



SENADO FEDERAL
SECRETARIA-GERAL DA MESA
SECRETARIA DE REGISTRO E REDAÇÃO PARLAMENTAR

REUNIÃO

23/02/2022 - 3ª - Comissão de Assuntos Sociais

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR. Fala da Presidência.) - Havendo número regimental, declaro aberta a 3ª Reunião, Extraordinária, da Comissão de Assuntos Sociais da 4ª Sessão Legislativa Ordinária da 56ª Legislatura. (*Falha no áudio.*) ... n.ºs 24 e 30, de 2021, da CAS, de minha autoria e de autoria da Senadora Presidente da Subcomissão de Doenças Raras, Mara Gabrilli, para a realização de audiência pública destinada a debater o apoio prestado pelo Sistema Único de Saúde (SUS) aos pacientes acometidos pela Lipofuscinose Ceróide Neuronal tipo 2 (CLN2), doença de Batten, especialmente no que diz respeito à dispensação do medicamento Brineura (alfacriliponase).

Informo que a audiência pública tem a cobertura da TV Senado, da Agência Senado, do *Jornal do Senado*, da Rádio Senado e contará com serviços de interatividade com o cidadão: Ouvidoria, através do telefone 0800 0612211, e e-Cidadania, por meio do portal www.senado.leg.br/ecidadania, que transmitirá ao vivo a presente reunião e possibilitará o recebimento de perguntas e comentários aos expositores via internet.

Quero, antes de apresentar os convidados e iniciarmos a audiência, contextualizar a realização desta audiência pública na Comissão de Assuntos Sociais e, particularmente, na Subcomissão de Doenças Raras, que existe na Comissão e que é presidida, como eu já disse, pela Senadora Mara Gabrilli e vice-presidida por mim.

Então, quero dizer que, desde o início de 2021, acompanhamos a grave situação das crianças que necessitam da medicação para o tratamento da CLN2 - doença de Batten. Essa doença rara acomete a pequena Isabella Cristina Silva Feitosa, filha da Sra. Cremilda de Sena Silva, conhecida como Tuca, que reside em Campina Grande do Sul, na região metropolitana de Curitiba; também o pequeno Francisco, que vive no Pará; e outras 13 crianças no país - estamos falando de 15 crianças. Isso se insere no contexto das doenças raras.

Após ouvir o apelo das famílias e organizações da sociedade, como a Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro Oeste (Fedrann), em 23 de novembro de 2021, apresentamos ao Presidente da Comissão de Assuntos Sociais a solicitação de audiência pública com a participação da Subcomissão Permanente de Acompanhamento das Políticas Públicas para as Pessoas com Doenças Raras.

O nosso objetivo é discutir o apoio prestado pelo SUS aos pacientes acometidos pela CLN2 - doença de Batten, especialmente no que diz respeito à dispensação do medicamento aprovado pela Anvisa e única medicação disponível indicada para essa doença.

Tratamos aqui de uma ação de política pública endereçada, na qualidade, a 15 crianças brasileiras, que, se tratadas com essa medicação, terão significativa redução de internações, aumento no bem-estar geral, com maior qualidade de vida e menos angústias para as suas famílias, inclusive com a preocupação permanente quanto à obtenção do remédio por liminar da Justiça. Essa é uma iniciativa que vai ao encontro do preceito constitucional que afirma ser a saúde um direito de todos e dever do Estado.

No mundo, para contextualizar, existem cerca de 300 milhões de pessoas com doenças raras, aproximadamente 13 milhões no Brasil. Estima-se que existam entre 6 mil e 8 mil tipos diferentes de doenças raras. Segundo os especialistas, 30% dos casos levam à morte antes dos cinco anos de idade; 75% afetam crianças; e 80% têm origem genética. Somente cerca de

5% dessas doenças dispõem de algum tratamento para diminuir o avanço da doença. Como existem poucos pacientes, o valor do medicamento é muito elevado, impossível de ser pago pelas famílias.

A doença de Batten, objeto desta nossa audiência, felizmente conta com uma medicação aprovada pela Anvisa, mas ainda não disponível no Sistema Único de Saúde.

O mês de fevereiro - portanto, estamos neste mês -, em especial o dia 29, uma data rara, concentra as lutas para ampliar o conhecimento sobre as doenças raras.

Nos últimos anos, o Congresso Nacional tem sido iluminado nesse período com as cores dos raros para chamar a atenção da causa, fortalecer as lutas e propiciar avanços e compromissos também.

Histórias de crianças, como a do Francisco, do Pará, e da Isabella, no Paraná, nos emocionam e nos impulsionam a agir. Como é comum em nossas famílias, os pais registram em vídeos e fotos os primeiros passos, as brincadeiras, o balbuciar de palavras, e pouco tempo depois tudo muda. As crianças passaram a ter convulsões, perderam o movimento das pernas, começaram a ter dificuldades para enxergar e falar. Na busca desesperada para saber o que aconteceu, os pais peregrinaram pelos serviços de saúde até descobrirem que era uma doença rara, com um nome estranho, CLN2, conhecida como doença de Batten, uma doença sem cura, crônica, progressiva, degenerativa e que pode levar à morte precoce, uma notícia devastadora, sem dúvida, para as famílias.

Nós vamos assistir agora a um vídeo do pequeno Francisco para entender melhor o resultado do tratamento na vida de crianças. É necessário dizer que o vídeo é importante porque a imagem fala muito mais do que mil palavras. Como são muitas crianças no vídeo - aliás, poucas crianças, 15 crianças... Inclusive, esse conhecimento não é acessível, muitas vezes, para a classe médica. Então, podemos todos nós, com autorização da família, divulgar esse vídeo para que a doença de Batten possa ser conhecida e para as pessoas saberem que existem tratamento para essas crianças.

Vamos assistir então ao vídeo. Peço à Secretaria que o providencie.

(Procede-se à exibição de vídeo.)

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu agradeço.

Peço à Secretaria da Comissão, inclusive, para deixar o vídeo disponível para que possamos encerrar esta audiência pública novamente vendo o vídeo.

Que essas crianças, suas famílias e os profissionais nos inspirem a, em conjunto, construirmos soluções para a doença de Batten e para as outras doenças raras também!

Nesta audiência nós vamos ouvir a sociedade organizada, as famílias, os técnicos, o Ministério da Saúde.

Nosso objetivo é encontrar caminhos para, no curto prazo, podermos disponibilizar a medicação para a doença de Batten no SUS.

É necessário destacar que foram mais de 2,2 mil contribuições favoráveis ao tratamento da doença de Batten na recente Consulta Pública 89, da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec). As famílias sustentaram que existem evidências positivas em relação aos resultados do tratamento. É um absurdo que a questão não tenha sido resolvida até o momento, pois o tratamento dessa e de outras doenças raras produz impacto na diminuição dos custos com as ações judiciais, dobra seu preço muitas vezes, e traz outros benefícios, como a diminuição de internações frequentes e sequelas, além de propiciar melhorias na qualidade de vida para toda a família.

Com base no direito à saúde, previsto na Constituição Federal, apoiamos a articulação da sociedade e o fortalecimento da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. É preciso ampliar os protocolos e centros de atendimento, promover articulação das ações no SUS e a capacitação dos profissionais de saúde, além de propiciar avanços nos tratamentos com estabelecimento de um núcleo nacional para congregar as diversas iniciativas de desenvolvimento tecnológico e de pesquisa sobre as doenças raras no Brasil. Juntos podemos avançar no cuidado e nos direitos das pessoas com doenças raras e suas famílias.

Muito bem, para o dia de hoje, então, nós temos apresentação - agradecemos a presença inclusive - dos expositores, das expositoras basicamente. É uma alegria ter vocês aqui na Comissão de Assuntos Sociais em conjunto com a Subcomissão de Doenças Raras. Então, nós temos, em primeiro lugar: a Dra. Mara Lucia Schmitz Ferreira Santos, que é Neuropediatra do Hospital Pequeno Príncipe de Curitiba, especialista na doença - o Pequeno Príncipe é uma referência no Paraná e no Brasil, e a Dra. Mara é uma referência para as famílias que têm entes queridos com doenças raras -; a Sra. Cremilda de Sena Silva, a Tuca, que é representante dos pacientes da doença de Batten, que a gente mencionou agora há pouco, mãe da Isabella; a Sra. Monica Aderaldo, Presidente da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste (Fedrann) - aliás, quero também parabenizar a Tuca e a Fedrann pelo excelente trabalho que fazem -; e

temos também, com muita alegria, a presença da representante do Ministério da Saúde, que discorrerá acerca do estado mais atual de análise pela Conitec, quanto à dispensação do medicamento Brineura - quero inclusive aqui citar, eu já tinha citado antes, a Dra. Priscila Gebrim Louly, agradeço pela presença também -, e discutirá a incorporação do medicamento, dispensação em face da sua aprovação pela Anvisa para aquisição privada.

Então, sejam todas bem-vindas.

Cito, mais uma vez, a Dra. Mara, a Sra. Cremilda - bem conhecida -, a Dra. Priscila e também a representante da Fedrann. Cito a Cremilda, a Dra. Mara, a Dra. Priscila e a Dra. Monica. Eu sempre me confundo. Monica também é médica e faz um excelente trabalho no Hospital de Clínicas do Rio Grande do Sul.

Muito bem, então, eu passo, em primeiro lugar, a palavra para a Dra. Mara, especialista na doença, neuropediatra do Hospital Pequeno Príncipe de Curitiba.

Com a palavra, então, a Mara.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS (Para expor.) - Bom dia a todos!

Muito obrigada, nosso Senador Flávio Arns, pela oportunidade.

Agradeço a presença de todos, por estarmos aqui convivendo neste dia de hoje. É uma batalha, uma luta de muitos anos de muitas famílias. Que a gente possa, com isso, colaborar e expor a situação da patologia, da doença e das famílias!

Eu gostaria de pedir o compartilhamento de tela. *(Pausa.)*

Eu gostaria de saber se vocês estão vendo. *(Pausa.)*

Estão vendo?

Sim? O.k.!

Então vou falar um pouquinho da parte da cerliponase alfa. Certo? A doença, em si, do que se trata?

O Dr. Flávio Arns já é quase um médico, não é, Senador Flávio Arns? De tanto ele ouvir, ele já sabe sobre a patologia. Ele já fez uma introdução muito importante.

Então, como o Dr. Flávio já disse, o que é? A lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2, também conhecida como doença de Batten ou CLN2, é uma doença lisossomal, neurodegenerativa, é uma doença autossômica recessiva, o que significa que, em 25% de cada gestação, pode-se ter um filho com a mesma doença. É uma doença em que existe uma deficiência enzimática. A enzima se chama tripeptidil-peptidase, que é a TPP1. A incidência é de 0,15 a 9 casos a cada cem mil nascidos vivos. O que essa doença faz? Ela acumula uma substância, como vemos nessa figura aqui embaixo; são esses vermelhinhos. Ela faz o acúmulo da lipoxina ceróide e faz uma apoptose neuronal. Então, faz uma morte celular tanto no cérebro como na retina da criança, acarretando, com isso, vários graus, início de perdas visuais, convulsões e disfunção cognitiva.

