ABRASTA
Associação Brasileira de Talassemia

São Paulo, 28 de maio de 2026

Ofício PP nº 49/2026

Ao Ministro da Saúde
Exmo. Alexandre Rocha Santos Padilha
Ao Diretor-geral do Instituto Nacional de Câncer - INCA
Exmo. Roberto de Almeida Gil

Assunto: Solicitação de inclusão de pessoas com talassemia no REDOME

Excelentíssimo,

A **ABRASTA – Associação Brasileira de Talassemia**, entidade sem fins lucrativos fundada em 1982, tem como missão a construção de políticas públicas para facilitar o acesso ao tratamento dos pacientes que convivem com a Talassemia, uma doença hereditária rara que exige transfusões periódicas e resulta em sobrecarga de ferro em órgãos como coração, fígado e pâncreas.

O cenário atual da talassemia no Brasil evidencia uma condição ultrarrara, crônica e de elevada complexidade assistencial, marcada por importantes desigualdades de acesso ao diagnóstico, monitoramento especializado, terapias avançadas e políticas públicas estruturadas. Apesar dos avanços científicos das últimas décadas, pessoas com talassemia ainda enfrentam significativa invisibilidade sanitária e dificuldades concretas para acessar tratamentos capazes de modificar a história natural da doença.

A talassemia é uma hemoglobinopatia hereditária caracterizada pela produção reduzida ou ausente das cadeias beta da hemoglobina, resultando em anemia

crônica de gravidade variável. Nas formas dependentes de transfusão, os pacientes necessitam de transfusões regulares desde os primeiros meses ou anos de vida para manter níveis mínimos de hemoglobina compatíveis com sobrevivência e desenvolvimento adequado.

Segundo análise divulgada pela Associação Brasileira de Talassemia (ABRASTA) em dezembro de 2024, baseada no cadastro nacional de pacientes da entidade, o Brasil possuía 1.274 pacientes vivos cadastrados com talassemias, sendo 1.010 pacientes (79%) com beta-talassemia, 21 (2%) com alfa-talassemia e 243 (19%) com outras hemoglobinopatias associadas. O levantamento representa atualmente uma das bases epidemiológicas mais amplas sobre talassemia no país e evidencia a relevância sanitária dessa população historicamente subnotificada.

Os dados demonstram ainda que aproximadamente 64% dos pacientes cadastrados relataram depender exclusivamente do Sistema Único de Saúde (SUS) para acompanhamento e tratamento, evidenciando a centralidade da rede pública na assistência às pessoas com talassemia no Brasil.

Entre os pacientes com beta-talassemia cadastrados, 60% estavam concentrados na região Sudeste, seguida pelas regiões Nordeste (16%), Sul (14%), Centro-Oeste (6%) e Norte (4%), refletindo tanto aspectos históricos migratórios quanto desigualdades regionais no acesso ao diagnóstico e acompanhamento especializado.

O estudo também demonstrou importante predominância de formas clinicamente mais graves da doença entre adultos. Dos 1.010 pacientes cadastrados com beta-talassemia, 307 apresentavam beta-talassemia intermediária e 366 beta-talassemia maior, formas frequentemente associadas à necessidade de transfusões regulares, sobrecarga crônica de ferro e elevado risco de complicações multissistêmicas. Entre os pacientes adultos, cerca de 70% relataram possuir formas intermediárias ou maiores da doença.

A análise da ABRASTA ressalta ainda que os dados oficiais brasileiros permanecem limitados e provavelmente subestimados. O próprio estudo destaca que as informações epidemiológicas sobre talassemias no Brasil ainda são escassas, apesar de

fundamentais para formulação de políticas públicas, organização da linha de cuidado e ampliação do acesso ao diagnóstico e tratamento especializado.

Dados obtidos via Lei de Acesso à Informação e também mencionados no levantamento apontam que, até setembro de 2024, o sistema Hemovida Web Hemoglobinopatias registrava oficialmente 1.440 pacientes com talassemias no Brasil, dos quais 1.243 possuíam diagnóstico de beta-talassemia. Os números reforçam a necessidade de fortalecimento das políticas nacionais voltadas às hemoglobinopatias raras, especialmente no âmbito do SUS.

