



DOENÇAS RARAS E O SISTEMA ÚNICO DE SAÚDE: LIMITES E DESAFIOS

Maria Andressa Pereira dos Anjos¹, Ana Clara Lima Vieira Almeida², Maria Eduarda Gonçalves de Oliveira³, Esther Máysa de Sousa Alves⁴, Luyse Tavares Veloso de Queiroz⁵, Antônio Germane Alves Pinto⁶

Resumo: Doença rara é aquela que afeta até 65 pessoas a cada 100 mil indivíduos, incidindo principalmente crianças e sendo, em muitos casos, diagnosticadas tardiamente. O debate sobre essa pauta iniciou-se em 2009 com o I Congresso Brasileiro de Doenças Raras, cujo objetivo era debater as melhorias no atendimento aos portadores dessas patologias. Entretanto, apesar do evento ter proporcionado discussões para o fortalecimento da temática, ainda denota-se desafios na acessibilidade, efetividade do diagnóstico e tratamento ofertados pelo Sistema Único de Saúde (SUS). Sob essa ótica, objetiva-se analisar os desafios e as perspectivas relacionados ao tratamento de doenças raras no âmbito do programa universal de saúde no Brasil. A metodologia consiste numa revisão narrativa no portal da Biblioteca Virtual em Saúde por meio das bases Scielo e LILACS, com o operador booleano AND em uso aos descritores “Doenças Raras”, “Terapêutico” e “Sistema Único de Saúde”. No quantitativo de 36 estudos, 18 foram usufruídos. Como critérios de inclusão, publicações completas relevantes sobre a rede de tratamento, enquanto, de exclusão, descartaram-se artigos em língua estrangeira e os fora do período delimitado de cinco anos. Ao revisar a literatura, nota-se a escassez de serviços especializados, extenso processo burocrático, demanda de medicamentos de alto custo e o baixo investimento político em testes moleculares culminam como barreiras para a acessibilidade à saúde. Nesse viés, apesar da implantação da Diretriz para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS, que visa a atenção em todos os níveis de cuidados aos portadores, destaca-se a carência de profissionais habilitados e a oferta ineficiente de uma equipe multiprofissional, devido a baixa demanda, convergindo para a demora no processo de

¹ Universidade Regional do Cariri, email: andressa.anjos@urca.br

² Universidade Regional do Cariri, email: anaclara.lima@urca.br

³ Universidade Regional do Cariri, email: eduarda.goncalvesoliv@urca.br

⁴ Universidade Regional do Cariri, email: esther.maysa@urca.br

⁵ Universidade Regional do Cariri, email: luyse.queiroz@urca.br

⁶ Universidade Regional do Cariri, email: germane.pinto@urca.br

X SEMANA UNIVERSITÁRIA DA URCA
XXVIII SEMANA DE INICIAÇÃO CIENTÍFICA DA URCA
10 a 14 de NOVEMBRO de 2025

Tema: "UNIVERSIDADE E SOCIEDADE NA AGENDA 2030"



judicialização. Em razão da necessidade de fármacos específicos, detecta-se o esforço em garantir a equidade por meio da distribuição disponibilizada pela esfera federal associada ao Ministério da Saúde. Todavia, evidencia-se uma fabricação limitada advinda do seu alto custo em contraste com a baixa prevalência populacional, na qual prioriza tratamentos de enfermidades preponderantes, indiciando dilemas entre restrições orçamentárias e a violação do princípio de universalidade do SUS. Desse modo, conclui-se, que as expectativas ao Sistema Único de Saúde, pauta-se na demanda por financiamentos em centros especializados e pesquisas científicas, extensão em testes de diagnóstico, e sobretudo na distribuição de medicamentos onerosos.

Palavras-chave: Doenças Raras. Terapêutico. Sistema Único de Saúde.