



DDR 2010

PACIENTES E INVESTIGADORES: PARCEIROS PARA A VIDA!

Conteúdos:

- 1. Porquê um Info Pack**
- 2. Porquê um Dia das Doenças Raras?**
- 3. Foco do tema para 2010**
- 4. Porque Investigação das Doenças Raras?**
- 5. Principais objectivos do Dia das Doenças Raras 2010**

1. Porquê um Info Pack

- Pela necessidade de sensibilização sobre as doenças raras, entre decisores, profissionais de saúde e o público em geral.
- Porque a informação é a chave para a melhoria das condições de vida dos pacientes com doenças raras, a sensibilização é portanto, um dos nossos principais objectivos
- Agir simultaneamente em muitos lugares e em muitos países, pode garantir que a voz dos pacientes com doença rara é ouvida por mais pessoas
- Porque as doenças raras são uma prioridade de saúde pública hoje na União Europeia



- Porque um dia centrado nas doenças raras pode trazer esperança e informações a pessoas que vivem com doenças raras, seus cuidadores e suas famílias
- Porque queremos equidade no acesso aos cuidados e tratamento para as doenças raras em Portugal e na Europa
- Porque precisamos de uma acção que possa unir a comunidade das doenças raras em torno do mesmo objectivo
- Porque precisamos de mais fundos para pesquisa e assistência e mais investigação e esforços voltados para as doenças raras
- Porque precisamos de continuar a lutar pelos pacientes com doenças raras
- Porque precisamos de coordenar as acções políticas a nível nacional e a nível internacional

2. Porquê um Dia das Doenças Raras?

Doenças raras: Uma prioridade de saúde pública é o conceito central do movimento dos pacientes com doença rara. Ele será o tema geral ao longo de cada dia da campanha do Dia das Doenças Raras 2010.

O Dia das Doenças Raras é a ocasião perfeita para informar ou lembrar o nosso público-alvo que as doenças raras são uma prioridade de saúde pública porque:

- O paciente portador de doença rara é o órfão dos sistemas de saúde, muitas vezes sem diagnóstico, sem tratamento, sem investigação, portanto, sem motivos para esperança.
- As doenças raras são uma ameaça à vida ou cronicamente debilitantes, têm uma prevalência baixa e um alto nível de complexidade.
- 6000 a 8000 doenças raras, foram identificadas, afectando 30 milhões de cidadãos Europeus.



- Os Pacientes com doenças raras e suas famílias estão particularmente isolados e vulneráveis. A esperança de vida dos pacientes com doença rara em alguns casos é significativamente reduzida e muitos têm deficiências que se constituem como uma fonte de discriminação e reduzem ou limitam o acesso à escolaridade e a oportunidades profissionais ou sociais.
- A falta de políticas específicas de saúde aliadas à escassez de competências traduzem-se em diagnóstico apropriado tardio e dificuldade de acesso ao tratamento.
- A investigação sobre doenças raras é escassa. Este conceito deve ser analisado no contexto de antigos e actuais desenvolvimentos da legislação sobre doença rara, tanto a nível europeu e nacional: Desde 1999, a União Europeia tomou medidas para lutar contra as doenças raras e seu impacto na vida dos pacientes, e fez das doenças raras uma prioridade dos seus programas de saúde pública:

Regulamento da União Europeia dos Medicamentos Órfãos (1999)

Regulamento comunitário sobre medicamentos pediátricos (2006)

Regulamento da UE sobre Terapias Avançadas (2007)

Programa de acção comunitária no domínio da Saúde Pública (1999-2003)

Programa de acção comunitária no domínio da Saúde Pública (2007-2013)

3. Foco do tema para 2010

“Aliar pacientes e investigadores”

Principais mensagens para o Dia das Doenças Raras:

- A investigação em Doenças Raras é uma importante área de pesquisa
- A investigação das Doenças Raras precisa ser melhor financiada
- Os pacientes e os investigadores ganham ao trabalhar juntos
- Os pacientes precisam de investigação para poderem ter acesso a novas terapias e respostas para os seus problemas.



