



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

REUNIÃO

15/06/2026 - 34ª - Comissão de Assuntos Sociais,
Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática

Comissões: CAS, CCT

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. Fala da Presidência. *Por videoconferência.*) - Boa tarde a todos e todas.

Havendo número regimental, declaro aberta a 34ª Reunião da Comissão de Assuntos Sociais, em conjunto com a 17ª Reunião da Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática da 4ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura.

A presente reunião atende aos Requerimentos nºs 40 e 47, de 2026, da CAS, de minha autoria, e nº 16, de 2026, da CCT, de autoria do Senador Flávio Arns, para a realização de audiência pública destinada a discutir o uso compassivo de terapias em saúde.

Eu informo que a audiência tem a cobertura da TV Senado, da Agência Senado, do *Jornal do Senado*, da Rádio Senado, e contará com os serviços de interatividade com o cidadão por meio da Ouvidoria, através do telefone 0800 0612211, e do 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.

Eu quero agradecer a presença de todas e de todos os nossos convidados. São eles: Meiruze Sousa Freitas, Coordenadora da Instância Nacional de Ética em Pesquisa do Ministério da Saúde - muito obrigada, Meiruze, pela sua presença -; Claudiosvan Martins Alves de Sousa, que é Coordenador de Pesquisa Clínica em Medicamentos e Produtos Biológicos da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) - muito obrigada, Claudiosvan, pela sua presença -; Andreia Bessa, Coordenadora Jurídica da Casa Hunter e da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas) - muito obrigada, Andreia, pela sua presença -; Tatiana Coelho de Sampaio, nossa Professora e Coordenadora do Laboratório de Biologia da Matriz Extracelular da Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ) - muito obrigada, Tatiana, pela sua presença -; Dra. Mayana Zatz, Professora do Departamento de Genética e Biologia Evolutiva da Universidade de São Paulo - que honra! Muito obrigada, Dra. Mayana, pela sua presença -; Aline Spagnol Fedoce-Silva, Professora-adjunta da Faculdade de Odontologia da Universidade Federal de Juiz de Fora - obrigada, Aline, por estar presente -; Ricardo de Lima Agostinho - muito obrigada pela presença -; Adriana Ribeiro Barbato, que é Defensora Pública Federal da Defensoria Pública da União - a Defensoria Pública sempre nos acompanhando; muito obrigada, Adriana, pela presença -; Alcindo Cerci Neto, Conselheiro Federal, pelo Estado do Paraná, do Conselho Federal de Medicina - muito obrigada, Alcindo, pela presença.

Agora convidamos também o representante da Comissão Nacional de Ética em Pesquisa (Conep), mas, infelizmente, não enviaram uma pessoa para falar sobre o uso compassivo de tecnologias de saúde.

E, mais uma vez, obrigada a todas e a todos os nossos convidados por atenderem ao nosso chamado para debatermos um tema de extrema relevância social, mas ainda pouco falado, que é o uso compassivo de medicamentos e de terapias de saúde. E agradeço igualmente a todos que nos assistem pela TV Senado.

Antes de iniciar minha fala, vou fazer minha autodescrição para todas as pessoas terem acesso: eu sou uma mulher branca, de olhos verdes, cabelos castanhos claros um pouquinho abaixo dos ombros; estou com um vestido preto, cinza e vermelho; estou em um ambiente que tem quadros, luz, livros, enfim; e estou sorrindo de alegria de ter vocês nesta audiência tão importante.

O uso compassivo é regulamentado... *(Pausa.)* A nossa legislação entende o uso compassivo como uma demanda individual de cada paciente que será avaliada a partir da indicação do médico responsável, que atesta que aquela pessoa tem a indicação de uso de um medicamento ou terapia novos e promissores, mas que ainda estão em fase de estudo e desenvolvimento. O uso compassivo é regulamentado por resoluções da Anvisa que já estão em vigor e que serão mais bem esclarecidas aqui pelos nossos especialistas para organizar os critérios que autorizam o acesso a essas tecnologias para pessoas que sofrem com doenças graves bastante debilitantes ou que coloquem a sua vida em risco.

