

Pacientes com doenças raras

O homem é um ser em constante evolução. Desde quando se conscientizou de sua capacidade de pensar, passou a ser um pesquisador de si mesmo, de seu próprio grupo social, de seu ambiente, procurando sempre novos caminhos que possam facilitar sua empreitada terrena. Os avanços em todas as áreas foram se multiplicando e com eles a humanidade foi se adaptando, muitas vezes com tempo diminuto para absorver determinada inovação que carrega uma utilidade social, pois, na sequência, outra se apresentava mais aperfeiçoada. Desta forma, não só o homem, mas também tudo ligado diretamente à sua vida, evoluiu.

O avanço na área biomédica exige a realização de pesquisas envolvendo seres humanos e, com a promoção do princípio da dignidade, passou a carregar em seus braços uma preocupação ética, reclamando uma regulamentação condizente para que o homem seja visto como sujeito de pesquisa e não meramente um objeto, uma cobaia, como demonstraram as experiências durante as guerras mundiais.

A Lei nº 14.874/2024 estabelece as regras e diretrizes para a condução de pesquisas envolvendo seres humanos por instituições públicas ou privadas do Brasil, além de instituir o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa com Seres Humanos. Desta forma as doenças vão sendo descobertas, nomenclaturadas e diagnosticadas por protocolos específicos, iniciando um ciclo natural de acompanhamento de pacientes que apresentam os mesmos sintomas até chegar a um estudo clínico em linha de pesquisa.

Ocorre, no entanto, que pelo incontestável avanço que vem apresentando a medicina, nem todas as doenças são rotuladas e abrem protocolos de pesquisa. Se o paciente não se encaixar no perfil da doença que está sendo

pesquisada em busca de uma opção terapêutica, não está autorizado a participar dos estudos.

O influenciador e especialista em aviação Lito Sousa foi diagnosticado como portador de uma doença rara (Doença de Creutzfeldt-Jacob) e, até o presente, sem perspectiva de cura e, pior, sem chance de participar de qualquer estudo que conte com outros pacientes assim diagnosticados.

As doenças raras, de baixa frequência na população, se apresentam hoje como um grande desafio para a Medicina e, principalmente para os portadores e familiares que ficam sem margem de segurança, pois na quase totalidade, são progressivas e vão provocando uma sensível queda na qualidade de vida, assim como na expectativa de bons resultados.

O caso Lito Sousa, além de fartas mensagens nas redes sociais, envolveu várias frentes ligadas às pesquisas clínicas, porém angariou somente algumas opções, sem qualquer garantia, que foram apresentadas.

A primeira delas, que pressupõe um grupo de pacientes com identidade da doença, é o acesso expandido, que exige a interveniência obrigatória da ANVISA e permite a utilização de medicamento da última etapa de pesquisa, desde que haja evidência de benefício, mesmo sem a aprovação da agência reguladora do país.

A segunda, que passa também pelo crivo da ANVISA, é relacionada com o uso compassivo, que vem a ser a possibilidade de fazer uso de um medicamento experimental, portanto ainda não eficaz para a doença. É o acesso conferido a uma alternativa experimental para o paciente portador de uma doença até então sem um protocolo de tratamento.

Para tanto, dever ser feita uma minuciosa análise da situação individual do paciente, orientando-o a respeito de eventuais e potenciais riscos e danos, com sua consequente adesão na assinatura do Termo de Consentimento Livre e Esclarecido. É de se observar que, no caso, o paciente está fora de um

estudo clínico em que seria acobertado pelas garantias e direitos configurados no documento de adesão.

Percebe-se, desta forma, que a pesquisa é imprescindível para o desenvolvimento científico de um país e tem como bandeira a conquista de melhores condições de vida e saúde, não só para a comunidade local, mas também universal, em razão do princípio da justiça distributiva apregoadado pela Bioética.

Por fim, há sim necessidade de envolvimento e colaboração entre os pesquisadores, institutos de saúde, universidades, empresas de fármacos e autoridades regulatórias para maximizar os benefícios e minimizar eventuais riscos à saúde do paciente.

Eudes Quintino de Oliveira Júnior, promotor de justiça aposentado, mestre em direito público, pós-doutorado em ciências da saúde, advogado.