O início dessa doença pode se dar de algumas maneiras. Há as habituais, como nós chamamos. No início dos dois anos de idade, a criança já tem, muitas vezes, um atraso na fala; ela já fala um pouco mais devagar.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Dra. Mara, é só um minutinho! Eu só quero perguntar...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Sim!

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - ... para a Monica, para a Cremilda e para a Dra. Priscila se estão escutando bem também. O som está bom? *(Pausa.)*

Está bom? Positivo? *(Pausa.)*

Isso! Então, está ótimo! Tudo bem!

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Está bom.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Era só para confirmar...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - É claro!

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - ... para os outros que nos acompanham pelos meios de comunicação.

Desculpe-me a interrupção, Dra. Mara.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Imagine! Tranquilo, Dr. Flávio!

Veja: o que nós temos, então? O fenótipo, como a gente fala... O que é fenótipo? É a característica clínica da doença. Então, normalmente, a lipofuscinose inicia por volta dos dois anos, com atraso na linguagem, iniciando depois com crises convulsivas.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu só estou interrompendo mais uma vez, porque a Dra. Priscila lembrou que os eslaides não estão passando.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Não?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Não. Está no primeiro ainda, em que está escrito "cerliponase alfa".

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Ah, é? Não estão vendo? Olha, então, tá. Nada, nada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Desculpe...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Não, imagina, é bem importante. Obrigada. Então, acho que eu vou ter que descompartilhar e voltar de novo, só um minuto.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Você precisa colocar no modo "apresentação".

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Isso mesmo, mas às vezes eu tenho que entrar na aula... Deixe-me ver aqui se vai. *(Pausa.)*

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Todos que nos acompanham pelos meios de comunicação do Senado, a gente está, inclusive, fazendo essa pequena interrupção para que todos aproveitem muito bem a apresentação da Dra. Mara, que é especialista, neuropediatra, uma liderança...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Estão vendo, Dr. Flávio?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Estamos no primeiro eslaide ainda...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Ele não passa... Tá, para mim ele passa e não passa aí. Então, às vezes eu vou ter que fechar tudo. Só um minutinho, deixe-me ver se eu consigo aqui. *(Pausa.)*

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu só pergunto para a Monica e para a Cremilda se para vocês também está no primeiro ainda. Está no primeiro eslaide? *(Pausa.)*

Sim. Só para... Às vezes a tecnologia num computador é uma coisa e no outro é outra.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Isso mesmo, principalmente quando a gente quer que dê certo.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Se você quiser, Mara, não sei...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Veja se vai dar certo agora...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Vamos ver...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Deu?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está no primeiro...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - É... Ele não passa. Que interessante.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - O primeiro está bem bonito. Agora deu certo, a Priscila está falando.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Mas eu acho que não está passando... Já está no segundo?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Não, não está. Não está funcionando.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Está no primeiro ainda?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está no primeiro. Se você quiser, Dra. Mara, e não for atrapalhar, eu passaria a palavra para a Cremilda...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Uhum... Eu só vou ver se agora... Veja se foi. Foi? Passou ou não?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está no primeiro.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Não passa, não é? Então, acho que põe a Cremilda, Senador Flávio, porque assim eu não atrapalho a apresentação.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está bem.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Não está passando, não é?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Não.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Daí eu acho que vou pedir para o pessoal da CAS se a gente pode... Eu acho que não consigo mandar para eles a aula, eu acho que não. Deixe-me ver se consigo aqui. *(Pausa.)*

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Depois, inclusive, essa apresentação...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - E assim está passando ou não?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está passando. Agora, está passando.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Então, se não for difícil, posso passar nesse eslaide? Porque, quando põe o modo de apresentação, ele não passa. Quando eu desço aqui...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Pode ser no pequeno, Dra. Mara.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Pode ser?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Pode ser. E, depois, todo o material ficará disponível, se a senhora concordar...

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Claro, com certeza, sem dúvida...

Então, se eles não se importarem, posso recomendar, Senador Flávio?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Pode, pode. Desculpe a interrupção aí, mas é que a sua apresentação é superimportante.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS - Imagina... Eu que peço desculpas pelo atrapalho.

Então, eu vou falar da lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2, não é? Como a gente havia falado, é uma doença neurodegenerativa, autossômica recessiva, isto é, existem 25% de chance de você ter um filho com a mesma doença na próxima gestação.

Existe a deficiência de uma enzima que se chama tripeptidil peptidase. Quando falta essa enzima, existe um acúmulo dessa outra enzima no cérebro e na retina, fazendo o que a gente chama de apoptose celular, isto é, uma morte neuronal.

A incidência dessa doença é de 0,15 a 9 casos a cada 100 mil nascidos vivos.

Existem vários graus de sintomas, desde perda visual, crise convulsiva e cognitiva, em que a criança vai perdendo a inteligência.

Então, os sintomas dos nossos pacientes podem variar, desde a perda da fala... Ou nem perda, às vezes há um atraso na linguagem; uma criança que vinha normal, e ela fala menos do que o habitual. Ela passa a desenvolver crises convulsivas, como vocês notam nessa linha do tempo, e passa depois a ter ataxia, uma alteração na marcha, como o vídeo mostrado pela família do Francisquinho. Ela já vai perdendo o equilíbrio e vai, cada vez mais, perdendo as suas aquisições. Então, tem perda visual, vai falando cada vez menos, andando cada vez menos, até que ele precisa de uma sonda nasoesférica,

gastrostomia - que é o burquinho que se faz na barriga para se alimentar - e, às vezes, para de respirar, precisando de um burquinho para respirar, que é a traqueostomia, certo?

A partir disso, o que nós temos? Nós temos uma pontuação, que a gente chama escala de Hamburgo. Essa escala de Hamburgo foi proposta para avaliarmos a categoria funcional dos pacientes. Então, podem ser tanto na linguagem, nas crises convulsivas, na função visual, perfazendo esse score total. Mas o que nós avaliamos mesmo, que é o primordial, seria a função motora e a linguagem. Na função motora e na linguagem, a melhor nota seria 6, e a pior nota seria 0. Então, para as crianças entrarem para uso inicial da medicação, seria em torno de 6 a 2.

Então, quais são os nossos desafios frente a isso? Qual é o nosso desafio? A medicação. Nós temos hoje a medicação que chama cerliponase alfa, que é uma terapia de reposição enzimática: você repõe a enzima no corpo do paciente quando ele não consegue produzir. Como ela atua? A gente a chama de pró-enzima recombinante contendo uma manose-6-fosfato. Ela é translocada para dentro do lisossoma, é ativada, e vai atuar como a tripeptidil peptidase. Então, você repõe a enzima no cérebro dessa criança.

Estes aqui são os estudos que começaram em camundongos, foram para cães, tendo uma eficácia extremamente positiva. Então, o estudo para termos... Quando começou a se estudar esse tratamento? Desde 2008. Os remédios demoram para você começar a ter os ensaios clínicos em animais, até você chegar à Fase I e à Fase II, que foi em 2017. Então, veja: de 2008 para 2017, quando já foi liberada essa medicação nos Estados Unidos e na Europa. E hoje, em 2019, já se iniciou o estudo em crianças menores. O primeiro estudo, em 2017, foi de 3 a 18 anos; agora os menores, com 2 anos de idade.

Os estudos mostraram o quê? Quando passou o estudo da Fase I para a Fase II, que foi em humanos, se iniciou - o estudo foi da cerliponase alfa intraventricular - em 24 crianças, de 3 a 16 anos. Esses pacientes foram tratados e comparados com 42 crianças do grupo histórico. Vocês podem ver aqui no gráfico ao lado: a linha azul refere-se a quem tomou o remédio; a linha vermelha, a quem não tomou a medicação.

Esses estudos são feitos com história natural por quê? Não é eticamente correto você estudar ou fazer uso do placebo. E o que é o placebo? Não é uma medicação, é muito usado na medicina para os ensaios duplos-cegos, em que, num grupo você usa medicação, no outro grupo você não usa medicação. Nesse caso, não há como você instalar um reservatório, um dispositivo, dentro do cérebro dessa criança e não usar medicação. Então, por isso, sempre os estudos são feitos com história natural.

E o que foi visto? Tanto no primeiro gráfico, que é motor e linguagem; no segundo, motor; e no terceiro, linguagem, você vê que no grupo azul, que usou a medicação, a história mudou completamente. Você estabilizou a doença, a evolução da doença nesses pacientes.

Aqui também temos um estudo mostrando uma coorte de oito crianças, em três hospitais universitários, mostrando também o tratamento precoce e a sensação da progressão da doença.

Aqui temos um outro estudo que estabilizou, foi em 11 crianças. Cada gráfico desses foi um passinho mostrando que retardou a progressão doença, e uma dessas crianças até melhorou a sua pontuação.

Aqui há um estudo que eu acho bem interessante, que é o tratamento dos pacientes pré-sintomáticos, em que você vê o quê? Esse irmão, esse menino, aqui no gráfico de cima, esse paciente 1 fez o diagnóstico com 42 meses, com três anos e meio aproximadamente, e começou a tratar. Dois anos depois do tratamento... Aqui temos uma ressonância magnética, do lado, e para quem não está familiarizado, ela mostra um pouquinho mais dilatados os ventrículos - que são aquela aparência de borboleta, um pouquinho mais dilatada -, e os sulcos cerebrais um pouquinho mais aumentados. Então, já houve uma melhora, evoluiu lentamente, mas foi.

No paciente de baixo, que é o irmão, foi feito o diagnóstico sem haver sintoma nenhum, era uma criança normal, o que a gente chama de pré-sintomático. Foi iniciado o tratamento e o que que aconteceu? Não houve nenhuma atrofia cerebral. Então, isso mostra o quê? Que quanto mais cedo nós tratarmos esse paciente, melhor evolução e o prognóstico dessa criança.

Aqui nós temos também esse último estudo, que foi coletado em 2020 - e já há para 2021 -, mostrando o que a gente acabou de falar: na linha azul os pacientes que fizeram o tratamento e na linha vermelha os de história natural. Então, você vê que a evolução é muito diferente quando você tem um tratamento com reposição enzimática.

Aqui é um outro caso mostrando para vocês - não é um caso do Brasil, foi de 2016: duas irmãs, que têm uma associação hoje, uma fundação na Inglaterra, a Fundação Nicole & Jessica. Com a Nicole, o que foi? Ela participou do estudo em 2016, em Hamburgo, com a Dra. Angela Schulz, que mostrou... Ela fez o diagnóstico quando tinha três anos. Essa primeira foto é ela na caminha, já estava com o dispositivo para fazer a infusão. Atualmente, ela já está com nove anos, ela já tem um comprometimento se você for ver, ela já é uma criança que já tem uma face típica de que tem alguma deficiência cognitiva, diferentemente da sua irmã, ao lado, que fez o tratamento e o diagnóstico ainda assintomático, porque, como é uma doença

genética, você tem como prever isso, você pode fazer exames nos irmãos, previamente hígidos, principalmente quando nascem, porque você sabe que ele vai desenvolver a doença. Hoje, essa menina, a Jessica, é uma menina que está com seis anos, ela está brincando ali ao lado, com um brinquedo, numa cama do hospital - provavelmente no dia em que foi fazer a infusão - e você pode ver que ela é uma menina normal, ela já escreve e já lê.

