocentro coordenador. Em SP, é diferente, são cinco hemocentros coordenadores, e são coordenados pela Secretaria Estadual de Saúde. Nos outros estados, cada capital tem um hemocentro coordenador que coordena os hemonúcleos que estão no interior. Muitos hemonúcleos têm hematologista, outros não, mas conseguem fazer um atendimento de ponta a esses pacientes. Mas, como vimos, esses pacientes têm outros problemas. E onde entra o atendimento do município? No fornecimento do fisioterapeuta, atendimento do ortopedista, urologista, cardiologista, endócrino, isso não é por conta da hemorrede, é por conta do município. Por isso, a oficialização da Portaria de Cuidados às Pessoas com Coagulopatias é tão importante. Hoje, ouvimos falar bastante sobre a tripartite, o que é obrigação do governo federal, do estado e dos municípios. Devemos ter esse conhecimento para poder solicitar a resposta, poder cobrar. “Só a participação cidadã é capaz de mudar o país”, Betinho. Acho que por isso este evento é tão importante, juntar os tratadores, as pessoas com hemofilia, suas famílias, associações. Não podemos dividir forças, temos que nos unir, porque assim chegamos aqui hoje. É assim que temos acesso à medicação. Os meninos lá em Rondônia têm acesso ao fator, não está faltando fator nem tratamento, estão faltando várias outras coisas que temos que cobrar através da oficialização dessa portaria. Quero que, no Brasil inteiro, os meninos possam ter o olhar desses meus pacientes, o olhar de um futuro promissor. Obrigada!

MARIA CECÍLIA MAGALHÃES PINTO

Presidente do Centro dos Hemofílicos do Estado de São Paulo

A IMPORTÂNCIA DA ADESÃO AO TRATAMENTO

Sou assistente social por formação, mãe por condição e, neste ano, estou completando 40 anos de trabalho voluntário no Centro dos Hemofílicos do Estado de São Paulo. Gostaria de iniciar falando que, de todas as doenças raras conhecidas atualmente, podemos seguramente afirmar que a hemofilia é uma das mais antigas e com maior número de paciente identificados, pelo menos pela literatura científica. Diante disso, gostaríamos de levá-los a uma pequena visita ao passado de forma a facilitar nossa compreensão do presente e incentivar nossas perspectivas futuras. Minha intenção é uma aula simples, mas que mostre a história da hemofilia ao longo dos séculos.

Primeiras referências da hemofilia. A primeira referência identificada na história foi no século 2 depois de Cristo, quando o rabino Judah dispensa da circuncisão o terceiro filho de uma mulher, porque ele suspeita que os dois anteriores faleceram em decorrência de hemorragia gerada pelo procedimento, que seja uma recorrência na família. No século 10, surge o primeiro manual de medicina, escrito por um médico mouro chamado Kasim, que relata a doença hemofilia, mas ainda não existia esse nome. No século 12, Maimenides aplicou a decisão rabínica de Judah aos filhos de uma mulher casada pela segunda vez, ou seja, ela perdeu os filhos do primeiro casamento na circuncisão e, no segundo casamento, se define que não se circuncisa filhos dessa família. No século 18, chegam as primeiras descrições aceitas como provavelmente relativas à hemofilia. Em 1803, Dr. John Otto, da Filadélfia (EUA), fez a primeira referência à condição genética de transmissão. Ele descreveu famílias onde os homens sofriam prolongadas hemorragias pós-traumáticas e observou que, embora os homens mostrassem sintomas, a irregularidade era transmitida por mulheres não afetadas a alguns de seus filhos, que, durante muitos anos, foram chamados de sangradores. 1820: Nasse apresenta um claro enunciado do singular modo de herança, ou seja, estamos no início dos conceitos

da genética. 1828: Tratado de Hopff apresenta como título o nome hemofilia, que significa amor ao sangue. E aí foi batizado aquele quadro. Em 1840, a primeira transfusão de sangue é realizada, em Londres, pelo Dr. Samuel Lane, devido a uma hemorragia pós-operatória, em uma criança supostamente portadora de hemofilia. 1885: primeira monografia sobre hemofilia, apresentada por Grandidier. 1886: Sir Frederick Treves (médico da corte da rainha Vitória) descreve a ocorrência da hemofilia em mulheres, e ele considera esse um resultado de casamento entre primos de primeiro grau. O que é normal, pois ele vivia numa corte, as famílias casam entre si para manter as casas europeias, e ele desconfiava que fosse dos casamentos entre parentes. Em 1890, Köning descreve pela primeira vez o envolvimento das articulações, que até hoje é o que tem nos perseguido.