A pesquisa representa esperança para milhões de pessoas com doenças raras que estão hoje sem cura. Na última década, grandes avanços foram feitos em genética e tecnologia médica, aumentando a esperança de grandes progressos científicos e terapêuticos.

No entanto, os programas públicos de investigação de doenças raras não são suficientes; o desenvolvimento de medicamentos para o tratamento de um pequeno número de pacientes permanece muito limitado e o facto dos pacientes e os investigadores estarem dispersos torna difícil agregar o valor do conhecimento já adquirido.

Os pacientes com doenças raras são os melhores parceiros dos investigadores, sem a sua participação nos ensaios clínicos, bio-bancos, bancos de dados e registos, a investigação não poderia avançar. Além de serem os sujeitos da pesquisa, os pacientes são os peritos da experiência e da prática - eles e as suas famílias sabem da sua doença melhor do que ninguém. Eles podem portanto, ajudar a encontrar pistas terapêuticas e ajudar a avançar a pesquisa básica por aprofundar a compreensão sobre a epidemiologia e história natural da doença.

A Aliança Portuguesa de Associações de Doenças Raras será um parceiro valioso em futuros projectos de investigação - através do financiamento de equipas de investigação, equipamentos e treino ou ajudando a constituir e organizar campanhas de registo e de recolher amostras biológicas.

Os pacientes frequentemente agem como catalisadores para o aumento da colaboração entre investigadores, clínicos, indústria e os próprios pacientes. É por isso que faz sentido para os doentes e os investigadores trabalharem em conjunto!

4. Porque Investigação das Doenças Raras?

Os pacientes com doenças raras têm os mesmos direitos que qualquer outro paciente no acesso à saúde e a esperança realista em novos tratamentos.



A Investigação de doenças raras pode levar a avanços terapêuticos de doenças mais comuns.

A complexidade das doenças raras exige equipas multidisciplinares e abordagens inovadoras. As novas ferramentas, métodos e produtos desenvolvidos a partir de pesquisa sobre doenças raras muitas vezes podem ser aplicados noutras condições mais comuns, assim beneficiando um público ainda maior.

O valor económico da investigação em doenças raras, também tem sido reconhecido pela indústria farmacêutica, que está a investir cada vez mais neste campo.

O que pode ajudar a impulsionar a investigação no domínio das doenças raras?

- Identificar projectos de investigação em curso e já existentes de modo a partilhar os resultados e fazer o melhor uso destes esforços
- Promover a participação de novos Investigadores em projectos financiados pela UE em RD
- Criar novos recursos financeiros adicionais para a investigação. Esta questão está intimamente relacionada com a necessidade do desenvolvimento sustentável de Redes de Referência Nacionais e de Redes Europeias de Referência dos Centros Especializados e Redes de Pesquisa Europeias

5. Principais objectivos do Dia das Doenças Raras 2010

Aumentar a consciência do público em geral e dos decisores sobre doenças raras e o seu impacto na vida dos pacientes. Mais especificamente, para este ano pretendemos atingir os seguintes objectivos:

- Promover a investigação no domínio das doenças raras
- Promover a colaboração entre pacientes e investigadores
- Formular políticas públicas e na agenda de investigação
- Capacitar os doentes como actores na investigação
- Definir as necessidades e prioridades de investigação de doenças raras



Além disso, o Dia das Doenças Raras procurará sempre:

- Aumentar a consciencialização sobre as doenças raras e reforçar sua importância como uma prioridade de saúde pública
- Fortalecer a voz de pacientes
- Obter a equidade no acesso aos cuidados e tratamento
- Proporcionar a esperança, informação e ajuda para os pacientes afectados pelas doenças raras, em especial aqueles para quem uma rede de apoio não está disponível ou é conhecida
- Angariar fundos para prosseguir os objectivos da Aliança Portuguesa de Associações das Doenças Raras