Segundo o Consenso da Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH), havia até setembro de 2024 apenas 1.222 pessoas registradas com beta-talassemia no Sistema Informatizado Hemovida do Ministério da Saúde, incluindo desde portadores do traço até pacientes com talassemia maior e intermediária. O próprio consenso ressalta que esses números provavelmente não refletem a realidade nacional, uma vez que muitos pacientes não realizam acompanhamento em hemocentros e permanecem fora dos registros oficiais, dificultando o planejamento adequado das políticas públicas e da linha de cuidado.

O tratamento convencional da beta-talassemia dependente de transfusão impõe carga terapêutica contínua e permanente. Esses pacientes dependem de transfusões frequentes ao longo de toda a vida, além do uso contínuo de terapia quelante para controle da sobrecarga de ferro secundária às transfusões.

Entretanto, o acesso integral a essa linha de cuidado ainda é profundamente desigual no Brasil. A Associação Brasileira de Talassemia (ABRASTA) atua há mais de quatro décadas no suporte aos pacientes, incluindo educação, defesa de direitos, apoio psicossocial e articulação de políticas públicas, evidenciando a necessidade de atuação complementar da sociedade civil diante das lacunas assistenciais existentes.

Um dos principais fatores de morbidade e mortalidade na talassemia é a sobrecarga crônica de ferro decorrente das transfusões frequentes. O excesso de ferro deposita-se progressivamente em órgãos vitais, provocando cardiomiopatias, arritmias,

insuficiência cardíaca, cirrose hepática, diabetes mellitus, hipogonadismo, osteoporose e outras endocrinopatias graves.

Além disso, muitos pacientes enfrentam dificuldades de acesso a exames fundamentais para o monitoramento adequado da sobrecarga de ferro, especialmente a ressonância magnética T2*, considerada padrão internacional para avaliação cardíaca e hepática. Sem monitoramento adequado, a progressão do dano orgânico frequentemente ocorre de forma silenciosa e cumulativa.

A própria ABRASTA ressalta que as transfusões e a sobrecarga de ferro podem desencadear uma série de complicações secundárias e efeitos adversos importantes, reforçando o impacto físico, emocional e social da doença crônica e do tratamento contínuo.

Nesse contexto, o transplante de células-tronco hematopoéticas (TCTH), conhecido como transplante de medula óssea, representa atualmente a única modalidade terapêutica consolidada com potencial curativo para pessoas com beta-talassemia grave e dependente de transfusão.

Destacamos que o transplante permite substituir as células-tronco hematopoéticas do paciente por células saudáveis capazes de produzir hemoglobina normal, interrompendo a dependência transfusional e modificando radicalmente a evolução clínica da doença.

O impacto do transplante vai muito além da interrupção das transfusões. Ao eliminar a necessidade transfusional crônica, reduz-se drasticamente o acúmulo progressivo de ferro e, consequentemente, o risco de desenvolvimento de cardiopatias, hepatopatias, endocrinopatias e demais complicações secundárias associadas à doença.

Contudo, a principal barreira para a realização do transplante permanece sendo a dificuldade de identificação de doadores compatíveis. Devido à intensa miscigenação genética da população brasileira, encontrar um doador 100% compatível é particularmente difícil. A chance de compatibilidade entre irmãos é de aproximadamente 25%, e muitos pacientes não encontram doadores adequados dentro da própria família.

Esse desafio evidencia a relevância estratégica do Registro Nacional de Doadores Voluntários de Medula Óssea (REDOME) para as pessoas com talassemia. A ampliação da visibilidade dessa população dentro das políticas públicas de transplante é essencial para aumentar as possibilidades de identificação de doadores compatíveis e garantir acesso equitativo ao tratamento curativo.

Embora novas tecnologias, como terapia gênica e edição genética, representem avanços extremamente promissores, seu acesso ainda é altamente restrito e incompatível com a realidade da maior parte dos sistemas públicos de saúde. Reconhecemos que essas tecnologias ainda estão em processo de expansão e possuem alto grau de complexidade e custo.

Dessa forma, o transplante de medula óssea permanece, atualmente, como a única alternativa curativa consolidada, validada cientificamente e efetivamente aplicável à realidade assistencial das pessoas com beta-talassemia grave.

Sob a perspectiva do Sistema Único de Saúde, ampliar o acesso ao transplante também representa medida racional do ponto de vista econômico e sanitário. O tratamento convencional da talassemia dependente de transfusão implica custos cumulativos e permanentes relacionados à hemoterapia crônica, quelação de ferro, exames especializados, internações recorrentes e manejo de complicações multissistêmicas ao longo de décadas. O transplante, embora envolva elevado investimento inicial, possui potencial de reduzir substancialmente a carga assistencial futura e modificar definitivamente a história natural da doença.