A hemofilia real. Como falamos do Frederick Treves, a rainha Vitória era o mais longo reinado da Inglaterra (1819-1901), embora a rainha Elizabeth ultrapassou. Ela teve nove filhos, sendo o mais velho, Leopoldo, portador de hemofilia, duas filhas eram portadoras não manifestas, e estas se casaram nas famílias reais europeias e transmitiram a três netos e alguns bisnetos. O que mais teve destaque pelos historiadores foi a história de Alexis Romanoff, que era o herdeiro do trono russo. Era filho do czar Nicolas II e da czarina Alexandra, neta da rainha Vitória. Ele era o herdeiro do trono, o caçula de cinco irmãs e portador de hemofilia grave. Ele não cumpria os quesitos exigidos pelo czar numa época em que a Rússia estava às vésperas da Primeira Guerra Mundial e todo esse clima deu origem ao poder do monge Rasputin, um homem de escrúpulos discutíveis, tinha poderes de hipnose e teve grande poder sobre a czarina Alexandra, pois ele tinha poder de controlar o emocional e controlar a dor do menino. Hoje, ele é considerado uma das maiores causas da queda do Império Russo, segundo 80% dos autores da história. Em 1911,

Bulleck e Fildes publicaram a mais monumental monografia sobre hemofilia. Eles reuniram quase mil referências com 200 árvores genealógicas, distinguindo sexo, sintomas e hereditariedade, ou seja, são os que mais embasam o discurso atual. 1948 é um outro momento. Tivemos a Segunda Guerra, de 1939 a 1940. Em 1948, nos anos de chumbo, no pós-guerra, aconteceu o Tribunal de Nuremberg, que foi o resultado do julgamento dos crimes contra a humanidade, os abusos cometidos nos campos de concentração durante a Segunda GM. As atrocidades cometidas durante a Segunda GM levaram à elaboração do primeiro código de normas (Código de Nuremberg) que regulamenta a pesquisa com humanos, e aqui me atrevo a complementar a aula do Dr. Jorge Venancio. O Tribunal de Nuremberg foi o primeiro momento, e estamos falando de pesquisas clínicas em seres humanos, onde infelizmente a Gestapo e o governo alemão fizeram barbaridades, por isso foram julgados. Ainda em 1948, ainda como resultado da Segunda GM e Tribunal de Nuremberg, acontece a Assembleia Geral das Nações Unidas se reunindo em Paris e elaborando um documento que passa a se chamar de Declaração Universal dos Direitos Humanos e estabelece a proteção universal aos direitos humanos. Foi traduzido para mais de 500 idiomas, teve a participação do maior número de membros em todas as Assembleias Gerais e inspirou as constituições de muitos Estados e democracias recentes. Em 1952, a Dra. Rosemary Biggs e colegas de Oxford, no Reino Unido, descobriram a falta do fator IX, denominado fator Christmas, nome do primeiro paciente diagnosticado. O fator VIII foi descoberto muito antes, e hoje temos claro que a incidência do VIII é muito mais que do IX. Em 1963, a Federação Mundial de Hemofilia é fundada por Frank Schnabel, hemofílico A grave, era um banqueiro canadense, viajou o mundo identificando profissionais interessados em trabalhar, cientistas interessados em pesquisar e famílias que tinham os mesmos problemas dele. Em parceria com esses profissionais, foi realizado o primeiro Congresso da Federação Mundial, em Copenhague, na Dinamarca, com a participação de cientistas originários de poucos países desenvolvidos que desenvolveram pesquisas na

hemofilia. Essa foto foi tirada no Chesp, há muitos anos, na gestão da dona Vita que está ali na frente e o Frank e a Martha Schnabel, foi a primeira visita deles ao Chesp, quando éramos uma casinha pequenina. Em 1963, ao mesmo tempo, nos EUA, surge o primeiro medicamento considerado específico. Dra. Judith Pool desenvolveu o processo de congelamento e descongelamento de plasma, obtendo o crioprecipitado, rico em fatores. É uma alternativa superior à transfusão do sangue ou plasma, sem sobrecarregar o sistema circulatório. Eu não tenho competência para avaliar. Na verdade, foi o primeiro passo no sentido do medicamento. Em 1965, tivemos a Declaração de Helsinque, uma reunião entre a Associação Médica Mundial e a OMS. Eles fizeram uma revisão no Código de Nuremberg, dando origem à introdução da bioética.

O que é a bioética? É o estudo dos problemas e implicações morais despertados pelas pesquisas científicas, tanto na biologia quanto na medicina. Ela abrange questões como o uso de seres vivos em experimentos, as profundas explicações das pesquisas e da prática no campo da genética e uso de novos medicamentos. Isso tudo está muito próximo de nós, que trabalhamos e vivemos com doenças crônicas e raras. A bioética vem do latim bio (vida) e ética que vem do grego e quer dizer caráter. Nesse desenho, tentamos mostrar que a bioética foi um dos primeiros estudos que colocou vários especialistas das mais diversas áreas na mesma sala cuidando das mesmas discussões. Temos médicos, cientistas, padres, teólogos, engenheiros, empresários, advogados, juristas e principalmente, para nós, associações de paciente, a bioética foi quem trouxe pela primeira vez para a mesa de discussões a participação do representante de associação de portadores de patologias, para discutir com os profissionais das mais diversas áreas. O objetivo da bioética é proteger o ser humano em sua integridade e dignidade, e contribuir para o desenvolvimento científico. Ela trata a tecnologia como uma aliada e o ser humano com isonomia; prevê situações emergentes e persistentes. Na bioética, situações emergentes são consideradas a introdução de novos medicamentos. Situações persistentes são o direito à vida, o di-