Esses pacientes, infelizmente, não dispõem de nenhuma outra alternativa terapêutica disponível no mercado e não há medicamento ou tecnologia de saúde já registrados no país que consigam atender às suas necessidades. Restam apenas os cuidados paliativos. E como bem sabemos quem sofre tem pressa, e buscar o uso compassivo de terapias ainda em estudo se torna uma janela de esperança que não podemos fechar a ninguém. Esse cenário é muito comum com as doenças raras, já que, de acordo com dados do Ministério da Saúde, cerca de 95% dessas doenças ainda não têm um tratamento que seja capaz de interferir na sua progressão ou mesmo levar à cura. E tudo se torna ainda mais dramático porque 75% das doenças raras afetam crianças e os índices de mortalidade ainda são muito elevados.

A primeira coisa que nos vem à mente quando falamos que alguém é compassivo é que essa pessoa tenha empatia, que consiga se conectar com a dor, com os sentimentos e as aspirações do próximo. Assim, ser compassivo significa ter compaixão e, mais ainda, significa agir e fazer tudo o que está ao nosso alcance para ajudar.

As pessoas com doenças raras, com doenças degenerativas, com lesão medular, como tenho, são exemplos de pessoas com condições igualmente graves que buscam auxiliar por meio dessa discussão. A gente busca auxiliar essas pessoas por meio dessa discussão. Por isso, promovemos esta audiência hoje, reunindo pesquisadores, pacientes e órgãos reguladores para juntos buscarmos os meios para superar os desafios que precisam ser enfrentados. A gente não pode parar de avançar nem ficar parado olhando uma doença avançar. Eu costumo dizer mesmo assim que a ciência vem avançando, nos últimos anos, numa velocidade sem precedentes, mas os avanços sociais precisam acompanhar na mesma medida. Então, assim, precisamos dar respostas e não colocar obstáculos para o acesso célere a direitos de inclusão social, especialmente à vida de tantos brasileiros.

Queremos hoje, nesta audiência, reafirmar nosso compromisso com o direito fundamental à saúde. Queremos dar voz a essas pessoas, às suas famílias e aos profissionais que estão lutando contra o tempo, para tentar um novo experimento e ter esperanças de melhorar a sua qualidade de vida.

E, para dar início ao nosso debate, vamos começar dando voz aos pacientes e associações de pacientes, ouvindo depoimentos de pessoas que precisam lutar para ter acesso ao uso compassivo de novos recursos de saúde.

Eu quero convidar a Aline Spagnol Fedoce-Silva, que é Professora da Universidade Federal de Juiz de Fora, mas está aqui conosco, principalmente como mãe da Maria Flor, que tem síndrome de Krabbe.

Então, com a palavra Aline Spagnol Fedoce.

A SRA. ALINE SPAGNOL FEDOCE-SILVA (Para expor. *Por videoconferência.*) - Boa tarde a todos.

Liguei o áudio aqui agora.

Gostaria de cumprimentar a Senadora Mara Gabrilli, que preside esta sessão, por requerer esta audiência; o Senador Flávio Arns e a Senadora Damares Alves, por também serem autores do requerimento; e os demais participantes que compõem esta mesa. Agradeço por participar.

Vou fazer aqui uma breve apresentação sobre a doença de Krabbe, que é também denominada leucodistrofia de células globoides, no contexto do uso compassivo de terapias em saúde.

Meu nome é Aline, eu sou Cirurgiã-Dentista e Professora na Universidade Federal de Juiz de Fora. Eu achei importante citar a minha formação, porque muito contribuiu no processo de entendimento, acolhimento e direcionamento, de cuidados e de procura por um tratamento para minha filha. Mais importante do que qualquer outra denominação que eu possa ter, eu sou a mãe da Maria Flor, uma menina linda, que infelizmente sofre e sofreu as consequências da doença de Krabbe. Junto com o meu esposo, Davi, a gente conta essa história.

Para quem não sabe, a doença de Krabbe é uma doença neurodegenerativa rara que é genética recessiva e pode ser proveniente de uma mutação ou dessa recessão genética, e ela acontece quando a gente observa uma alteração no gene GALC. Falando de forma simplificada, a doença é o resultado da falta de uma enzima, que é a galactocerebrosidase. A falta

dessa enzima faz com que ocorra um acúmulo de esfingolipídios no cérebro, e esse excesso dessa substância vai causar a perda da bainha de mielina, e a perda da bainha de mielina faz com que o funcionamento do neurônio seja alterado, impedindo a correta passagem da função nervosa.

