

Pesquisa com coautoria da USP pode avançar tratamento de doença rara

Medicamento traz melhora a pacientes com hipertensão arterial pulmonar

Um estudo clínico internacional, publicado no *The New England Journal of Medicine*, testou um novo medicamento para pacientes com hipertensão arterial pulmonar (HAP), doença rara e grave que afeta os vasos sanguíneos dos pulmões. A nova droga foi desenvolvida para agir nos vasos pulmonares, reduzindo sua espessura, facilitando a circulação sanguínea e aliviando a sobrecarga cardíaca provocada pela doença. O fármaco Sotatercept foi administrado em pacientes em estágios avançados da HAP.

Segundo o professor titular de Pneumologia da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (FMUSP), Rogério de Souza, ao longo dos últimos 20 anos, houve o desenvolvimento de vários tratamentos para a hipertensão pulmonar, mas não como nesse estudo, em que só foram estudados pacientes com alto risco de morte. “O fármaco diminuiu em 76% a chance de o paciente ser hospitalizado, transplantado ou morrer da doença”, disse o pesquisador, que assina o artigo com mais 15 cientistas europeus e norte-americanos.

A hipertensão arterial pulmonar é uma condição que acomete principalmente mulheres entre 40 e 50 anos de idade e, se não tratada, pode ter uma progressão que leva a uma sobrevida inferior à de muitos tipos de câncer. A doença provoca sintomas como fadiga extrema e falta de ar até mesmo em atividades simples, levando à perda de qualidade de vida e ao isolamento social. Estima-se em 5 mil o número de casos de pacientes com essa doença no país.

“O paciente não consegue andar, tem dificuldade para tomar banho. O diagnóstico é demorado. A queixa inicial é muito inespecífica, de falta de ar ao fazer um esforço. Muitas doenças podem ter esse tipo de quadro. Ela muitas vezes é confundida com outras doenças como insuficiência cardíaca, doença pulmonar obstrutiva crônica. O diagnóstico errado acaba retardando o tempo que o paciente vai ser tratado”, explica o professor.

Tratamento de alto custo

A nova medicação já foi aprovada pelo FDA e pelo EMA (agências americana e europeia de

Pesquisa com coautoria da USP pode avançar tratamento de doença rara

medicamentos) e milhares de pacientes já tomam esse medicamento, de acordo com o pesquisador.

No Brasil, o medicamento obteve registro no fim de 2024 na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), mas ainda não foi incorporado ao Sistema Único de Saúde (SUS). A administração é por meio de uma injeção subcutânea em que é possível a autoaplicação a cada três semanas. O tratamento é considerado de alto custo.

Para Rogério Souza, o próximo passo é ampliar o conhecimento sobre a doença e sensibilizar as autoridades de saúde quanto à importância de incorporar o tratamento no sistema público, ao menos para os pacientes mais graves.

“Agora começa o processo de mostrar para o governo a importância dessa nova tecnologia para redução de risco de internações, transplante ou morte dos pacientes. Agora começa um processo das sociedades médicas e das associações de pacientes de conversar com os governos em suas diferentes esferas para sensibilizá-los para a necessidade de incorporação ao SUS”, afirma o professor.

Segundo o pesquisador, a alternativa para esses pacientes, muitas vezes, é o transplante de pulmão. Com esse medicamento, é possível retirar pessoas da fila do transplante e devolvê-las à vida ativa. “É um ganho em quantidade e qualidade de vida — além de representar uma forma mais racional de utilizar os recursos públicos”.

O Ministério da Saúde informou à Agência Brasil que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (Conitec) não recebeu, até o momento, nenhuma solicitação para avaliação dessa tecnologia. “A comissão é responsável por analisar as evidências científicas, considerando aspectos como eficácia, efetividade e segurança”, diz a pasta, em nota.

Segundo o ministério, para pacientes com hipertensão arterial pulmonar, o SUS oferece gratuitamente opções de tratamento com ambrisentana, bosentana, iloprost, selexipague, além da sildenafila, cuja conduta médica segue o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas.

Ana Cristina Campos – Repórter da Agência Brasil

Pesquisa com coautoria da USP pode avançar tratamento de doença
rara

Publicado em 05/07/2025 - 12:30
Rio de Janeiro