reito à morte, onde se discute a eutanásia, distanásia e ortotanásia, produção das técnicas de reprodução etc. Em 1966, nos EUA, é comercializado o primeiro concentrado anti-hemofílico de fator VIII. Vimos hoje que, entre o produto ser descoberto e comercializado no país de origem até chegar no nosso, existem uns 10 anos, mas hoje ficou muito claro que, primeiro, hoje não são exatamente 10 anos, o tempo é menor, mas o número de exigências, o número de etapas que o medicamento precisa passar para preservação do paciente é imenso. Ainda em 1966, é fundada em SP, pela dona Olga Schattan, a primeira associação de pacientes com hemofilia no País. Ela organizou um grupo, montou uma diretoria, fundou uma associação e disse “vamos identificar os brasileiros, identificar médicos que se interessem e vamos começar a encontrar esses pacientes”. No início dos anos 1970, tivemos o surgimento dos produtos concentrados purificados, de fator VIII e IX, que passam a ser usados em países desenvolvidos, e a introdução do conceito de terapia domiciliar, o home care, que era o nosso sonho. Hoje, temos a profilaxia que é o nosso home care, mas demoramos 30 anos. Em 1976, foi fundada a Federação Brasileira de Hemofilia, pois o trabalho feito de 1966 a 1976 foi estimulando a criação de novos centros, associações em vários estados. Mas em 1976 não tinha um número suficiente para ter a representatividade. Em 1980, a Federação foi reativada, com a participação de nove associações dos estados: Bahia, Goiás, Maranhão, Minas Gerais, Paraná, Pernambuco, Rio de Janeiro, Rio Grande do Sul e São Paulo. Essa foto é da dona Olga Schattan e eu. No final dos anos 1970, temos o início de pesquisas para melhorar as técnicas de produção de fatores, como consequência de complicações ocorridas no sangue por infecções virais. Como foi exaustivamente falado, no final da década de 1970 e início de 1980, nossa comunidade foi impiedosamente devastada pelo vírus da Aids. Tivemos também hepatites e outras contaminações, mas a da Aids veio de forma impiedosa e avassaladora. No início dos anos 1980, tivemos a introdução de técnicas de inativação viral, exatamente como decorrência do que vivemos com as contaminações virais. Após a epidemia

da Aids, sofisticadas técnicas de eliminação e inativação viral foram desenvolvidas, buscando oferecer alto nível de segurança aos hemoderivados, pois senão seria o final, o que eu chamo de genocídio. No final dos anos 1980, temos produtos com inativação viral, pelo tratamento com solvente/detergente, purificado pela tecnologia de anticorpos monoclonais. E, em 1988, no Brasil, temos a mudança da Constituição, com o Dr. Ulysses Guimarães, que iniciou a criação do SUS. Os anos 1990 foram marcados pelo desenvolvimento de pesquisas em torno da engenharia genética, que hoje estamos falando calmamente sobre terapia gênica, e esse é o início; primeiros estudos clínicos em humanos usando concentrado de fator recombinante com tecnologia de DNA; introdução no mercado de concentrados de fatores VIII e IX recombinantes (produtos que não usam plasma humano como matéria-prima e que, portanto, devem ser isentos de contaminação). Em 2001, tivemos a introdução da DDU (dose domiciliar de urgência) no Ministério da Saúde, que foi a definição do portador de hemofilia ter uma dose máxima para seu peso em casa, visando assegurar o imediatismo do primeiro atendimento. E, ao longo dos anos, os programas foram melhorando e evoluindo e chegamos na profilaxia e imunotolerância. Hoje, a imunotolerância foi extremamente bem esclarecida, e a profilaxia mudou a qualidade de vida dos pacientes portadores de hemofilia. É indiscutível que temos inúmeros problemas, que temos questões ortopédicas seriíssimas a serem avaliadas, que temos muito o que trabalhar em todos os segmentos, em alguns mais, é lógico, mas o avanço também é indiscutível. E finalmente cheguei ao tema que deu origem à minha aula, que é adesão ao tratamento. Olhando pelo Aurélio Buarque de Holanda, “adesão é o ato de aderir, aderência, concordância, aprovação”, não pode ser feita como imposição. A adesão ao tratamento, em geral, diz respeito ao doente crônico, pois é aquele que fica mais cansado de tanto se tratar. Então as doenças crônicas têm como características serem permanentes, deixam incapacidade residual, são causadas por alteração patológica irreversível, requerem treinamento do paciente, podem exigir longo período de cuidado e exigem

determinação do paciente e/ou familiar. Os comportamentos do paciente e/ou familiar, e eu digo “e/ou familiar” porque é claro que, no caso das crianças, estamos trabalhando com o comportamento dos pais, do cuidador, da avó, de quem assume a criança. Estamos então falando de compreensão e entendimento, comprometimento, disponibilidade para treinamento, quebra de resistências, responsabilidade no tratamento, descrença às vezes na eficácia do tratamento, às vezes na eficácia do serviço. Os principais obstáculos: sociais, psicológicos e financeiros. Nem vou me aprofundar porque a Dra. Claudia falou bem da função de cada profissional, e a adesão tem a ver com toda a equipe profissional, e depende de reciprocidade e comunicação entre o paciente e a equipe. Essa relação tem que ser ativa: não pode ser um impondo e o outro recebendo nem o outro exigindo e um cedendo, então tem que ser uma relação de habilidade, conhecimento, sensibilização e comunicação.