Com isso, a gente tem algumas consequências como: a irritabilidade e o choro, que são os primeiros sinais observados nessas crianças, o que é bem desesperador para os pais; a perda progressiva das habilidades motoras; rigidez muscular e espasticidade; alterações visuais e auditivas; dificuldade para alimentar e deglutir; comprometimento respiratório; déficit cognitivo; e, com o avançar da doença, condições como a epilepsia, podendo levar até a morte.

Apesar de os cientistas se desdobrarem para encontrar um tratamento específico para a doença de Krabbe, ela ainda não tem cura, mas existe uma saída, um procedimento que interfere no desenvolvimento da doença, podendo impedir sua progressão e trazendo mais qualidade de vida para os seus pacientes e familiares, que é o transplante de células-tronco hematopoiéticas, como a gente pode ver determinado nesse estudo.

Trata-se de uma terapia que não é experimental, ela já é comprovada cientificamente, e em outros países ela é executada tão logo identificada a doença. *(Pausa.)*

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*)

- Eu acho que a Aline travou. Vamos dar só um minutinho para ver se ela volta.

Aline...

É ela? *(Pausa.)*

Eu vou passar, então, a palavra para o Ricardo, enquanto a Aline tenta voltar. Está bom?

Então, com a palavra o Ricardo de Lima Agostinho, que é pai do Raffael Pietro, paciente com síndrome de Olmsted, ceratoderma palmoplantar.

Por favor, Ricardo, com a palavra.

O SR. RICARDO DE LIMA AGOSTINHO (Para expor. *Por videoconferência.*) - Olá. Boa tarde, Senadora Mara Gabrilli. Tudo bom? Boa tarde, participantes.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*)

- Tudo bem, obrigada.

O SR. RICARDO DE LIMA AGOSTINHO (*Por videoconferência.*) - É muita felicidade estar aqui, juntamente com vocês, por uma luta de quase dez anos, de dez anos, para fazer conhecida a patologia do meu filho.

Eu sou pai do Raffael Pietro, que tem síndrome de Olmstead. Eu vou abrir aqui e compartilhar a tela dele e vou falando a respeito do meu pequeno.

Ele nasceu com pé torto congênito e, com cinco meses de idade... Nós fizemos, primeiramente, o tratamento com o gesso, com o ortopedista. Com cinco meses de idade, ele começou a desenvolver um machucado no calcanhar. E aí, através desse machucado... A gente pensou que era até problema com a órtese. Ele chegou a usar a botinha. E a gente o levou ao médico, ao ortopedista, para poder verificar se era problema de lesão da órtese. Ele falou que não era esse problema e foi quando a gente começou a procurar dermatologistas, em 2015, em 24 de novembro.

Então, ele começou a usar a área de dermatologia. Identificavam como calos; e, no dedo do pé dele, identificavam como fungo. A gente foi correndo de dermatologista em dermatologista até nós chegarmos ao Fernandes Figueira. Chegamos ao hospital Fernandes Figueira - sou do Rio de Janeiro -, e lá começamos as pesquisas genéticas. Através dessas pesquisas genéticas... Conseguimos, via plano de saúde, fazer os exames genéticos, com bastante dificuldade. Mesmo com um mandado, com o Reclame Aqui, com tudo o que tinha direito, o hospital do plano não autorizava, mas, enfim, conseguimos. Fizemos quatro exames genéticos: o primeiro foi o cariótipo; depois o microarray; depois o MS-PV2 e, enfim, fizemos o TRPV3, que constatou a síndrome de Olmstead. Até tivemos dificuldades para conseguir laboratórios que aceitassem fazer o exame, no caso.

E aí conseguimos constatar, via exame genético, descobrir, conhecer essa síndrome. Ela é uma síndrome rara. Na época, nós ligamos para o 0800 Linha Rara. Em 2016, 2017, quando a gente concluiu, ao final, eram 73 pessoas no mundo registradas com a patologia do Raffael. E aí nós nos deparamos com uma doença não somente rara, mas ultrarrara. Em 2018, quando a gente teve esse diagnóstico do TRPV3, voltamos ao Fernando Figueira, e o Fernando Figueira nos informou que a patologia dele era de tratamento assintomático, não tinha mais o que fazer.

E depois dessa informação que nós tivemos do Fernando Figueira, eu, como pai de uma criança que não dormia de dor... As lesões iam aumentando - era queda de cabelo -, crescendo na sola dos pés, na palma das mãos. Ela foi afetando o

nosso dia a dia, o nosso sono, o sono dele - ele não conseguia dormir -, e chegamos à santa casa de misericórdia. Aí quando nós chegamos à santa casa daqui do Rio, eles fizeram uma sessão médica e abraçaram a causa. A Dra. Luna Azulay, dermatologista aqui do Rio de Janeiro, começou a nos ajudar. A gente ia para as consultas e ia fazendo com que ela tornasse mais conhecida.