Então, a cerliponase não é só um tratamento paliativo, ela pode também deixar uma criança, quando é tratada precocemente, ter uma vida normal, até onde nós sabemos hoje. Isso é extremamente importante. Não é uma cura, mas você deixa uma criança com qualidade de vida e ela poderá ir para a escola, poderá brincar, poderá ser um cidadão, exercer esse direito de cidadania, além de não desestruturar toda uma família, porque muitas vezes nós sabemos do custo que traz para uma família ter uma criança especial. Então, faz toda a diferença o tratamento. Isso é extremamente relevante.

Frisando isso, parte daquela imposição você faz dentro do septo. Então, como vocês estão vendo esse cateter aqui em cima, você coloca esse cateter, implanta, pelo menos 15 dias antes da primeira infusão. Quem faz isso é um neurocirurgião. Isso não é uma coisa difícil para um neurocirurgião, isso é uma coisa extremamente comum para um neurocirurgião, é um procedimento que não é extremamente complexo, não, porque eles fazem isso diariamente, eles colocam válvulas no cérebro. Então, para eles colocarem o cateter é uma coisa simples, não é nada complexo. Todo serviço que tem um neurocirurgião faz isso com uma certa facilidade. Colocando esse cateter, o paciente nosso saiu do centro cirúrgico e foi para o quarto, não precisou de UTI, não precisou de nada disso.

Essa criança nossa, Isabella, faz a infusão no quarto do hospital. O que precisa? De treinamento, obviamente, para tudo que é novo. Então, você treina... Fala com o neurocirurgião e explica o que você quer, treina uma equipe de enfermagem que fará... Nós precisamos de treinamento da farmácia do hospital, da equipe de enfermagem e dos médicos dessa equipe do hospital. Por quê? Com isso nós teremos todo o tratamento adequado, sem risco de infecção para o paciente. Eu trabalho em um hospital onde eu tenho residentes. Todos os nossos residentes fazem infusão enzimática. Então, não precisa nem ser um neurocirurgião, porque é uma técnica que um médico com pouco treino consegue fazer. Isso facilita muito o tratamento em nível de hospital.

Quando você ouve a primeira vez falando que se fará uma medicação dentro do cérebro de uma criança, meu Deus, como será isso? Então, só explicando que quanto a isso existe uma certa... Tem que existir conhecimento e técnica, mas isso não impede que a criança possa fazê-lo num hospital terciário, certo?

Na terapia de reposição enzimática, o que nós temos de complicações quando se faz a medicação? Pode ter aumento das crises convulsivas, pode ter febre, vômito, hipersensibilidade, e você pode ter infecções de vias aéreas. Graças a Deus, com a Isabella nós tivemos quase nada de complicação. Então, isso facilita muito o trabalho.

Esse aqui é um eslaide que eu peguei da Conitec, onde nós tivemos essa contribuição por análise orçamentária, em que nós observamos aqui a previsão de tratamento nos países no mundo. Então, veja bem, no Brasil, o que nós temos? Quinze pacientes, como o Senador Flávio já havia falado. Nós já sabemos que os dados estatísticos não atingem cinco pacientes-casos, cinco novos pacientes no ano. Nós não temos isso. Isso é de extrema importância porque faz com que o número...

Não há um número grande de pacientes e nem vamos ter um grande número de pacientes, como outras doenças que de cinco viram vinte, viram cem, viram duzentos. Os nossos não. Então, os dados estatísticos até atuais mostram que talvez a incidência seja menor no Brasil, porque isso varia muito de país para país. Então, por que não tratarmos os nossos pacientes, que são quinze, certo?

Segundo a consulta pública que foi realizada, dos pontos positivos que nós temos do tratamento dos nossos pacientes - nós já temos em torno de sete a oito pacientes tratados -, o que a gente observou? Uma diminuição de internação por crise convulsiva, estabilização das doenças, melhora da fala e localização, como o vídeo do Francisquinho mostrou, firmeza muscular, melhora da locomoção, maior facilidade para se alimentar, melhora do humor e ânimo na esperança de um tratamento, certo? Ponto negativo: dificuldade de acesso à medicação. Hoje o ponto negativo que nós temos é esse.

Aqui nós temos o caso clínico da Isabela, o que talvez a Tuca fale também, eu vou falando como médica. Ela chegou para nós e, até os seis, sete anos, essa criança não tinha nada, a Isabela. Então, ela é um fenótipo atípico que nós chamamos, ela não teve nenhum sintoma com dois anos. Ela começou sete anos com crise convulsiva, oito anos com ataxia, nove anos com piora das crises convulsivas, tendo usado todos esses anticonvulsivantes sem melhora. Você só ameniza as crises, mas elas persistem, infelizmente. Aqui, com nove anos, nós solicitamos a medicação e com onze anos chegou a medicação. Então, demoramos dois anos.

Nesses dois anos, a primeira dose que foi infundida na Isabela foi no dia 28 de outubro de 2021. O que nós observamos a partir do momento em que iniciamos? Uma melhora das crises, uma deglutição melhor e melhora na linguagem. A Isabela piorou muito em poucos meses, foi impressionante a piora que ela teve: então, ela deglutia bem, parou de deglutir, passamos uma sonda nasoenteral e, quando iniciamos a infusão, por incrível que pareça, ela conseguiu comer um pão de

queijo, coisa que há muito tempo ela não conseguia mais saborear. Parece uma coisa simples, mas quem tem um filho com necessidades especiais sabe a importância de tudo isso.

Aqui a Isabela, nesse primeiro eslaide, normal com sete anos de idade; aqui ela, na segunda foto, na cama, no dia em que ela pôs o dispositivo. Então, saiu do centro cirúrgico, foi para o quarto, raspou o cabelinho. Aqui do lado, quando vocês vão ver, existe a cicatriz e sem o cabelinho. Aqui embaixo, o cabelo cresceu rapidamente. E o que nós vimos? Que ela leva uma vida muito bem por usar cateter de Ommaya. Então, ela é uma criança que consegue ter uma vida normal, mesmo com o cateter. Então, isso não impede, o cateter não é um obstáculo.

Eu não sei se vou conseguir passar os vídeos aqui, acho que só na tela, se eu conseguisse pôr em alto. Mas aqui é um vídeo em que - eu não sei se a Tuca vai mostrar - está a Isabela com sete anos normal e depois, com onze anos, andando com andador. E infelizmente é isso que a gente vive.

Aqui, esse eslaide de baixo mostra a Isabela, em 2020, com dez anos, fazendo uma *live* na qual ela diz: "Por favor, assistam à *live*, compartilhem comigo, me ajudem, ajudem a conseguir a medicação". E ela fala com uma voz que a gente chama com disartria, mexe um pouco mais lento.

No vídeo ao lado, que é de 2021, em abril, ela tinha dez anos de seis meses, ainda comia bem e ela já fala: "Aqui, com sete anos, eu andava, eu brincava, eu corria, eu ia para a escola, eu já lia e já escrevia".

Aqui nesse último, embaixo, o que nós temos? É onde ela fala com mais dificuldade e é onde ela já tem o uso de uma sonda nasointestinal.

Então, vocês vão ver aqui: em seis meses, a evolução é catastrófica para essa criança. Então, você esperar a judicialização nesses pacientes é quase um crime. Está certo?

O que nós temos de situação real no nosso país? Nós temos quinze casos, de sete a oito, que estão judicializados ou de sete a oito sem tratamento. Então, isso acarreta um atraso muito grande no início do tratamento dos pacientes.

O país já paga por esse tratamento para essas crianças - certo? -, de uma maneira judicializada. Isso já é pago, só que já tiveram uma piora dos seus sintomas neurológicos. Então, vejam a Isabela: com nove anos, ela era uma criança que andava, falava, tinha sua autonomia. Chegou a medicação com onze anos, dois anos depois. O que nós já temos? Uma criança com dificuldade de deglutir, uma criança que não anda mais. A espera dos recursos judiciais é crucial. Então, não adianta nós deixarmos isso nas mãos dos juízes. A Justiça é fantástica, precisamos dela, mas, nesse caso, nós sabemos que ela é morosa. Então, um ano, seis meses, dois meses para uma criança muda completamente o prognóstico, a vida dela depois.

Vejam, não são as mesmas crianças da época do diagnóstico. Então, quando nós solicitamos a medicação, nós temos uma criança; quando chega a medicação, nós temos outra criança. E por isto atrasa: pela judicialização.

Eu vou mostrar para vocês aqui.

Nossos pacientes... Nós já sabemos a história da Isabela, mas temos outros. Como eu sou uma médica que faço neuropediatria, infelizmente já passaram várias crianças com essa doença que já foram a óbito. Eu me lembro, na minha memória, de que pelo menos três a quatro crianças já morreram, e aqui são os que ainda estão vivos. Por exemplo: aqui quem está no cavalo é um outro menininho, que é o Iuri. Aqui ele brincava, ele falava, ele corria. Agora, na foto debaixo, ele já está acamado. Eu já pedi a medicação para essa criança faz mais de dois anos. Antes, tínhamos como tratar, tínhamos um prognóstico. E agora?

Ao lado nós temos uma outra menina, que é a Lana. Ela chegou para nós andando, conversando, falando. Já pedimos a medicação faz mais de um ano. Hoje ela já está com dificuldade de andar e já usa sonda nasointestinal. Quando será que vai chegar a medicação dessa criança? Então, nós precisamos correr.

Nós não queríamos a judicialização. Nós queremos a incorporação da medicação, para que possamos realmente fazer jus a essas crianças.

Qual é o custo da judicialização no Brasil? É extremamente caro. Nós médicos não gostamos da judicialização. As famílias também não gostam da judicialização. E acredito que o Judiciário também não gosta, e o governo também não deve gostar, porque o custo é de duas a três vezes mais caro se essa medicação fosse incorporada.

Veja, nós temos hoje de sete a oito crianças que já são judicializadas. Se não fossem judicializadas, as quinze já poderiam estar sendo tratadas com o mesmo preço dessas que são judicializadas. Então, isso se torna injusto. Nós precisamos fazer com que essa medicação seja incorporada.

Veja, como já disse anteriormente, o Brasil não atinge cinco casos novos ao ano. Então, não temos tantos pacientes assim. Veja, no mundo, nós temos hoje 250 casos com lipofuscinose ceróide.