Cidadania: é o exercício dos direitos e deveres civis, políticos e sociais, estabelecidos na constituição de um país, por parte de seus

respectivos cidadãos. Hoje, já foi dito bastante coisa sobre cidadania, mas eu não queria deixar de dizer que ela ainda é o conjunto de direitos e deveres exercidos pelo indivíduo que vive em sociedade no que se refere a seu poder e grau de intervenção, ao usufruto de seus espaços, e à sua posição para poder intervir e transformar em sua realidade. A adesão também abrange inúmeros comportamentos relacionados à saúde que se estendem além do uso de medicamentos prescritos. Alguns autores consideram a falta de adesão ao tratamento pelo paciente como um problema de saúde pública denominado epidemia invisível, e isso pode acontecer tanto nos países desenvolvidos quanto nos em desenvolvimento. E aderir também faz parte do pleno exercício da cidadania, ou seja, quando não aderimos, não fazemos, não usamos com responsabilidade os recursos disponíveis, também estamos falhando com a cidadania. Muito obrigada! E tenho o prazer de convidar aqui e apresentar a vocês a fundadora da Federação Brasileira de Hemofilia, dona Olga Schattan - e gostaria de chamar a Tania, atual presidente.

Dona Olga Schattan

Eu fui sequestrada. Me trouxeram aqui sem eu saber exatamente o que estava acontecendo. Mas estou tão comovida, nunca pude sonhar com uma situação dessa. Valeu demais! Por mais que se sonhe, por mais que eu tivesse sonhado, nunca imaginei chegar a esse ponto, de ver uma reunião tão grande de hemofílicos no Brasil, do Brasil inteiro, dos pais, dos médicos. Não há sonho em que caiba tudo isso. É muito comovente, nunca teria mesmo, nunca. Desculpem, eu não tenho o que falar. A impressão é muito grande, a comoção maior ainda, e o sequestro foi mais ou menos suave, né? Pena que eu não posso levar uma fotografia de cada um de vocês.

Tania Pietrobelli

Eu queria só dar uma palavrinha para a dona Olga. Dona Olga, eu tenho um filho com 39 anos. A senhora é nossa inspiração. O primeiro lugar que procuramos foi o Chesp. A dona Vita e a senhora nos acolheram superbem e aprendemos lá como cuidar do nosso filho e, de lá em diante, aprendi a cuidar dos outros também. Fundamos uma associação na nossa região, depois representamos o estado, e hoje estou aqui continuando seu trabalho, dona Olga. Isso mostra que o trabalho de todas nós, presidente [aponta para Olga], presidente [aponta para Cecília], e agora eu, mostra que a idade não impede de batalharmos pelas pessoas que amamos e pela missão que assumimos. Queria agradecer a todas associações aí. Nós temos, dona Olga, 24 associações filiadas à Federação Brasileira de Hemofilia, que fazem seus trabalhos em seus estados. Obrigada, Cecília, por tudo o que aprendi contigo e continuo aprendendo, e ela [se dirige à Olga] continua colaborando, ajudando, e aprendemos a toda hora. Isso todas as associações podem falar. Mas a senhora foi um marco, o início de tudo isso. muito bom estar com a senhora. Obrigada!

ANDREA DE ALMEIDA SAMBO

Enfermeira da Unidade de Hemofilia do Hemocentro da Unicamp

ESTRATÉGIAS DE INTERVENÇÃO PARA ADESÃO AO TRATAMENTO

Para contar a história da hemofilia hoje, com tantas apresentações riquíssimas, ela já foi contada várias vezes, eu sabendo que era a última, tentei colorir e deixar um pouquinho mais lúdica nossa apresentação.

Temos uma história hoje que já foi muito bem contada, do nosso passado, quando não tínhamos fator. Tratadores sem ferramentas para trabalhar, que era assim que nos víamos, sequelas físicas e emocionais, algumas que até hoje perduram; as físicas estão sendo tratadas e acho que precisamos nos preocupar ainda com algumas emocionais, porque lá no fundo sempre achamos, como a Cecília já falou, estamos agora numa geração em que há várias interferências além do não tratamento que influenciam no emocional. A psicologia, como a Dra. Claudia falou, é de extrema importância na nossa ajuda. Era assim que nos víamos, tinha uma porta, não tinha o que fazer, era bem triste pedir para dormir, para não se machucar, o único fator que tinha ficava. Porque o tratamento da hemofilia era somente fator. E hoje em dia, ainda falamos em adesão ao fator. Temos umas coisas muito importantes junto com o fator, que veremos mais pra frente. Num outro passado, que para muitos demorou muito, para outros pareceu até menos tempo, uma geração que foi um pouco mais sortuda, que apareceu a criação das associações de pessoas para lutar em prol de garantir o melhor tratamento, que foi a Federação, as associações, gestores, tratadores. Preciso de muita garra, não foi fácil. Quem acompanha hoje sabe que ainda não é tão fácil, mas imagina naquele tempo tentar reunir pessoas de boa vontade, sem ferramentas, sem o principal instrumento que era o fator para tratar, ter que fazer protocolo, criar normas, regras, é muito complicado tudo isso. Mas deu certo, acendeu uma luzinha onde tudo começou, e eu fiz parte um pouco dessa história, mas tenho bastante coisa para contar. Hoje, nosso presente é uma festa. Temos tratamentos para todos, temos tratadores hipermegacapa-