Tivemos que frequentar a Clínica da Dor, porque até então não tinha medicamento específico para essa patologia dele. A gente dava Tramadol para ele. Fomos à Clínica da Dor Crônica, no Hospital Jesus, e aí foi passado - ele já tomava dipirona de quatro em quatro horas; era um intervalo de momentos que a gente tinha da dor dele -, foi acrescentado Tramadol e depois a gabapentina e, mesmo assim, não era o suficiente para as dores dele cessarem.

E aí, em 2019, nós entramos... Em 2019, a Doutora participando de muitas conferências pelo mundo, um médico informou para ela o nome de um medicamento, que é esse aí, o Tarceva. Ela não sabia exatamente, de forma aprofundada, o que era. E aí fomos descobrir que seria um estudo publicado na França, em 2020. Esperamos ansiosamente, porque até então... O outro remédio que foi acrescentado foi a acitretina, que era associada à psoríase. Então, como o problema dele era de pele, amenizou um pouco mais a situação.

Então, chegou esse estudo, quando foi publicado na revista chamada *Jama*. O estudo foi feito no Hospital Necker, em Paris, por vários médicos, com cinco adolescentes. E, no estudo, esses adolescentes, entre 13 e 17 anos, chegaram já cadeirantes. E aí eles acrescentaram esse medicamento e descobriram - aí já é mais questão técnica - que ele era um inibidor da produção da cera, porque essa cera é produzida na sola dos pés, na palma das mãos, no ânus - está vendo que o ânus produz essa cera? -, na sola dos pés. Então, assim, era algo...

Cada dia que passava, era uma novidade para a gente de dores intensas e choros, muito choro, porque a gente não conseguia o mínimo de sossego, principalmente quando foi entrando na fase dele de escola, no maternal. A gente não conseguiu sustentá-lo na escola, por conta das dores. E a gente teve essas dificuldades, principalmente.

E, quando esse estudo saiu, abriu um leque de esperança para a gente. E esse leque de esperança foi que, com essa medicação, no estudo, as crianças já conseguiram botar os pés no chão. Então, para a gente foi uma expectativa muito grande.

E nesse ano de 2020 o que nós fizemos? Juntamos esse estudo e levamos toda essa documentação para a DPU daqui, do Estado do Rio de Janeiro, para tentar esse medicamento via Justiça. Então, no ano de 2020, nós entramos na Justiça para tentar.

O ano de 2020 corria, e não tínhamos retorno dessa medicação. Em 2021, quando estava próximo de ele iniciar o ano letivo natural, porque ele iniciaria em 2022, e a gente já estava tenso, porque no maternal a gente conseguiu o manter em casa, no jardim o mantemos em casa, Deus foi tão bom que ele aprendeu a ler e escrever em casa, com três para quatro anos de idade. Então, isso já nos ajudou.

Antes de 2022, decidimos fazer uma vaquinha, procuramos informação; conseguimos o contato do médico do estudo da França, mandei *e-mail*, consegui o contato do WhatsApp dele, conversei com ele via WhatsApp, e ele nos incentivou mais ainda a usar essa medicação.

E, aí, consegui colocá-lo com a Dra. Luna em conversa. A Dra. Luna se sentiu mais confortável para a gente comprar, porque a gente queria comprar esse medicamento, só que ele não era barato. Na época, nós pagamos R\$2,6 mil por uma caixa; e esse medicamento é dosado por quilo. E o Raffael tinha 12kg quando ele começou, porque a patologia é anoréxica. Ela traz disfunção no psicológico e atrasa o desenvolvimento; ela é mutilante, porque ela faz caírem os dedos dos pés, se não for bem-tratada; ela traz atraso no desenvolvimento. Então, assim, ela tem muitas coisas, e a gente até hoje ainda está conhecendo sobre a patologia dele.

E aí nós decidimos e falamos com a Doutora: "Nós vamos iniciar esse medicamento, Doutora, se a senhora permitir ou não, mas nós vamos comprar esse remédio". E aí nós compramos uma caixa e demos a medida que o médico da França, o Dr. Alain Hovnanian, fez para a gente - a posologia -, que era de dois gramas por quilo. Então, como ele tinha 12kg, era um comprimido de 25mg por dia. Mas foi uma experiência de noites de sono de Rafael dormidas; e foi uma felicidade - a Doutora ficou muito feliz. E a gente ficou assim: "E agora? E as próximas caixas?".