E aqui nós temos toda essa terapia de imposição, enquanto já é liberado nos países da Europa e da Ásia - na Inglaterra, na Alemanha, na Irlanda, na Itália, na França, na Escócia... Então, em vários países, isso já é utilizado. Aqui nós temos na Argentina e no Brasil. Então, a gente pede isso.

Esta é a revisão bibliográfica, para quem tiver interesse de entrar nos artigos.

Eu gostaria de deixar como recado: vamos incorporar essa medicação para que possamos ser justos com todos os nossos pacientes.

Eu gostaria de agradecer a todos e pedir desculpas por não ter aberto os eslaides e nem ter mostrado os seus vídeos.

Muito obrigada.

Estou aberta para perguntas se assim desejarem, está bem?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu agradeço à Dra. Mara e quero parabenizá-la novamente não só pela apresentação, mas pelo trabalho que a senhora faz com as crianças, os adolescentes, as famílias, que é uma referência nessa área e em um hospital que é uma referência no Brasil também que é o Hospital Pequeno Príncipe, de Curitiba. A senhora é especialista e, portanto, tem uma opinião muito importante nessa área.

Eu quero lembrar a todos que nos acompanham que esta audiência está tendo a cobertura da TV Senado, da Agência Senado, do *Jornal do Senado*, da Rádio Senado, e há a possibilidade de haver a interatividade - relembro - através da Ouvidora, pelo telefone 0800 0612211; do e-Cidadania, pelo Portal www.senado.leg.br/ecidadania.

Antes do início, eu havia dito para termos no máximo 15 minutos. Houve uma dificuldade no início da apresentação, que ultrapassou um pouco os cinco minutos, mas foi muito bom para se ter a ideia global da área, do ponto de vista médico da especialidade.

Parabéns, Dra. Mara! Continue firme aí na caminhada, que é muito importante.

Eu passo a palavra para a Sra. Cremilda de Sena Silva, que é conhecida como Tuca. Ela é de uma cidade bem próxima da de onde eu resido, Campina Grande do Sul, e é a representante dos pacientes da doença de Batten. Então, a gente tem a opinião da especialista, da família, da federação, e do Ministério da Saúde, ao final.

Com a palavra, Tuca. É só apertar lá para liberar o som. (*Pausa.*)

Isso.

A SRA. CREMILDA DE SENA SILVA (Para expor.) - Bom dia a todos.

Desculpem a minha leiguice no sistema aqui porque demorei um pouquinho a entrar.

Eu não sei se fui autorizada a passar um vídeo antes de a gente começar a falar. Foi pedido para a Greicy e não sei se ela vai passar. Ela disse que iria passar antes da minha fala...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu acho que... O vídeo é seu, Cremilda?

A SRA. CREMILDA DE SENA SILVA - O vídeo é de outro pai, é o pai do Francisquinho. Foi pedido, mas não sei se alguém...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Não...

A SRA. CREMILDA DE SENA SILVA - Isso.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Muito bem. O.k.

(*Procede-se à exibição de vídeo.*)

O Sr. Bruno Marinho: "Quero cumprimentar a todos aqui presentes e agradecer por este momento de fala. Eu sou Bruno Marinho, sou pai do Francisco Alexandre Costa Marinho, o Francisquinho, paciente com CLN2, a doença de Batten, que está em análise sobre a incorporação do medicamento Brineura (cerliponase alfa) ao SUS.

Quero deixar aqui a minha indignação completa, como paraense, como nortista e como pai de uma criança com doença de Batten. A avaliação que foi feita pela Conitec, principalmente pela pessoa da D. Inês Magalhães, foi extremamente preconceituosa, inadequada, pois coloca em xeque e contesta toda a luta do meu filho, a minha luta, toda a luta da minha família para conseguir o tratamento, toda a luta da minha família e de todos ao nosso redor, de toda a equipe médica, de toda a equipe técnica para que o Francisco possa ter melhora, de toda a equipe multidisciplinar, de toda a equipe que trata o Francisco e traz todos os benefícios que ele comprovadamente tem e vem adquirindo. Então, é revoltante toda

essa situação que essa senhora colocou. O Norte tem sim profissionais qualificados, tem sim uma família que luta e faz lobismo pelo seu filho, não por empresa. A senhora tem que entender o que é lobismo.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Muito bem.

Antes de você continuar, Tuca, terminou o vídeo?

A SRA. CREMILDA DE SENA SILVA - Terminou.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Terminou.

Eu só quero que a Comissão de Assuntos Sociais, a Secretaria, transcreva. Vamos mandar isso para o Ministro da Saúde, com o voto de indignação e de apoio à fala do pai, da família, porque o que todos nós brasileiros esperamos é que haja, na verdade, sensibilidade, escuta, construção de caminhos, que é o que a gente está tentando, inclusive, nesta audiência. Se houve essa atitude preconceituosa, atitude de diminuir o potencial, a capacidade e a competência dos profissionais do Norte, essa pessoa tem que ser, na verdade, denunciada e tem que pedir desculpas públicas para as famílias e para as pessoas. Então, eu só peço para a CAS transcrever. Vamos aprovar esse requerimento na Comissão, para mostrar a indignação com o tratamento, o que jamais deveria acontecer, particularmente na área da saúde, quando as pessoas já estão tão fragilizadas.

Então, com a palavra, Tuca. Adiante.

Obrigado.

A SRA. CREMILDA DE SENA SILVA - Muito obrigada. Eu não... Eu sei que o senhor iria agir assim, porque o senhor é de um caráter e de uma sensibilidade humana extraordinária, Senador. Sempre o admirei - e a minha admiração é eterna - pela sua atitude.

Bom, dando gancho a essa fala do Bruno, nós, família CLN2, com os nossos filhos, estamos revoltados sim com a decisão, a insignificância a que chegou essa reunião da Conitec, um desleixo à saúde, tirando totalmente da Constituição a vida, o direito à vida, que as crianças têm.

O que essa mulher falou e todos os outros foram atrás é que não há dúvida sobre a eficácia do medicamento, porém eles não podem liberar; deixem judicializar porque eles simplesmente lavam as mãos. Foi isso que foi...

Não sei o senhor conseguiu assistir à reunião da Conitec, mas nós assistimos várias vezes e ficamos indignados como essa reunião foi levada. Ela começou a parte de CLN2 já com a negativa. Ela começou a reunião dizendo: "Olha, eu já estou aqui nervosa, indignada porque isso é uma coisa muito séria que nós temos que avaliar muito bem aí. A gente não pode se prejudicar". Aí ela disse que nós... Eu falo "nós" porque aqui no Sul a gente trabalhou muito também, mas é claro que o Norte tem mais pacientes, tem um trabalho de antes, porque a Isa começou tardio. Nós trabalhamos muito. Nós não fomos a um médico, nós fomos a vários médicos. Ela questionou até a quantidade de médicos que deram parecer favorável - ela questionou. Tirando aí o... Então, para que médico? Ela não confiou na consultoria pública. O tanto de voto... Ela intima a colega do lado, falou: "Olha, Letícia, você me explica aí como que pode ter esse tanto de voto na consultoria pública? Você me dá aí uma satisfação, porque, se há sete crianças usando o medicamento e quinze esperando, como que há 2.303 votos a favor? Isso aí está errado ou então a empresa comprou e fez aí uma compra para ter esses votos aí". Foi isso que ela disse claramente nessa reunião.

Então, nós, como pais, estamos realmente revoltados, porque ela não está lá para avaliar a consultoria pública. Por isso que é consultoria pública. Então, ela não está lá para isso. Ela está lá para a técnica, para a eficácia e custo-benefício. E nem isso ela fez, porque, se ela fosse ver o custo, ela iria ver que, sendo incorporado, nós teríamos um valor muito menor. Nem o custo ela viu. Ela quis jogar...

Ela sentenciou os nossos filhos à morte, porque ela jogou para o Judiciário. Ela falou assim: "Deixa que o Judiciário tome a responsabilidade. Nós não precisamos tomar essa responsabilidade". Foi exatamente isto que ela fez: ela assinou a sentença de morte dos nossos filhos a partir do momento em que ela quis jogar para o Judiciário, sendo que a responsabilidade está na mão deles ali - eles querem o quê? - e sendo que - deixando bem claro - para essa doença nós não temos tempo, nós não temos tempo para que haja judicialização. O Yuri está perdendo a vida. Como o vídeo do Noah que nós passamos aí - nós fizemos uma campanha muito grande com o vídeo do Noah -, o Yuri está perdendo a vida. Simplesmente, ele vai parar todos os órgãos, e essa criança vai embora por negligência, por a pessoa não ter um olhar humano de querer salvar essas vidas. Gente, são crianças, pelo amor de Deus! E nem isso eles levaram em consideração.

A Vânia falou assim: "É, a gente tem que ver mesmo, porque são crianças, e leva à morte". Está tudo isso em reunião. Eles sabem que leva à morte. Eles citaram isso. Eles citaram: "Gente, contra esses vídeos aí, não há o que contestar. O remédio, realmente, é eficaz [é o que eles falaram] e salva vidas". Eles falaram tudo isso na reunião, mas eles negaram.

Eles negaram porque não há alta evidência. Gente, nós não temos quantidade de criança suficiente para que haja alta evidência, pois a doença é ultrarrara!

Então, eu falo que os nossos filhos, Senador, estão hoje nas condições em que estão, de cama... A Isa anda. A gente procura as terapias. A Isa anda hoje com a nossa ajuda. A Isa fala. Eu entendo muito bem o que ela fala, porque, gente, mãe entende o filho só no olhar.

Então, se hoje os nossos filhos estão na situação em que estão... Francisquinho, na condição em que está, uma criança que era perfeita; Guilherme; Alana; Yuri; César; Samuel; Maria Clara, todas essas crianças estão nas condições em que estão hoje por causa da demora do Judiciário. Todos nós buscamos a judicialização, como manda o figurino ali. Nós temos que ir, porque senão nós não temos voz. Nós confiamos na judicialização, que, muitas vezes, é demorada e é injusta. Agora, nós também confiamos no poder público, confiamos no órgão público que está lá para ver todas essas coisas e ser a favor da vida. Eu acho que um órgão da saúde tem que ser a favor da vida. E, infelizmente, a Conitec, com muitos membros... Ali há um efeito manada, não é? Eu falo assim porque, se um nega, todos eles vão atrás de quem negou: "Ah, nisso a gente vai com fulano. Nisso a gente vai com beltrano". E aí? E as vidas ali? E as crianças? Era para vocês terem pensado que essas crianças vão morrer! Isso aí é assassinato, é genocídio, gente, pelo amor de Deus! E eles são a nossa voz ali. Eles são os nossos representantes, em quem a gente deposita a nossa esperança de que nossos filhos vão ser salvos, porque nossos filhos têm direito à vida.