citados, muitas terapias novas, a pessoa com hemofilia podendo gerenciar seu tratamento. E o que fazemos com tudo isso? Não está bom? Está ótimo. Hoje, podemos discutir se queremos usar fator plasmático ou recombinante. Se queremos fazer parte de uma terapia genica ou de um outro protocolo que não seja o fator. Está muito bom! Está melhorando, precisamos acreditar nisso, fazemos parte desse cenário, e isso é muito importante, parabéns para todo mundo que está aqui hoje. Parabéns para todo mundo que fez parte dessa história que foi contada o dia todo, que continua lutando de verdade. Eu acredito, sempre acreditei, e isso é superimportante. Hoje, a pessoa com hemofilia é tão responsável quanto nós, tratadores. Ela sai daquele papel de coitadinha, “não tenho tratamento, não tenho condição”, tirando, claro, algumas exceções, e passa a estar ali junto com a gente. Não quer ser dono da sua vida? Não quer ser dono do seu tratamento? O que você faz para atingir essa expectativa? O que você faz junto com sua equipe para ter condições de um tratamento melhor? Vou contar um segredinho para vocês depois sobre as terapias que a Dra. Margareth falou. Já até combinei com alguns.

Eu quis chamar de inovações todas essas coisas que nós passamos, que foram, acontecem e continuam acontecendo: capacitação das equipes e das pessoas com hemofilia e familiares; melhora da qualidade de atendimento (uma vez que esses tratadores são capacitados, eles têm a obrigação, se é que eles querem um trabalho melhor para ambas as partes, precisa capacitar as pessoas e seus familiares. Como cobro dele que ele não tem participação em seu tratamento, se a responsabilidade de capacitar não é minha?); dividir a responsabilidade do tratamento com a pessoa com hemofilia (uma vez que faço isso aqui, tenho todo o direito de fazer isso aqui, ou não?); personalização do tratamento, hoje usando várias ferramentas. Levanta a mão quem preenche diário! Vocês precisam entender a im-

portância desse diário. Ele leva vocês para uma terapia genica ou outras coisas. Sobre nosso foco mais importante, que é a adesão, para falar de ferramentas para ajudar na adesão, eu preciso falar. Segundo a OMS, a taxa de não adesão varia de 15% a 93%, com uma taxa média estimada de 50%. Então estamos dentro dessa expectativa. Precisamos também saber o que é a não adesão. É não ir mais na unidade? Hoje, eu pego fator para um mês. O que vou fazer lá, ver a cara da Andrea? Como a Cecília também já falou, na profilaxia, a adesão é fundamental para o sucesso. A profilaxia só é eficaz se os níveis de fator forem continuamente mantidos acima do nível alvo. Você vai lá, passa com seu médico, gasta aquele mundo de dinheiro fazendo exames, e explica e explica e você chega em casa e acha que não precisa tomar fator porque daquele jeito. E aí? Trabalhamos o dia inteiro, fomos atrás de você, fazemos as coisas direitinho, e você pula porque acha que não precisa? Não tomar ou pular uma dose pode fazer com que os níveis do fator de coagulação fiquem abaixo desse alvo, o que aumenta o risco de sangramento. Todo mundo aqui já sabe, né?

Alguns problemas para a não adesão:

- Psicossociais. Trabalho: eu particularmente respeito demais. Numa família sem trabalho, é muito complicado haver uma situação emocional boa de ir no dia seguinte ou outros dias fazer esse tratamento. Sabemos que, infelizmente, a situação financeira gerencia muitos lares, nossas vidas, dependemos de tudo isso. associado a uma série de outras coisas, isso causa problemas sérios e é um dos maiores responsáveis pela falta de adesão.
- Na primeira infância, temos um problema sério com o acesso venoso, os pais ficam muito preocupados, sentem dó, não querem punccionar tanto, como a criança não se machuca tanto, eles acham que não tem a necessidade disso, que podemos esperar etc.
- Já na adolescência, onde temos um nível muito maior de não adesão, é aquele desejo de ser como o outro, de ser como o companheiro que não manca, que não precisa tomar fator para sair, que não precisa preencher

diário, e o maior medo que é a necessidade de assumir responsabilidades. Querendo ou não, essa responsabilidade tem que ser assumida, faz parte: você tem hemofilia, você tem tratamentos, você tem a sua parte de responsabilidade. Precisa, para dar certo.

- O adulto passa a ter menos atividades, diminuição dos sangramentos, então ele acredita que não precisa daquele protocolo que foi colocado para ele. Então precisamos trabalhar com tudo isso.

E chega num problema muito sério. De quem é a responsabilidade da adesão ao tratamento? Nós, tratadores? Pessoas com hemofilia e familiar? A Federação, as associações? Precisamos parar para pensar e tentar ver de que maneira resolver.