Assim, diante das evidências científicas disponíveis, das limitações atuais da linha de cuidado no Brasil, das dificuldades de acesso às políticas públicas específicas para doenças raras hematológicas e da existência de modalidade terapêutica potencialmente curativa já consolidada internacionalmente, torna-se plenamente justificável e necessário fortalecer institucionalmente o acesso das pessoas com talassemia ao transplante de medula óssea, incluindo sua adequada inserção e priorização nas estratégias relacionadas ao REDOME e às políticas nacionais de atenção integral às hemoglobinopatias.

ABRASTA
Associação Brasileira de Talassemia

O Consenso Brasileiro de Transplante de Células-Tronco Hematopoéticas (TCTH) em Hemoglobinopatias também reforça a relevância do transplante como estratégia terapêutica modificadora da história natural das hemoglobinopatias graves, incluindo as talassemias. O documento evidencia que essas doenças apresentam elevada morbimortalidade, importantes impactos sistêmicos e redução significativa da expectativa de vida quando não manejadas adequadamente.

O consenso ressalta ainda que os pacientes acometidos por hemoglobinopatias graves frequentemente necessitam de terapias transfusionais contínuas, acompanhamento especializado e monitoramento permanente de complicações clínicas associadas tanto à doença de base quanto à sobrecarga transfusional de ferro. Nesse contexto, o transplante de células-tronco hematopoéticas é reconhecido como intervenção potencialmente curativa, capaz de interromper a progressão da doença e reduzir substancialmente complicações secundárias e danos orgânicos cumulativos.

Além disso, o documento brasileiro reforça a necessidade de fortalecimento da política nacional de atenção às hemoglobinopatias e ampliação do acesso aos centros especializados, reconhecendo que a limitação na identificação de doadores compatíveis permanece como um dos principais obstáculos para realização do transplante em tempo oportuno.

Respeitosamente,

Eduardo Maércio Fróes
Presidente da Abrasta

Contatos : Igor Henrique de Castro Alves - Responsável pelo Departamento de Políticas Públicas e Advocacy da ABRASTA

E-mail: igor.alves@abrasta.org.br Celular: (34) 99813-3362

Referências bibliográficas:

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE HEMATOLOGIA, HEMOTERAPIA E TERAPIA CELULAR. Consenso da Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular sobre Talassemia. 1. ed. São Paulo: ABHH, 2024.

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE TALASSEMIA. Efeitos colaterais do tratamento. São Paulo: ABRASTA, [s.d.]. Disponível em: https://abrasta.org.br/efeitos-colaterais-do-tratamento/. Acesso em: 27 maio 2026.

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE TALASSEMIA. Números da beta-talassemia no Brasil: uma análise a partir do cadastro de pacientes da Associação Brasileira de Talassemia (Abrasta). São Paulo: ABRASTA, 2024. Disponível em: https://abrasta.org.br/noticias/2024/12/numeros-da-beta-talassemia-no-brasil-uma-analise-a-partir-do-cadastro-de-pacientes-da-associacao-brasileira-de-talassemia-abrasta/. Acesso em: 27 maio 2026.

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE TALASSEMIA. O que é talassemia. São Paulo: ABRASTA, [s.d.]. Disponível em: https://abrasta.org.br/talessemia/o-que-e/. Acesso em: 27 maio 2026.

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE TALASSEMIA. Panorama da Talassemia. São Paulo: ABRASTA, 2024. Disponível em: https://abrasta.org.br/pesquisa/2024/05/panorama-da-talassemia/. Acesso em: 27 maio 2026.

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE TALASSEMIA. Terapia gênica para beta-talassemia. São Paulo: ABRASTA, [s.d.]. Disponível em: https://abrasta.org.br/talessemia/terapia-genica-para-beta-talassemia/. Acesso em: 27 maio 2026.

ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE TALASSEMIA. Transplante de medula óssea. São Paulo: ABRASTA, [s.d.]. Disponível em: https://abrasta.org.br/talessemia/transplante-de-medula-ossea/. Acesso em: 27 maio 2026.

BRASIL. Ministério da Saúde. Talassemia beta. Brasília: Ministério da Saúde, 2014. Disponível em: https://bvsms.saude.gov.br/bvs/folder/talassemias_folder.pdf. Acesso em: 27 maio 2026.