Se a Isa, hoje, não estivesse recebendo esse medicamento, do jeito que foi tão rápido, assim como a Dra. Mara colocou aí... Foi rápido! A Isa, até os 7 anos, dançava na igreja, fazia coreografias. A Isa era modelo infantil. A Isa desfilava em passarelas. Hoje eu vejo a minha filha assim. Minha filha não precisava estar na situação em que ela se encontra hoje. A minha indignação se dá porque alguém poderia ter mudado o curso de vida da minha filha. Hoje em dia, eu tenho que ficar em casa para cuidar da Isa. Eu, que gosto de trabalhar, que gosto de estar com o povo, que gosto de estar representando o povo e gosto de atender o povo, tenho que ficar na minha casa - e é um salário a menos - para cuidar da minha filha.

Isso tudo vai lá no custo-benefício, porque é mais um fora da área de trabalho. Então... E eu tenho outros filhos que eu preciso sustentar, não tenho só a Isa. A Isa hoje tem um gasto maior com que a gente precisa arcar.

Então, onde que eles estão olhando aí o benefício para as pessoas? Nem para eles estão olhando, porque o dinheiro vai sair do mesmo lugar, do mesmo lugar vai sair o dinheiro que está saindo judicializado. Vai sair da incorporação, como eles mesmo lá viram. Olha o que é a indústria. Eu não tenho conflito nenhum de interesse. A questão é que a indústria baixou em 11% os medicamentos, o que daria para fazer o tratamento hoje, com o que estão gastando judicializando para uma criança, de três crianças. Então, nem isso, o custo lá, eles estão vendo! É simplesmente pelo fato de negar, de negar... E eu deixo, assim, bem clara a nossa indignação como pais, todos os pais representando aqui a nossa família de Batten e a nossa família de CLN2, que nós temos voz, sim. Nós temos voz. Nossos filhos têm direito à vida.

Nós temos a Carol, a pacientezinha lá do Rio Grande do Sul. A Carol já está uma criança superdebilitada, uma criança que está com o processo parado lá, e nós correndo atrás, correndo atrás para que se resolva ou que eles despachem, que eles defiram ou indefiram, mas eles deixam lá parado. E nisso os nossos filhos vão se definhando.

Gente, pelo amor de Deus, eu peço, assim, para vocês, não é... A gente precisa estar se humilhando, a gente precisa estar pedindo pelo amor de Deus para alguém salvar os nossos filhos. Quando eu me acorrentei ao palácio do governo aqui, em Curitiba, eu estava numa fase de desespero tão grande de ver a minha filha indo embora... O meu maior medo era que a minha filha parasse de falar "mãe". Eu nunca imaginei... A Isabella era uma tagarela, me chamava o dia inteiro: "Mãe, olha isso. Mãe, veja isso. Mãe!". Então, eu olhava para ela, eu falava: "Meu Deus! Deus, não permita que a minha filha pare de falar 'mãe', porque eu amo ouvir a voz dela". E hoje está do jeito que está. Então alguém é o culpado.

Nós precisamos de resposta, nós precisamos que essa reunião seja revisada, porque ela foi de uma desumanidade completa. Sabe? Então, nós precisamos rever isso. Nós precisamos e nós queremos que isso seja revisto, porque isso, gente, não é certo. Não é certo. Se a gente é pró-vida, então, tem gente lá nadando contra a maré. Eles não estão pró-vida lá nesse lugar. Eles, eu não sei nem o que estão fazendo lá, porque eles estão nadando totalmente aí contra a maré do que é correto. Existe Constituição, não é, Senador? Existe uma Constituição que é a favor da vida. Então, eles que obedeçam isso, porque eles estão fugindo totalmente.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Muito bem. Eu agradeço, Cremilda, o seu depoimento, que é essencial, como família, representando como mãe, como pais. Eu fiquei, da minha parte também, indignado, fazendo coro com você, concordando com você, concordando com o pai do Francisco, lá do Estado do Pará. E nós pedimos para essa pessoa da Conitec, em primeiro lugar, pedir desculpas. Em segundo lugar, nós vamos tomar todas as medidas possíveis para denunciar o caso e dizer que não é desse tipo de comportamento que o Brasil precisa. Precisamos de pessoas justas, humanas, solidárias, técnicas, que valorizem a competência, a ciência, como

a Dra. Mara colocou muito bem no início. Na verdade, essas pessoas atrapalham a construção da cidadania. Então, vamos tomar todas as providências possíveis no contexto do Senado Federal.

Obrigado, viu, Tuca?

Eu passo a palavra agora para a Mônica Aderaldo, que é Presidente da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste (Fedrann). *(Pausa.)*

É só apertar para liberar o som. *(Pausa.)*

Muito bom.

A SRA. MONICA VIEIRA ADERALDO (Para expor.) - Bom dia a todos. Muito obrigada pelo convite.

Cumprimento todos na pessoa do Senador, que está aqui nos ajudando muito nessa luta.

A Dra. Mara e o Senador falaram praticamente tudo, mas eu queria, na minha exposição, falar um pouquinho sobre os pacientes, certo? Nós temos hoje, como a Dra. Mara e o Senador falaram, 15 pacientes, mas nós já fomos 16. Essa luta a gente vem travando desde 2017, quando o primeiro paciente foi diagnosticado no Brasil. E esse paciente foi da Bahia. Então, hoje, o Norte e o Nordeste têm o maior número de pacientes com CLN2. O maior número de pacientes de Batten está no Norte e no Nordeste. Nós temos três... Na realidade, nós temos quatro no Ceará. Nós temos um na Bahia, um no Maranhão, um no Pará... E o da Bahia também. Então, a gente tem o maior número. Eu queria dizer que, desses pacientes, esses quinze... Éramos dezesseis; um já foi a óbito. Da nossa luta até hoje, um já foi a óbito, e dois - porque hoje a gente fala hoje de quinze - já estão fora de tratamento.

Analisando o que a Dra. Mara falou, existe uma escala para tratar. Então, existe um período. E, se a gente avançar, se essa medicação não estiver disponível em tempo hábil, essa criança vai sair fora de tratamento, e a medicação não vai ter nenhuma repercussão na vida dessa família. E, por conta disso, a melhor coisa... Hoje a gente sabe que 80% das patologias raras são de ordem genética; e, desses 80% de ordem genética, de 3% a 5% têm tratamento. Então, isso não justifica um impacto financeiro, como se fala, em cima do orçamento do Governo.

E, como já foi dito, dessas oito crianças - na verdade nós temos nove crianças com liminares ativas -, pasme Senador, uma delas, com liminar há mais de um ano e meio, vai completar dois anos, ela não recebeu ainda o tratamento, mesmo com liminar. Então, a judicialização, como já foi dito, não é boa para ninguém. Se fosse, realmente, se tivesse sido, naquela reunião do dia nove, que está disponível no YouTube - qualquer pessoa, qualquer cidadão pode assistir -, se fosse recomendada a incorporação, porque o Conitec faz uma recomendação, se tivesse sido recomendado, as quinze crianças, mesmo aquelas que já estão fora, que não vão ter o direito de ter a medicação por conta do estado de saúde delas, estariam pagas, porque, com o dinheiro que se está gastando, que o Governo brasileiro está gastando com a judicialização, daria para dar o tratamento gratuito para todas as crianças brasileiras.

Quer dizer, eu não entendi a não recomendação, uma vez que a primeira fala era de que o tratamento é eficiente e eficaz. Como o Sr. Senador falou, mais que mil palavras, são as ações. A gente viu vídeos que estão disponíveis no YouTube, apresentados pela médica geneticista de Porto Alegre, do Hospital das Clínicas, Dra. Carolina, em que ela mostra uma criança que veio a óbito com sete anos de idade e ela mostra uma criança que foi tratada depois de seis meses de diagnóstico. Essa criança que foi tratada depois de seis meses de diagnóstico, a criança corre, a criança fala, a criança tem uma vida normal. A gente está tirando o direito de um cidadão brasileiro de ter uma vida normal, ter uma qualidade de vida. Não se fala em cura porque doença genética infelizmente não tem cura, mas tem tratamento. E a CLN2 - Batten - está nessa porcentagem de três a cinco doenças genéticas que têm tratamento.

Revoltou-nos muito a fala dessa senhora - Dra. Inês Gadelha, não é? - porque ela questionou os profissionais não só do Norte, mas do Norte e Nordeste. Então, houve um preconceito, infelizmente, muito grande em relação a nós. Inclusive, eu aqui representando o Norte e Nordeste, eu queria deixar claro que o Norte e Nordeste têm uma força muito grande, porque a gente começou a trabalhar muito antes, desde 2017, e que a maioria dos pacientes estão, realmente, no Norte e Nordeste. Poucos são... Além do Norte e Nordeste, só vem o Sul, com cinco pacientes: dois de Porto Alegre, do Rio Grande do Sul, e três do Paraná, certo? Por isso, a mobilização tão grande das famílias.

Olhe, qualquer pessoa faria uma mobilização dessa quando fosse ver o seu filho aos poucos morrendo. Eu acredito que a própria pessoa que falou teria feito a mesma coisa. Teria juntado não só os familiares, como juntado todas as pessoas que fossem do conhecimento dela e que não fossem para salvar a vida do seu filho, porque uma coisa é você falar da vida do filho do outro, mas, e se fosse seu filho, como é que você iria agir? E se fosse seu neto? Então fica aí a pergunta.

Uma das coisas que foi relatada nessa audiência é que não poderia abrir precedentes. Como não pode abrir precedentes? A fala da Dra. Mara foi muito clara, na hora em que incorporar não vai mais aparecer pacientes. Muito pelo contrário. Os 15, os 16 que existiam já são 15, e dos 15, só 13 têm possibilidade de fazer uso da medicação. Então, não vai abrir precedente.

Foi falado também da baixa evidência. A Dra. Mara falou e foi muito providencial a fala dela, quando diz que existe baixa evidência porque a gente precisa também ser tratado de forma diferenciada. Não se pode eticamente colocar placebo numa criança, na cabeça, no cérebro de uma criança sadia. Isso não pode haver. Então, vai ser a partir do estudo natural da doença. Por isso, a baixa evidência.

Creio que a gente também deve ver, já que o Ministério da Saúde está presente, como se pode rever isso através de uma forma de isonomia. E como a gente poderia chegar... Como a própria lei do SUS fala, é tratar igual os iguais e desigualmente os desiguais. E, nessa hora, as doenças raras são desiguais.

A gente queria também deixar, como na fala da Tuca, que essa doença tira também... Ela compromete não só a família como um todo de formas pessoais, mas também compromete a saúde financeira da família. A Tuca saiu do mercado de trabalho. Há famílias em que saem o pai e a mãe. Há famílias em que o único provedor precisa ficar em casa, o único, como a família de uma das nossas crianças em que só tem o único provedor que é a mãe, que teve de morar de favor na casa de um parente porque precisava cuidar do filho. Então, são essas coisas que também devem ser avaliadas.