Vou falar um pouco da equipe. Uma das coisas mais importantes que precisamos saber é qual alvo sua equipe pretende atingir. Você pretende ser uma equipe tratadora ou distribuidora de fator? Você pretende que as pessoas saibam se tratar ou é problema delas? Eu tenho uma equipe completa de enfermeiro ao geneticista, dentista e tudo mais, mas eu tenho um médico e uma enfermeira. Qual a diferença? Se o médico e a enfermeira tiverem boa vontade, eles conseguem até parceria com os outros profissionais. Só precisa saber o que cada um quer. E quando tenho essa meta definida, todos sem empenham para que haja essa adesão mesmo? O empenho é da equipe toda ou só eu tenho vontade? Sua equipe, mas eu falo a nossa, tá? Sua equipe reconhece e procura soluções para colaborar com uma maior adesão? É muito complicado. Nós temos nossas atividades diárias, que não são poucas. E temos sempre a oportunidade, no nosso trabalho, de fazer a diferença. E uma vez que fico transferindo responsabilidades, eu transfiro aquilo que fui fazer lá, o que era meu papel fazer. Então o que preciso fazer primeiro? Tenho algumas sugestões do que fazer para tentar, talvez, existe até um questionário hoje que já foi validado no Brasil onde você vê o nível de adesão. Ainda não tivemos acesso a ele,

mas enquanto isso procuramos algumas coisas, então precisamos fazer o quê?

- Identificar possíveis problemas: da equipe ou da pessoa com hemofilia ou familiar. O que nos impede de fazer esse elo para que o seu tratamento seja entendido e feito da maneira correta?
- Preciso muito criar essas parcerias, elas são de importância tremenda para que eu possa indicar essa pessoa com hemofilia, sua família, tentar diminuir o tempo de ida à unidade. O que ela precisa? Qual é a parceria? Muitas vezes, falamos que a parceria é a rede básica. Nem sempre. Às vezes, a necessidade que nos atinge é outra, precisamos de outras coisas.
- Identificar estratégias de enfrentamento inadequadas. Isso não é só para a equipe. Eu falo para vocês, pessoas com hemofilia e familiares, que isso é muito complicado. Existem normas e regras que precisam ser cumpridas, queiramos ou não. Muitas vezes, a pessoa chega lá e tem um papel na porta desde o ano passado que a partir de janeiro não tem gelox, não tem bolsa, não tem diário preenchido, não leva fator. Daí conversamos com todo mundo, fizemos um papel, todo mundo leu e assinou etc. Você está assumindo a sua parte, está ciente do que estou falando, com raras exceções. O que acontece? Chega lá e fala “a Andrea é muito brava, não consigo nem conversar com ela”. Lógico que consegue. Então esse enfrentamento é muito importante quando queremos formar uma equipe inteira: pessoas com hemofilia, tratadores, suas famílias.
- Também sabemos que a educação continuada sobre hemofilia, importância do tratamento, preenchimento correto do diário. Como vocês acham que é umas indicações para essas terapias novas? Através do número de sangramentos. Vocês se lembram dos últimos sangramentos que tiveram nos últimos seis meses? Quando foi, que horas, por que foi, quanto vocês tomaram e quantos dias vocês trataram? Então se vocês querem ir para um futuro melhor, é onde você tem equipe e pessoas com hemofilia capacitadas. Por favor, tentem entender a importância do preenchimento do diário. Não é chatice, não

é frescura, ele é superimportante. É uma das ferramentas onde podemos personalizar o seu tratamento. Está escrito ali que teremos que acreditar para poder melhorar seu tratamento. Então se vocês querem e precisam se inovar, essa é uma das coisas.

- Treinamentos práticos de infusão ou antoinfusão. Precisamos insistir. Essa liberdade que vocês adquirem quando conseguem punccionar ou fazer a punção em suas pessoas queridas, isso é autonomia de escolher a maneira como você faz seu tratamento. Você não precisa levantar de madrugada e esperar abrir uma farmácia ou pedir pelo amor de deus para alguém fazer. É difícil, não é obrigado. Às vezes, não tem habilidade motora, ou mesmo emocional para fazer, mas tentamos. E não desistimos nunca. Isso é uma das piores coisas “não quero furar, não quero isso...”. Vamos conversar, porque tudo é uma questão de entendimento.
- Precisamos também considerar usar outras ferramentas de comunicação moderna. Os jovens gostam muito dessa coisa de internet, diário eletrônico, que ainda não temos, mas podemos tentar ver. O que conseguimos fazer? Eu não sou muito boa nisso, mas sei que muitos são e conseguiriam desenvolver algo nesse sentido. Como podemos conseguir melhorar a situação desses meninos para que eles se interessem um pouco mais?
- Procurar introduzir o contexto da implementação de acordo com as condições socioeconômicas e culturais das pessoas com hemofilia e familiares. Muitas vezes, imaginamos que nosso recado já foi dado, que conseguimos atingir as pessoas e seus familiares com aquilo que para nós está muito comum. É muito fácil, é nosso dia a dia, conversamos de maneira tão comum, e muitas vezes achamos que a pessoa entendeu. E se ela chega e diz “você não me falou”, você diz “falei, você que não ouviu”. Então isso é muito importante. É falar de acordo com o que ele entende, quantas vezes precisar. Não podemos desistir nunca mesmo de tentar passar a mensagem da importância do tratamento para eles e o porquê de eles precisarem entender isso.