Aí conseguimos com o apelo das pessoas, o apelo da médica, e conseguimos manter essa medicação, graças a Deus, por doações até hoje; e o processo continuava na Justiça. E, em 2023, esse processo foi negado, justamente por causa de um tema específico que tem na Justiça aí, que é a falta de comprovação científica - e o nosso mundo desabou. A gente não conseguia essa medicação via judicial... Minha esposa em 2019 parou de trabalhar para assistir o meu filho. Eu trabalho por transporte de aplicativo. Às vezes, dormia na rua, não tinha condições... Noites de sono perdida...

E a nossa vida foi sendo transformada de uma maneira que a gente não tinha mais como viver sem essa medicação - ele no caso -, porque essa medicação trazia um conforto para ele, ainda traz. Só que, mediante as doações, a gente não tinha o remédio todos os meses, a gente não tinha a dosagem certa, e ele foi engordando. Hoje, ele tem 24kg, toda vez ele vai numa balança se pesar. Ao mesmo tempo que a gente fica feliz, a gente fica triste, porque a dosagem precisa ser aumentada.

Então, hoje, a gente tenta dar a última dosagem que o médico deu para a gente, que é um comprimido num dia, dois no outro, para tentar chegar pelo menos aos 50mg por dia. O certo seria isso, mas a gente não consegue, porque, se a gente comprar as duas caixas mensal da medicação, dá quase R\$6 mil.

Hoje, a gente está pagando, rolou muita briga com a Roche - que é ela que produz -, por uma distribuidora, e a gente consegue um desconto. Hoje, ela sai a R\$2.724 cada caixa. A gente luta até hoje e, conforme essa negativa da Justiça em 2024, nós queremos tornar conhecida a patologia de Raffael, porque a gente olhava para um lado, olhava para o outro, conversava com uns, conversava com outros, e era algo novo para todos.

Então, assim, nós decidimos criar um Instagram de Raffael. E hoje a gente pede a ajuda para uma possibilidade de um remédio compassivo, que é regulamentar o fluxo de uso compassivo na Anvisa para doenças ultrararas, é dar segurança jurídica ao médico e criar uma via administrativa, porque quem precisa do medicamento é o meu filho - e a Justiça nos ajudaria.

Então, assim, peço a vocês para que façam, para que a comprovação científica - que já existe - seja suficiente para salvar uma criança, ou pessoas que precisam dessa medicação.

Esse é o meu menino. E aí essa é a nossa luta com essa síndrome de Olmsted. E o que a gente precisa é dessa ajuda, juntamente com os senhores especialistas, para tornar essa síndrome conhecida. E eu sou grato.

E assim, Senadores, erlotinibe não tem fase três, para Olmsted, porque não há interesse comercial. Não porque não funcione, há evidência científica, há laudos médicos. E, para um paciente que, sem ele, perde os movimentos de mãos, pés. Negar o remédio é condená-lo à incapacidade. E hoje meu filho sorri, meu filho é alegre, consegue estudar, está no quinto ano, graças a essa medicação que manteve um pouco da vida social dele. Ele ainda tem muita dificuldade na independência, ele tem muita dificuldade de abrir remédio, de abrir biscoito.

Então, a gente tem uma expectativa, temos uma luz através dessa medicação. Cremos na cura, cremos que a doença é genética, mas nós não temos a herança genética, e cremos em um Deus, que vai curar. E isso tudo está sendo registrado para que, quando ele for curado, nada vai apagar o seu (*Falha no áudio*). Amém! Está bom?

Isso é o que eu tenho para falar do Raffael. Esse é o meu menino, que hoje está na escola, graças a Deus e ao medicamento, que foi negado pela Justiça e que a gente não tem condições de comprar. Para a gente, está desesperador. Criamos um Instagram, temos uma vaquinha, demos vida a ele. Através do Instagram dele, alcançamos pessoas adultas que nem diagnóstico ainda tiveram.

Então, nós estamos aqui para o meu filho e para outras pessoas que possam ter essa condição genética e que não têm condições financeiras - como a gente não tem - e condições de fazer até exames para comprovar. Infelizmente, a gente precisa da Justiça, precisa de um órgão de saúde mais rápido.