E o custo-efetividade, naquela reunião do dia 9, não foi visto, porque se era eficaz, se era efetivo, se chegou à conclusão de que poucas medicações têm aquele poder de reverter o quadro, de parar o adiantado da doença de Batten, parar, ali ela vai estagnar. E mesmo como o pai do Francisco disse, ela vai recuperar algumas coisas que já foram perdidas, vai fazer com que a criança renasça novamente, vá aprender de novo a falar, aprender de novo a andar.

Então, a gente solicita, pede ao Senador que faça uma recomendação. Nós estamos pedindo já, nas recomendações, que seja revisto, já que a própria Conitec, na parte científica, disse que a olhos vistos o medicamento é eficaz e eficiente. E, sendo eficaz e eficiente, o custo sendo menor, por que não recomendar? Então, olhando por esse lado, a gente não sabe por que aquela audiência foi daquela forma, tendo apenas uma pessoa - e defendeu muito bem - e tendo votado favoravelmente.

Eu acho que era isso que a gente queria colocar. Pedimos ajuda ao Senador, que faça um ofício ao Ministério da Saúde, como também ao Ministério Público, que, infelizmente, não está presente, para que seja revista essa não recomendação ou, caso ela não possa ser revista, que o Ministro, com a força que ele tem, assine, incorpore, mas incorpore agora, porque essas crianças não têm mais tempo para esperar.

Muito obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu é que agradeço, Monica Aderaldo, que é Presidente da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste. Parabéns pelo pioneirismo na luta por esta área em toda a região e parabéns pelo trabalho que vem sendo desenvolvido.

Antes de passar a palavra à Dra. Priscila Gebrim Louly, que é representante do Ministério da Saúde, eu só vou pedir para a Secretaria da Comissão passar um vídeo da Senadora Mara Gabrielli, que não pôde estar também participando da audiência, mas mandou um vídeo. Ela, além de membro da Comissão, é também Presidente da Subcomissão da CAS de Doenças Raras.

Então, vamos só ver o vídeo da Senadora Mara Gabrielli.

A SRA. MARA GABRILLI (Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PSDB - SP. *Por vídeo.*) - Bom dia a todos.

Primeiro eu quero cumprimentar o Senador Flávio Arns, que tem sido um grande parceiro de trabalho na CAS em defesa dos direitos dos mais vulneráveis. Ele, como Presidente da Subcomissão das Pessoas com Deficiência e eu, como Presidente da Subcomissão de acompanhamento das políticas públicas para as pessoas com doenças raras, trabalhamos juntos com o mesmo objetivo.

Obrigada, Senador Flávio, por conduzir os trabalhos no dia de hoje.

Gostaria de cumprimentar todas as pessoas com a doença de Batten e suas famílias na pessoa da Sra. Cremilda de Sena Silva. Eu queria também agradecer a presença de todos os convidados desta audiência pública.

A doença de Batten é uma doença neurodegenerativa muito grave, que assola as famílias das crianças com esse diagnóstico. Por isso, junto com o Senador Flávio Arns, oficiamos o Ministério da Saúde para que eles valorizem a importância das contribuições vindas da consulta pública. Nós sabemos quão relevantes são essas contribuições para oferecer esperança às famílias.

E com relação à incorporação do medicamento alfaceriliponase, o Brineura, infelizmente a recomendação da Conitec foi de não incorporá-lo ao SUS, mas, de qualquer forma, nós continuaremos na luta pela defesa dos direitos das pessoas

com doenças raras e, em especial, neste momento, das crianças com a doença de Batten, para que o acesso ao melhor tratamento, ao diagnóstico precoce e ao medicamento aconteça e essas pessoas possam ter dignidade. Queremos ver essas pessoas crescendo, se desenvolvendo e contribuindo para o nosso país.

Um abraço a todos e contem sempre comigo.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Muito bem.

Eu sempre agradeço à Senadora Mara Gabrilli, que é uma batalhadora por cidadania, direitos humanos, solidariedade... Ela, inclusive, é Presidente dessa Subcomissão.

Obrigado, Senadora Mara Gabrilli.

Até o que foi discutido, inclusive, que vai nos levar a um grande debate na Comissão e no Senado, não foi só a negativa, mas a forma como a negativa foi colocada, numa total falta de respeito, de solidariedade com as pessoas, com as famílias, o que jamais pode acontecer, principalmente vindo de uma pessoa que faz parte de um órgão tão importante como a Conitec. Um pedido de desculpas e a revisão do processo se tornam imprescindíveis.

Eu passo, em seguida, a palavra à Dra. Priscila Gebrim Louly, que é representante do Ministério da Saúde e vai discorrer sobre o estado mais atual da análise da Conitec em relação ao medicamento Brineura. A Dra. Priscila é Coordenadora-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde.

Então, eu quero dar as boas-vindas à Dra. Priscila e agradecer a participação.

Com a palavra, então, Dra. Priscila.

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY (Para expor.) - Bom dia a todos.

Muito obrigada, Senador Flávio. Eu gostaria de agradecer a oportunidade de vir falar aqui neste momento. Acho que esse assunto é extremamente importante, esse e todos os outros assuntos e temas relacionados a doenças raras e ultrarraras. Agradeço aos demais participantes aqui e os cumprimento também: a Dra. Mara, a Dra. Monica, a D. Cremilda e todos os outros pais que estão assistindo também a esta audiência.

Eu vou tentar aqui passar, vou compartilhar aqui, eu fiz uma breve apresentação, para poder... Vocês estão... Eu vou colocar aqui no modo "apresentação". Vocês conseguem ver? (*Pausa.*)

Está no modo "apresentação"?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está aparecendo bem, aqui.

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - Está aparecendo?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Está.

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - Bem, então, eu sou coordenadora da área de avaliação de tecnologias em saúde aqui do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde do Ministério da Saúde. Esse departamento é que faz a parte de secretaria executiva da Conitec.

Então, vou falar rapidamente sobre o processo de incorporação, sobre como é o processo de incorporação de tecnologias na Conitec.

A Conitec é a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, que foi criada pela Lei 12.401, de 2011. É um órgão colegiado, de caráter permanente, e essa comissão tem o objetivo de assessorar o Ministério da Saúde nas contribuições relativas à incorporação ou exclusão de tecnologias no SUS, bem como a constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas. Então, ela faz parte do Ministério da Saúde e é composta por um Plenário e uma secretaria executiva.

O Plenário é quem, de fato, faz a recomendação por incorporações. Então, ele vai fazer a recomendação favorável ou desfavorável, se for o caso, e quem vai tomar a decisão final é o Secretário da Sctie, a Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação do Ministério da Saúde. Então, os 13 membros que compõem o Plenário são os representantes das sete secretarias do Ministério da Saúde, Conselho Federal de Medicina, Conselho Nacional de Saúde, Conass, Conasems, ANS e Anvisa.

A Secretaria Executiva, que é o departamento de gestão, incorporação e tecnologias do qual eu faço parte, é responsável por receber as demandas, fazer as análises processuais, a análise dos estudos técnicos e apresentar esses estudos ao Plenário, que é quem vai tomar a decisão.

As regras para a incorporação estão descritas na Lei 12.401, que diz que o processo todo tem um prazo de 180 dias, podendo ser prorrogado por mais 90, e essa avaliação toda da incorporação, desde que recebemos o pedido, deve ser

baseada em evidências científicas de eficácia, segurança, efetividade e também de estudos de avaliação econômica, como estudos de custo/efetividade e impacto orçamentário.

Durante esse processo, é feita uma consulta pública - todas as matérias passam por consulta pública - e todas as contribuições são levadas novamente ao Plenário para que eles decidam e verifiquem se alguma contribuição poderia ou não alterar a recomendação preliminar.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Dra. Priscila, desculpe também interromper - eu interrompi antes a Dra. Mara -, você não está passando telas ou está passando?

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - Estou passando.

Aqui, o que acontece? É aquele mesmo problema que aconteceu...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - É que só apareceu a primeira, e a sua fala também é muito importante. Então...

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - Aqui é só para mostrar a estrutura... Está vendo agora?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Não, não estamos vendo. Apareceu só a primeira tela.

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - Bom, eu vou passar por aqui mesmo, como a Dra. Mara fez.

Está dando para ver?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Agora, sim. Agora está aparecendo o Plenário, a Secretaria... Sim. Desculpe...

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - Não, obrigada.

Aqui está a estrutura da Conitec. Há o Plenário e a Secretaria Executiva.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Certo.

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY - E as regras. Aqui, todo o horizonte para a incorporação. Então, a partir do momento da solicitação da incorporação, há a avaliação da demanda, que passa por consulta pública, e aí é publicado no *Diário Oficial*. Após isso, há um prazo de 180 dias para que a tecnologia esteja disponibilizada no SUS e também sejam elaborados protocolos e guias de prática clínica. Isso tudo está disposto na legislação.

A parte técnica é realizada e é exposta num relatório, que é o relatório de avaliação de tecnologias, que contém todos os aspectos relativos à condição de saúde, à evidência científica, aos estudos, à avaliação econômica, ao impacto orçamentário e a toda a parte é descrita também em relação às experiências internacionais com a tecnologia, a consulta pública e as deliberações que foram tomadas pela comissão.

O processo de tomada de decisão baseado em evidências leva em consideração aspectos clínicos, econômicos, organizacionais e em relação também às preferências do paciente. Então, os impactos sociais, éticos, a aceitabilidade, relações psicológicas, enfim, todas essas questões estão envolvidas nesse processo e são consideradas no momento de elaboração do relatório, de elaboração da análise técnica da demanda, da avaliação da tecnologia.

Uma coisa que eu acho que é extremamente importante, foi até citada várias vezes, é que a Conitec teve um avanço muito grande no último ano principalmente, que foi a disponibilização de todas as reuniões e de todo o material. Ele está disponível no *site*, é de extrema transparência. Então, tudo é colocado à disposição do público. Inclusive, a Conitec tem avançado em relação à participação social, principalmente nessa questão de ouvir os pacientes. A gente abre chamada para todos os temas de tecnologia para que haja um paciente que participe. Então, a gente conseguiu também avançar nisto, o que é extremamente importante: ouvir os pacientes e os cuidadores.

Em relação à demanda específica da alfacerliponase, nós recebemos a demanda em 2021. Quem submeteu a demanda foi a própria empresa fabricante do medicamento, a BioMarin, para a indicação da lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2. Nós temos também disponível um relatório específico para a sociedade, que tem uma linguagem adaptada, para que a sociedade possa entender melhor o assunto, porque acaba sendo muito técnico.

Bem, eu vou passar um pouco essa parte da doença. Já foi bastante falado aqui sobre as características da doença. Enfim, é uma doença extremamente rara, de gravidade altíssima e mortalidade precoce. O medicamento alfacerliponase é o único tratamento específico para essa doença. Até então, o tratamento é feito com cuidados paliativos e para tratar os sintomas, enfim, que o paciente vai apresentando ao longo da evolução da doença. É uma doença neurodegenerativa e esse é, até o momento, o primeiro e o único tratamento específico para agir no curso da doença.