- Manter um diálogo próximo com a equipe e pessoas com hemofilia e seus familiares para manter um bom vínculo. Sem vínculo, não tem adesão. Precisamos ser muito sinceros com os outros. Pensa que eu não sei que todos têm alguns, que chegam lá correndo, pega o diário, “me empresta uma caneta?”, vai lá e preenche o diário correndo na hora? Eu sei que fazem isso. E daí chegamos e perguntamos por que fazem isso, “porque senão, você ficaria brava comigo”. Uma outra coisa é todos da equipe cobrarem o diário. Não é só a enfermagem ser a bruxa da história. É cada um mostrar no seu horário de atendimento a importância disso. Uma outra coisa é: mais importante do que preencher o diário é ele saber por que precisa preencher o diário. Na maioria das vezes, eles não entendem a importância de se tratar corretamente, de contar sua história de sangramento corretamente.
- Ouvir sempre o que a pessoa com hemofilia ou familiar quer para si, se é cabível em seu dia a dia e tentar respeitar os intervalos. Muitas vezes, colocamos para eles um protocolo de profilaxia que achamos que cabe de acordo com a história que contaram. Mas às vezes ele prefere mudar algumas coisas, e precisamos ouvir. Por quê? Muitas vezes ele sai de lá concordando e acaba fazendo aquilo que ele acha que é melhor. Então muitas vezes se eu converso com ele e tento ver se posso ajeitar... vocês também, não deixem que o doutor fale para vocês “é essa aqui a profilaxia de vocês”. A parte que vocês têm que fazer na equipe é essa mesma, falar “doutor, não é melhor... eu gostaria que fosse assim... não dá para ser assim?”. Porque precisa haver um meio-termo para que vocês possam conseguir fazer o tratamento da melhor maneira.

Algumas conclusões

- A adesão ainda é considerada um problema mundial.
 - Criar um vínculo de confiança ainda é a melhor ferramenta.
 - Capacitar cada vez mais a equipe para ajudar na adesão porque, como falei, a equipe tem que querer. Nós é que precisamos correr atrás. Puxar a orelha vale a pena, mas precisamos correr atrás.
 - Nunca, jamais desistir das pessoas. Isso aprendi nesses anos todos que não se desiste de ninguém. Podemos ter às vezes um problema mais sério, de 300 pacientes, 10 dão problema. Mas o que precisamos fazer com isso? Precisamos trabalhar para que esses 10, esses 20, passem a formar com a gente a tal equipe que sonhamos, que é aquela equipe de mãos dadas para iniciar, incentivar esse treinamento. Outra coisa muito importante que trabalhamos muito é que vocês, tanto tratadores quanto pessoa com hemofilia, precisa aprender é acreditar nisso: quanto mais cedo vocês tiverem coragem de fazer a autoinfusão, quanto mais cedo começar a treinar as pessoas com hemofilia a se tratar, eles vão aceitar muito mais, será muito melhor.
 - Individualizar o tratamento hoje, todo mundo individualizado aqui.
 - Educação para o autogerenciamento do tratamento: não adianta querer ser dono do tratamento, se não entendemos o que é hemofilia, qual o tipo de tratamento, como posso me tratar, qual o melhor tratamento para mim. Meu diário está completo? Uma das ferramentas que meu médico vai usar para saber o melhor tratamento é o diário. Muitas vezes, sai da cartola, não tem receita. Por mais que os estudos mundiais sobre adesão apontem algumas coisas, muita coisa ainda está escondida, cada um sabe o que tem que fazer. Só precisamos fazer o que sabemos.
- Nesse futuro de tanta coisa boa que foi contada aqui hoje, com tantas inovações, tanta terapia nova chegando, precisamos continuar em frente, ter força, levantar a cabeça, não importa o obstáculo, amanhã é outro dia. Conseguimos respirar hoje e levantar amanhã e talvez chegar a uma situação de maneira diferente, mas temos que ir no mesmo objetivo, por mais que as pessoas pensem diferente.
- Para terminar, aprendi muito com a Dra. Margareth, é que tão importante quanto acertar o alvo é nunca deixar de tentar. Obrigada!

PERGUNTAS

Há um mês, dei entrada na Previdência e não obtive resultado favorável. Em maio, recebi uma proposta de emprego para trabalhar pela cota de deficiente. Fiz toda a burocracia de entrevista, exame admissional e, quando estava prestes a trabalhar, fui informado que minha deficiência não se enquadrava na cota para deficientes. A Previdência diz que eu posso trabalhar, o mercado diz que não. O que faço?