Assim, eu agradeço a minha oportunidade.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência*.) - Ricardo, muito obrigada pelo seu depoimento.

Eu esqueci de avisar que cada convidado tem dez minutos para falar. Eu não o interrompi, mas quero deixar claro que, se precisar falar mais um pouquinho, a gente estica. Mas, para que todos possam falar, vamos tentar manter os dez minutos. Eu lhe agradeço.

Eu queria saber se a Aline... A Aline voltou.

Vamos continuar, Aline?

A SRA. ALINE SPAGNOL FEDOCE-SILVA (*Por videoconferência*.) - Sim, vamos continuar. Foi uma queda de energia. Perdão!

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência*.) - Imagina, Aline.

Então, Ricardo, muito obrigada. Muito emocionante esse depoimento seu.

Eu vou convidar, de novo, para falar a Aline Spagnol, que é mãe da Maria Flor, que tem a síndrome de Krabbe.

A SRA. ALINE SPAGNOL FEDOCE-SILVA (Para expor. *Por videoconferência.*) - O.k. Obrigada.

Dando continuidade então, eu vou falar agora sobre a história da Maria Flor através dessa linha do tempo.

Aos dez meses de idade, nós observamos, em uma foto como essa, que a Maria Flor tinha dificuldade de sustentar a cabeça. Aí a gente procurou a ajuda de vários médicos, como pediatra, ortopedista, neurologista, entre outros, e, com um ano e dois meses de vida, nós conseguimos fazer a primeira ressonância. Ao ver as imagens da ressonância, associada a sintomas clínicos, como irritabilidade, choro, entre outros - já havia crises convulsivas -, a médica já deu um possível diagnóstico. A partir daí, foi dado início a uma corrida angustiante em busca de tratamento para Maria, mesmo antes de a gente ter um diagnóstico comprovado, o que demorou, mais ou menos, um mês, quando a gente teve o exame genético em mãos e o exame da enzima, que confirmava a doença. Então, com o diagnóstico em mãos, a gente já tinha uma esperança, que era a de fazer o transplante ou de inscrever a Maria em uma terapia gênica fora do país, mas que não era possível na época por conta da covid.

Então, a gente se agarrou na esperança do transplante, mas precisávamos de um médico para indicar o transplante para Maria, porque, quando a doença está avançada e os riscos são maiores do que os benefícios, não há indicação do transplante. Esse foi um momento muito difícil, pois a gente vivia, diante do luto do diagnóstico da doença, a incerteza de como a Maria acordaria no dia seguinte, se ela iria enxergar ou ouvir, se ela estaria sorrindo. Além disso, a gente tinha que fazer vídeos para tentar conseguir com que o médico dissesse que ela estava apta ou não a fazer o transplante.

Nesse momento, nós fizemos várias consultas com diferentes médicos, tanto aqui no Brasil quanto fora do Brasil, online, e a gente não teve sucesso, até que uma médica da Universidade de Pittsburgh avaliou a Maria, de forma remota. Ela é uma neurologista com pesquisas na área da doença da Maria, a Dra. Maria Escolar. Ela indicou o transplante da Maria com 1 ano e 6 meses de vida. Segundo ela, o transplante deveria ocorrer em 15 dias. Então, isso foi aqui em setembro. Mas aí a gente começou uma outra luta que era aprovar o transplante para a Maria, pois o Ministério da Saúde tinha negado o registro dela no Rereme, que é o Registro Nacional de Receptores de Medula Óssea, o que, automaticamente, impedia a busca no Redome, que é o Registro Brasileiro de Doadores Voluntários de Medula Óssea, e, conseqüentemente, o transplante.

A justificativa da negativa é que se tratava de uma doença para a qual não é prevista a realização do transplante de células-tronco hematopoiéticas na modalidade alogênico não aparentado, embora outras leucodistrofias, na época, já estivessem listadas na Portaria de Consolidação nº4, de 2017.

Então, na tentativa de informar e mostrar que o transplante era uma terapia indicada e também que tinha comprovação científica, eu, meu esposo, principalmente - o Davi -, entrou em contato com o Ministério da Saúde, o Conselho Federal de Medicina, a Sociedade Brasileira de Hematologia, Sociedade Brasileira de Neurologia Infantil, Sociedade Brasileira de Genética, a Conitec, entre vários outros, até que a gente encontrou uma importante ajuda de pessoas ligadas à política que, com muito carinho, nos recebeu, como a Senadora Mara Gabrilli e todo o seu gabinete, mas que não foi necessário para a aprovação.

