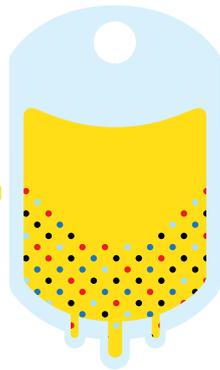


## QUE DOENÇAS RARAS SÃO TRATADAS COM AS TERAPIAS DE PROTEÍNAS PLASMÁTICAS?

O plasma é a porção líquida amarelada do sangue. Contém centenas de proteínas que desempenham funções críticas no corpo humano, tais como anticorpos para combater doenças e fatores de coagulação para controlar as hemorragias. Se uma pessoa não tiver níveis suficientes de alguma proteína plasmática, o seu corpo não é capaz de desempenhar essas funções vitais, levando a uma série de problemas de saúde crônicos e potencialmente fatais. As terapias de proteínas plasmáticas são medicamentos biológicos únicos, que tratam as deficiências de proteínas plasmáticas substituindo as proteínas do paciente que estão em falta ou funcionalmente danificadas.



### PROTEÍNAS NO SEU PLASMA:

- IMUNOGLOBULINAS (ANTICORPOS)
- FATORES DE COAGULAÇÃO
- INIBIDOR DA C1 ESTERASE
- INIBIDOR DA ALFA-1 PROTEINASE

### DOENÇAS RARAS TRATADAS COM TERAPIAS DE PROTEÍNAS PLASMÁTICAS

#### IMUNODEFICIÊNCIAS PRIMÁRIAS (IDP)

- » Causadas pela falta de imunoglobulinas (anticorpos)
- » Os anticorpos controlam o sistema imunitário e previnem a ocorrência de doenças
- » Os pacientes sofrem de doenças crônicas resultantes de infecções graves, persistentes e recorrentes

#### POLINEUROPATIA DESMIELINIZANTE INFLAMATÓRIA CRÔNICA (PDIC)

- » A causa exata é desconhecida; o sistema imunitário ataca o revestimento dos nervos
- » As mensagens do cérebro não são transmitidas ao resto do corpo se o revestimento dos nervos estiver danificado
- » Os pacientes experienciam uma fraqueza gradual, perda de função dos membros e incapacidade

#### DOENÇAS HEMORRÁGICAS (POR EXEMPLO, HEMOFILIA)

- » Causadas pela falta das proteínas designadas por fatores de coagulação
- » Estas doenças são caracterizadas por episódios hemorrágicos recorrentes, sobretudo nas articulações e músculos. Ao longo do tempo, as hemorragias repetidas das articulações danificam a cartilagem e o osso, o que em última análise leva a uma doença incapacitante das articulações.

#### ANGIOEDEMA HEREDITÁRIO (AEH)

- » Causado pela deficiência da proteína denominada inibidor da C1 esterase (C1-INH)
- » O C1-INH ajuda a regular a inflamação
- » Os pacientes têm edema (inchaço grave), o qual pode ser fatal em caso de obstrução das vias respiratórias

#### DEFICIÊNCIA DE ALFA-1 ANTITRIPSINA

- » Causada pela deficiência do inibidor da alfa-1 proteinase
- » O inibidor da alfa-1 proteinase protege os pulmões
- » Os pacientes têm enfisema crônico e danos no fígado