Erival Silva, hemofílico, paciente do Hemopi (ou Hemope) internauta acompanhando o evento pelo Facebook

Dra. Claudia Lorenzato

Para ser candidato à vaga de pessoa com deficiência, o paciente tem que ter uma deformidade articular, de alguma das articulações. Simplesmente ser uma pessoa com hemofilia não faz com que ele seja deficiente. Se o problema for estar com sangramentos de repetição, ele deve conversar com seu hematologista e tentar melhorar a qualidade da profilaxia. Mas, se ele não tiver nenhum dano articular, e isso pode ser comprovado com laudo do ortopedista, raio-x, ele realmente não consegue a vaga de PCD. Mas quando tem alguma seqüela de articulação, muscular ou neurológica, naqueles pacientes que tiveram AVC, sangramento no sistema nervoso central, todos esses conseguem, está garantido.

Aproveitando seus 40 anos de voluntariado, pode falar um pouco da importância dos voluntários na questão da hemofilia?

Maria Cecília Magalhães Pinto

O papel do voluntariado é importantíssimo. Particularmente, porque a direção de cada associação, pela estrutura como é montada e pela estrutura da Federação Mundial de Hemofilia, tem que ser do voluntário. Sei que pode parecer

ultrapassado, antiquado, mas é uma opção de vida. Não estou discutindo se é certo ou errado. O que temos é o seguinte: as associações que representam os pacientes portadores de patologias, a diretoria tem que ser voluntária e não pode ser remunerada. Associações cuja diretoria receba recursos é um direito, é uma escolha, mas não pode estar vinculada à Federação Brasileira e sequer à Federação Mundial.

A tecnologia – mais notadamente o surgimento de aplicativos para celular – para ajudar no controle do paciente tem motivado as antigas e novas gerações de pacientes a se engajarem mais no tratamento?

Andrea Sambo

Hoje em dia, os meninos são bem ligados nessa parte de tecnologia. Eles gostam muito, e acho que responderiam melhor. Seria uma maneira de autogerenciarem seu tratamento. Acho que atrai um pouco mais. Infelizmente, não temos um dispositivo para todos os pacientes, tanto para hemofilia A quanto hemofilia B, não atinge a todos, mas seria uma estratégia muito boa.

Dra. Claudia Lorenzato

Existe um aplicativo que é vinculado a um exame de farmacocinética, para aqueles pacientes de hemofilia A. Mas existem outros aplicativos que estão sendo desenvolvidos por pesquisadores brasileiros para que possamos usar como um diário de infusão para todos os pacientes. Só quero lembrar, por experiência própria, que mesmo sendo diário de aplicativo, alguns pacientes não preenchem, porque eles não acham necessário. E temos que ter essa ideia de que o tratador só vai saber o que está acontecendo se ele puder me contar tudo direitinho, e o diário serve para isso, para me reportar o que está acontecendo nos últimos quatro meses, seis

meses, para eu ter essa visão histórica e poder incrementar o tratamento dele e consequentemente a qualidade de vida.

Andrea Sambo

Estão inclusive substituindo, usando só para marcar o horário de infusão, as observações não estão sendo colocadas e eles não colocam inclusive no diário físico, que seria importante continuar preenchendo.

Um dos palestrantes hoje apontou para a situação considerada por ele ruim em relação aos hemocentros. Como é possível oferecer atendimento de qualidade para os pacientes nessa condição?

Dra. Claudia Lorenzato

Vou falar a minha opinião. Acho que os hemocentros não são ruins. Em função de dar várias aulas, tenho visitado vários lugares e sei que os colegas fazem o máximo que conseguem. O que acontece é que muitos hemocentros não têm o apoio de suas cidades e estados, por isso alguns têm dificuldades de laboratório, dificuldades físicas, dificuldades com a equipe. Mas os colegas fazem aquilo que podem. Sei de colega que tem vínculo com a prefeitura para conseguir mandar os pacientes para fazer fisioterapia. Sei de colega que manda amostra para poder fazer diagnóstico para outro hemocentro, de outro estado perto. Sei de colega que usa atendimento on-line para pacientes muito distantes. Falo como parte dessa equipe dos tratadores da hemofilia, tenho

certeza que todos se esforçam para que nossos pacientes tenham o melhor tratamento, mesmo que às vezes não tenhamos o apoio dos municípios e dos estados como deveria ter.

DEPOIMENTO

“No hemocentro de Cuiabá, na gerência ambulatória e de medicina transfusional, experimentamos uma ação inovadora trabalhando a sala de espera como ferramenta, espaço de convivência que nos aproxima dos pacientes e seus cuidadores, através do ‘conversando, a gente se entende’. Com a partilha nas rodas de experiências dos pacientes, peças fundamentais dessa oficina que disponibiliza sua história na caminhada, é muito enriquecedor. Tem uma aceitação e participação ativa. Quem sabe no segundo encontro Juntos pela Hemofilia possamos trazer os registros e as evidências dessa nova prática no atendimento?”

Enfermeira e Membro do Comitê de Assessoramento Técnico da Federação Brasileira de Hemofilia (FBH)

Andrea Sambo

Muito lindo o depoimento. É aquilo que falei: a boa vontade das pessoas te leva para caminhos que você jamais acredita ou não podia pensar que podia acontecer mudanças. Uma coisa que você faz e deixa lá uma semente, ela faz uma diferença tão grande. E isso estimula outras pessoas e outros serviços. Parabéns!