Em relação à evidência científica, também já foi apresentado aqui, mas volto a falar que o estudo teve, sim, consideração, foi, sim, considerado de qualidade metodológica baixa, mas isso são padrões metodológicos que são utilizados para avaliar os estudos. Todos os estudos de todas as tecnologias são avaliados com padrões metodológicos já preestabelecidos. Sim, foram poucos pacientes, obviamente, 23 pacientes, e o tempo de acompanhamento desses pacientes nesses estudos foi pequeno. No entanto, reconhece-se que, em se tratando de doenças muito raras como essa e que têm limitações que são próprias da condução dos estudos clínicos, isso pode, sim, ser considerado.

Então, os resultados mostraram que o medicamento diminui a taxa de progressão da doença significativamente e tem um perfil de segurança aceitável. Algumas incertezas ainda foram levantadas em relação à evidência científica disponível, em relação a, de fato, quanto ele poderia se manter em relação às crises epiléticas e à função visual, apesar de haver relatos de que, sim, os pacientes melhoraram em relação a isso, mas, nos estudos, havia incertezas em relação a esses pontos, que é uma coisa que se tem que monitorar, é recomendado que seja feito um monitoramento. E manifestações também da doença fora do sistema nervoso central, visto que, com o tratamento e tendo uma sobrevida maior dos pacientes, a gente não sabe o quanto poderia vir a acometer os órgãos não neuronais do paciente e em relação ao ganho de sobrevida. Então, essas foram algumas incertezas que os estudos ainda não conseguem explicar e isso, de fato, é com o tempo, tendo em vista que o tratamento é um tratamento novo e que o tempo de acompanhamento dos estudos ainda foi curto. Para avaliação econômica, a estimativa que a empresa apresentou na demanda foi de que, aproximadamente, de 7 a 11 pacientes seriam elegíveis no primeiro ano e em torno de 28 em cinco anos. O preço proposto para a incorporação foi de 90 mil o *kit* de aplicação e o impacto orçamentário, em um ano, é de aproximadamente R\$16,5 milhões, podendo chegar de R\$174 milhões a R\$217 milhões em cinco anos.

Algumas considerações foram levadas, apresentadas como evidência clínica, o que, de fato, mostra a eficácia do tratamento em retardar a progressão da doença - isso seria importante para a manutenção da qualidade de vida desses pacientes e também das famílias. No entanto, há uma incerteza muito grande em relação aos resultados econômicos devido às imprecisões e às incertezas da própria evidência, pressupostos de estabilização da doença e estimativa do número de pacientes elegíveis ao tratamento no país. Essas são incertezas, e aí a gente está falando de questões mais metodológicas acerca de como é feito todo o estudo e a análise econômica.

Além disso, foi apontada de fato uma necessidade de ação em relação a todo o cuidado do paciente e uma necessidade de diagnóstico em tempo hábil, o mais precocemente possível, para que o paciente tenha algum benefício, tenha uma otimização do benefício do tratamento caso ele fosse incorporar.

A recomendação preliminar da Conitec foi desfavorável à incorporação. Em novembro, foi colocado em consulta pública, a Consulta Pública nº 89. Nós recebemos 2.303 contribuições, sendo que 99% delas foram favoráveis à incorporação. Houve, nesse momento de consulta pública, uma nova proposta de preço oferecida pela empresa. Eles reduziram o preço para 71 mil o *kit* por aplicação, o que daria em torno de R\$1,8 milhão por paciente por ano. E, aí, a gente teria aquela estimativa: de 11 a 15 pacientes, o que já foi falado aqui também, a estimativa de pacientes que poderiam utilizar o medicamento no primeiro ano.

No entanto, a recomendação final do plenário foi a de manter a não incorporação. O plenário reconheceu a eficácia do medicamento, apesar das limitações dos estudos, por ser uma doença extremamente grave e também o único tratamento disponível e por todas as limitações que são inerentes aos estudos clínicos realizados em doenças raras.

O impacto orçamentário foi considerado alto ainda sim. Mesmo com a redução de preço oferecida pela empresa é um impacto expressivo.

Finalizo aqui a minha apresentação, mas eu gostaria de fazer um comentário final em relação a isso.

A gente tem um... Eu me solidarizo profundamente com todas... E, aí, é pessoal, não estou nem falando em nome da Conitec, aqui é pessoal até. E eu tenho certeza de que todos aqui, principalmente do departamento, têm a mesma visão, o compromisso, o comprometimento em relação aos pacientes de todas essas doenças raras, e essa, em especial, porque nós estudamos bastante a tecnologia, nós estudamos bastante o curso da doença.

O que eu posso dizer de tudo que já foi falado aqui, do que foi levantado em relação à indignação da D. Cremilda e de todos os outros envolvidos é que a gente entende isso perfeitamente. No entanto, a gente gostaria de poder fazer algo em relação a análises diferenciadas para as doenças raras. Eu acho que isso é preciso. Nós já estamos aqui, no âmbito do departamento, fazendo ações para isso, tanto para estudar melhor uma forma de como tratar as evidências desse tipo de doença, porque, em relação às doenças raras, a evidência científica disponível e a metodologia preestabelecida para as outras talvez não se apliquem para doenças raras, e que deveria ser feita de uma maneira diferente.

Quanto à questão de o impacto orçamentário ser alto, de fato, é um problema que, para todas as outras análises de tecnologias para doenças raras, a gente sofre as mesmas questões. Então, há um impacto muito alto e a gente não tem uma reserva orçamentária para isso, o Ministério. O Ministério da Saúde não tem uma reserva orçamentária tanto para doenças raras, quanto para novas incorporações.

Então, já que nós estamos aqui no Senado, no Congresso, acho que é importantíssimo também que houvesse alguma ação ali em relação a isso, que pudesse apoiar, que houvesse alguma reserva orçamentária específica para doenças raras ou para novas incorporações, porque isso não está no Orçamento.

Então, assim, há uma preocupação muito grande do quanto as incorporações poderiam impactar nos orçamentos seguintes, tendo em vista que não foram despesas previstas. Então, acho que seria uma questão importante a ser tratada e, talvez, com apoio e alguma ação vinda daí, do Senado, da Comissão, nesse cenário, acho que poderia também auxiliar em relação a isso.

Em nome do departamento, nós estamos sempre dispostos a conversar e a tentar achar alguma alternativa e possibilidade de conversa, principalmente, estamos também avaliando propostas e possibilidades de fazer acordos de compartilhamento de risco com as empresas, para poder tentar disponibilizar essas tecnologias que têm um impacto orçamentário bastante expressivo, mas isso tudo é um projeto. Então, nós estamos começando com essas tratativas, com esses estudos, e a gente espera que a gente consiga avançar com isso o mais rápido possível.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu agradeço à Dra. Priscila Gebrim Louly, que, como a gente já falou, é a Coordenadora-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde, do Ministério da Saúde.

Eu só gostaria de fazer três observações e, depois, passo a palavra para as outras expositoras para os três minutos finais.

Só quero, em primeiro lugar, dizer novamente da minha solidariedade à família do Francisco, do Estado do Pará, à Cremilda, à Tuca e às demais famílias cujos filhos foram, na verdade, atingidos pela falta de escrúpulos da Sra. Gadelha na manifestação em relação à não colocação do medicamento à disposição. Mais do que não colocar à disposição é você desconsiderar o ser humano. E, pela descrição das famílias, foi isso que aconteceu com essa Sra. Gadelha, da Conitec.

A senhora fala, Dra. Priscila, que a Conitec avançou, só que em termos de consulta, de contato com o público - espero que, de fato, tenha acontecido isso -, mas a atitude, o comportamento dessa pessoa, desse membro da Conitec aponta exatamente o contrário. Então, eu peço para a senhora, como Coordenadora-Geral dessa coordenadoria, que transmita isso para essa pessoa.

Nós vamos agora ver o vídeo e tomar todas as providências cabíveis para denunciar o caso.

Em segundo lugar, a gente tem que deixar muito claro para todos que nos acompanham que nós temos tratamento, tratamento que é seguro, tratamento que é eficaz e, terceiro, tratamento autorizado - autorizado pela Anvisa, que, aliás, vem tendo um trabalho extraordinário na questão da autorização das vacinas na pandemia. Então, nós temos isso.

Agora, qual é o caminho para as pessoas? Judicializar. Aí o *kit* de 71 mil, com certeza, vai para 200 mil, 300 mil. E, ao invés de termos um atendimento de 2 milhões por ano, pela falta de iniciativa da Conitec, de sensibilidade da Sra. Gadelha, esse tratamento vai para 5 milhões, 10 milhões. E graças a Deus existe a Justiça, porque, se tivéssemos um filho com a doença de Batten, nós estaríamos fazendo exatamente a mesma coisa e temos que fazer, dizer: "Olha, eles têm o direito. Eles têm que fazer. Chega de malversação de recursos em todas as áreas e vamos cuidar da saúde".

Então, nesse sentido, particularmente, da Sra. Gadelha - é esse o nome, eu acho, não sei nem qual é o sobrenome - dizendo que não existem evidências, menosprezando a competência técnica, eu acho que a senhora, como Coordenadora da Secretaria-Executiva, inclusive, como foi dito, da Conitec, tem que dizer: "Olha, o Brasil está cansado disso, chega dessas coisas".

Então, eu só quero saber depois, na sequência, o que pode ser feito, porque foi uma consulta preliminar. Vamos levar essas denúncias para o Plenário, vamos levar para a Comissão, vamos fazer chegar no ministro e vamos chegar na sociedade toda. Não se pode... Está na hora de o Brasil ter competência melhor do que essa que se apresenta aí, não é?

Eu passo a palavra à Dra. Mara, em primeiro lugar. Depois - rapidamente, por três minutos, me desculpem - à Mara, à Cremilda, à Mônica, e volto para a Dra. Priscila.

A SRA. MARA LUCIA SCHMITZ FERREIRA SANTOS (Para expor.) - Bem rápido. Obrigada, Senador Flávio Arns. Obrigada a todos aí pela palavra. Eu vou falar rapidamente.

Principalmente, Priscila, quando a Conitec fala do impacto orçamentário, esse impacto já existe pela judicialização, porque o dinheiro é o mesmo. Não sei... No final, vem tudo de uma mesma, do mesmo governo, de uma mesma gestão. Então, por

que não incorporar? Então, se o impacto orçamentário... O Brasil já está gastando isso. Esse impacto já existe. Só que ele existe tardiamente e inadequadamente. Então, será que, se incorporar, vai se gastar menos e tratar melhor os pacientes?

Então, é só essa pergunta que eu deixo, sabe? Eu não vou polemizar mais. Eu acho que o resto já foi dito. Então, isso eu acho de extrema relevância. Nós, como médicos, fazemos diagnóstico. Sabemos da via-sacra das famílias. Então, dá uma dor no coração cada vez que a gente fala um diagnóstico desse para as nossas famílias.

Então, deixo isso: como impacto, por que não incorporar se esse impacto já existe?

Muito obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Sra. Tuca, com a palavra, Cremilda de Sena. *(Pausa.)*

É só abrir o som.

Isso, abriu.

A SRA. CREMILDA DE SENA SILVA (Para expor.) - Oi, Priscila. Eu também ia falar exatamente o que a Dra. Mara acabou de falar. Nós já temos esse impacto. E a vida dos nossos filhos não tem preço, tem valor. Nossos filhos são insubstituíveis e são únicos. Nós damos as nossas vidas pelos nossos filhos.

E nós cremos que - aí vocês também têm filhos, eu acredito - temos que olhar o lado também técnico, sim, olhando todos os lados. Mas, se é para uma vida, se o remédio é eficaz, tem comprovação, que, por favor, vocês olhem para as vidas.

Nós aqui desse lado...

Eu sei a dor de perder um filho, porque eu já perdi uma filha de 22 anos, que estava gestante de seis meses. Eu perdi. Eu não quero perder outra filha por negligência, por serem as pessoas cegas e fazerem vistas grossas: "Entrega aí para a judicialização. Deixa que eles se virem e nós lavamos as mãos."

São vidas, são crianças e nós estamos aqui, nós existimos. Nós precisamos de solução com tempo recorde também, porque eles não têm tempo. Essa doença não espera. Você mesmo leu, você mesmo viu: ela não espera, ela é agressiva, é progressiva.

Então, nós queremos que vocês olhem para a gente: nós estamos aqui, nós precisamos de socorro. E quem pode fazer isso são vocês - são vocês. Se vocês não fizerem isso, nossos filhos vão morrer. É simples assim! E nos impacta muito. Então, nós pedimos socorro para vocês. Ajudem-nos!

Só isso.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Passo a palavra para a Monica agora, que é da Fedrann. É bom sempre lembrar os nomes, porque fazem um trabalho muito bom. Existe a Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste, um trabalho maravilhoso.

Sra. Monica Vieira Aderaldo.

A SRA. MONICA VIEIRA ADERALDO (Para expor.) - Dra. Priscila, na fala da senhora, a gente tem até uma esperança, porque a senhora fala de compartilhamento de risco, pelo menos é uma saída, só que a gente tem que ter... O precedente, como foi colocado, já existe, porque a gente já viu serem incorporadas doenças, patologias com tratamentos muito mais caros, não sendo ultrarraros. Nós somos ultrarraros. Nós somos tão poucos. Como a Dra. Mara colocou, não há esse impacto. O impacto já existe e muito caro, muito caro

A incorporação viria para resolver o problema. Ou, então, por que não se faz uma proposta de compartilhamento de risco, o que já foi feito lá atrás com a medicação de AME?

Se a gente vai colocar, existem medicações já incorporadas de um valor muito maior do que o que a gente está solicitando agora.

Fora isso, uma coisa que veio à mente agora é que essa medicação não vai aumentar a dosagem, porque não é por peso. Então, aumentou a peso da criança, aumentou a dosagem da medicação, aumentou o preço durante o tratamento. É uma dosagem única. Tanto faz ela ser criança ou quando ela chegar... A gente não fala em adultos, porque ainda não chegaram a essa fase. As crianças estão morrendo na primeira década de vida. Para algumas que estão passando, a quantidade de tratamento é a mesma. Então, não há expectativa de aumento. É o mesmo valor.

Então, é uma coisa que eu acho que vocês poderiam olhar.

Quando a gente compara com MPS, o paciente, à medida que vai aumentando o peso, vai aumentando a dose, vai aumentando o preço.

Neste caso, não

Nós temos, frisando bem, apenas 15 crianças. Se tivesse sido incorporado, todas elas estariam sendo agraciadas com esse tratamento.

E também a pior coisa do mundo é você ter uma doença rara, genética, e, como a Dra. Mara falou, o médico chega, infelizmente, para dar o diagnóstico e fala: "Vou dar o diagnóstico, mas a coisa boa que eu tenho para dizer é que existe tratamento". Ao mesmo tempo, ele diz: "Existe, mas o Governo não dá, e é tão caro que, infelizmente, o senhor não vai conseguir obtê-lo".

A gente sabendo que há diagnóstico precoce - e já pode haver, porque essas 15 famílias já podem ser estudadas - dessas 15 famílias, a gente já pode fazer esse diagnóstico, e eles já podem ter o tratamento assim que for fechado o diagnóstico. Então, ficam as minhas considerações e também uma fala da previsão orçamentária. A gente solicita também, já que a gente está aqui, na Casa do Povo, no Senado, que seja recomendada essa verba orçamentária, esse valor orçamentário para as doenças raras e para as doenças genéticas raras.

Muito obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu agradeço também, Monica. Prazer. Gostamos muito de ouvir você. Quero corroborar, dizer que também tive essa impressão com a fala da Dra. Priscila no sentido de que há caminhos a serem construídos, juntando-se as sugestões, as observações. O que a gente espera, Dra. Priscila, é que esta Subcomissão do Senado possa colaborar com as famílias, com os pacientes e com a coordenação geral para que o caminho seja construído, que não haja essa caminhada penosa de judicialização, que demora um tempo e depois desse tempo aquela janela de oportunidades, inclusive, já tendo passado para as crianças, pelo menos em boa parte dos casos.

Então, com a palavra, Dra. Priscila.

A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY (Para expor.) - Não estava habilitada aqui pra eu abrir o microfone.

Eu concordo - e entendo - com tudo o que foi dito aqui pela Dra. Mara, pela D. Cremilda, pela Dra. Monica. Todos esses aspectos são, sim, levados tecnicamente ao plenário da Conitec. Então, toda essa avaliação, tanto de questão de ajuste de doses, se for necessário, o quanto há de estimativa, de previsão de que possa aumentar ou não o valor do produto e outros valores relacionados também, não só ao medicamento em si, mas também a toda a aplicação e tudo que envolve aplicar, administrar os medicamentos. Isso não é só com esse, mas, sim, com todas as tecnologias. Isso tecnicamente é apresentado ao plenário. Todas essas informações são apresentadas a eles e a decisão, a deliberação cabe a eles. A gente envia, apresenta todas as informações necessárias, inclusive essas informações relacionadas à judicialização também são apresentadas ao plenário, tanto que vocês puderam até ver que isso foi até debatido nessa reunião específica. Agora, a posição, se isso é considerado ou não no momento da decisão, isso cabe a cada um do plenário.

E aí é o que a gente entende tecnicamente: a judicialização não é um caminho fácil, muito pelo contrário, e não deveria ser dessa forma. Não é um caminho que é estimulado, que deveria ser, de forma alguma, e por isso também a gente não entende que ele deve ser um critério de incorporação. Por quê? Pelo fato de que não é a melhor via. A judicialização não é a melhor via de incorporação de um produto, e, sim, as vias normais, os ritos normais pra que possa se disponibilizar toda a tecnologia e todo o suporte para os pacientes de uma forma mais célere, o mais adequada possível. Então, de fato, a gente leva essas informações e inclusive a Dra. Mara até falou e explicou aqui, mas cada um dos membros do plenário decide da forma como acha que deveria considerar essas informações. Nem todos consideram essa informação como uma informação crucial.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Eu agradeço à Dra. Priscila. Quero dizer para a Dra. Monica, para a Dra. Mara, Dra. Priscila e para todos e todas que nos acompanham, que esse assunto vai continuar sendo objeto de debate.

Eu pediria um favor à senhora, Dra. Priscila. Eu imagino que - posso até dizer - praticamente 100% dos médicos nunca viram uma criança com a doença de Batten. Não é verdade? Por ser uma doença, como foi dito até pela Monica, extremamente rara - não é só rara, mas extremamente rara. Muitos, inclusive, ficam imaginando o que poderia ser feito em termos de diagnóstico, de tratamento que existe medicação, que é segura, eficaz. Eu, inclusive, depois de ver o vídeo do Francisco, tinha sugerido, na audiência, na reunião de que eu participei com a Fedrann, de mandar o vídeo pra todos os cursos de Medicina, para todos os secretários de saúde estaduais, municipais, como um processo, inclusive neste mês de doenças raras, em que se lembra esta área, para que as pessoas tomem conhecimento, saibam o que é, que há medicamento, para que haja, assim, a oportunidade. Eu pediria à senhora... Como Comissão do Senado, nós vamos mandar à sua coordenação o vídeo, também, e pedindo que a sua coordenação possa enviar o vídeo para cada um dos membros do Conitec, para que eles vejam, pelo menos, porque eu tenho absoluta convicção de que, não por culpa deles, mas porque

é raro, eles nunca viram uma criança com doença de Batten. Então, o vídeo do Francisco vai ajudar a sensibilizar, a orientar, e que eles tenham conhecimento sobre a doença de Batten. Uma coisa é você dar uma opinião sobre algo que você nunca viu, e nunca imaginou que existe; e outra coisa é verificar o ser humano, concreto, na sua frente, e que tem a oportunidade de ter uma vida normal, dependendo da decisão deles. Por enquanto, foi negada a vida normal pela decisão tomada, mas a gente vai insistir, porque eu acho que a maior parte deles, do Conitec, certamente tem sensibilidade, e essa sensibilidade pode...

Então, eu mando o documento, mandamos o documento pela Comissão, para que a senhora faça chegar aos membros do Conitec. Pode ser? *(Pausa.)*

Pode ser. Muito bem.

Antes de encerrarmos, nós tínhamos dito que lá na abertura nós usamos uma expressão: vamos construir caminhos. Esses caminhos não existem. Vamos construir esses caminhos e vamos juntos. Nada como todos nós, famílias, federação, Ministério da Saúde, Congresso Nacional, sociedade e especialistas, trabalharmos juntos. Então, que essas crianças nos iluminem sempre, as suas famílias, para dizer: "olhe, estamos numa boa causa". Por isso eu peço, antes de encerrar, que a Secretaria da CAS coloque novamente o vídeo do Francisco.

É bem rápido. Isso.

(Procede-se à exibição de vídeo.)

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar PODEMOS/PSDB/PSL/PODEMOS - PR) - Muito bem. Eu agradeço, novamente, a presença das expositoras, quatro mulheres. Muito bom, isso também é algo importante: Dra. Mara, a Cremilda, a Monica e a Dra. Priscila Louly, representando o Ministério da Saúde.

A gente realmente precisa tomar as posições necessárias dentro de cada âmbito, seja da família, seja da organização da sociedade pela federação... Dra. Mara, que é uma especialista, referência, e a Dra. Priscila que ocupa o cargo da mais alta importância para o encaminhamento e para a construção dos caminhos.

Eu agradeço a presença de vocês, agradeço a participação de todas as pessoas que nos acompanharam durante toda esta audiência pública. Vai ficar à disposição, assim como o material em geral.

Nada mais havendo a tratar, declaro encerrada a presente reunião.

Obrigado. Abraços a todos.

(Iniciada às 10 horas, a reunião é encerrada às 12 horas e 02 minutos.)