Então, a gente teve que entrar com o processo judicial, a fim de realizar o primeiro transplante autorizado judicialmente para a doença de Krabbe. Então, a Maria fez esse primeiro transplante. Depois de quatro meses de espera judicial, a gente conseguiu internar a Maria, com um 1 e 10 meses, no hospital para realizar o transplante a partir do plano de saúde.

Então, foram dias difíceis, mas, graças a Deus, o transplante correu bem. Hoje nós não observamos novas perdas da Maria. Ela se mantém estável em relação à doença, que é degenerativa, mas ela apresenta uma deficiência comparada a uma criança com paralisia grave: ela não fala, não anda, tem epilepsia de difícil controle, entre outras dificuldades, precisa estar sempre fazendo terapias; e tudo isso devido às perdas que ocorreram no processo de diagnóstico e espera pelo transplante. Isso poderia ter sido evitado se o transplante de células-tronco hematopoiéticas fosse considerado um tratamento para a doença de Krabbe.

Nós temos um grupo de pais de crianças com Krabbe em que a gente conversa e discute os tratamentos e terapias de seus filhos. E, por lá, nós temos conhecimento de outras duas crianças que conseguiram realizar o transplante depois da Maria, por jurisprudência. O tempo de espera, do diagnóstico ao transplante, é, em média, de dois meses.

A gente fez essa apresentação em linha do tempo - aqui tem até mostrando a fotinho de quando a medula pegou e, depois, a alta dela do transplante, que foi em maio de 2021 - porque existe uma linha do tempo que foi desenvolvida por um estudo americano que apresenta uma linha recomendada por especialistas na área, a fim de obter resultados positivos, a partir da triagem neonatal.

Então, em muitos estados nos Estados Unidos, tem a triagem neonatal para a doença de Krabbe, e, de acordo com esse estudo, é necessário que o transplante seja realizado em até 30 dias de vida, a partir do nascimento, claro, para que a gente não tenha manifestação das consequências da doença.

Então, o que a gente tem aqui, até aqui - nesse contexto de discutir o uso compassivo de terapias em saúde, e também em demais contextos - de lei? A gente tem, aqui no Brasil, a aprovação da Lei 4.154, de 2021, que aperfeiçoou o Programa Nacional de Triagem Neonatal, mas segue em fase de regulamentação por parte do Ministério da Saúde até hoje.

No entanto, alguns estados já ampliaram o rastreio de condições, e o Distrito Federal já rastreia a doença de Krabbe. Outros estados estão nesse processo e, logo que o transplante seja viabilizado para a doença de Krabbe, também passarão a realizar o teste do pezinho.

Nós já soubemos, nesse grupo de pais de que eu falei, de dois casos que foram identificados pelo teste do pezinho no Distrito Federal, e as últimas informações que tivemos é que eles ainda estão aguardando, por cerca de dois meses, em processo judicial. Isso traz muita angústia, pois o processo é demorado, desgastante e custoso, e nem sempre tem um final feliz.

Os pais de crianças com doença de Krabbe sofrem muito e sofrem também por imaginar que um próximo filho possa passar por todas as doenças, os sofrimentos e os desafios pelos quais o primeiro filho diagnosticado passou, justamente por não termos um respaldo do Ministério da Saúde.

Ainda entrando no assunto do uso compassivo, nós temos, pela Anvisa, a RDC 38, de 2013, que dispõe sobre o uso compassivo de medicamentos; e a RDC 608, de 2022, que trata de dispositivos médicos. Aí a gente identifica uma lacuna no que tange a procedimento de alta complexidade, como o transplante de células-tronco hematopoiéticas. Portanto, não contemplam de forma explícita a doença de Krabbe.

A gente compreende que o uso compassivo é reservado a situações em que não existem alternativas terapêuticas estabelecidas, quando se configura como último recurso para o paciente sem diagnóstico, mas, nesse caso, a aplicação do uso compassivo não deve ser restrita aos limites materiais do produto, como medicamentos ou dispositivos, mas, sim, ao seu fim último, que é a salvaguarda da vida em situações de doenças raras progressivas para as quais a ciência não oferece ainda uma alternativa registrada.

Então, o nosso objetivo aqui é solicitar que a doença de Krabbe e as demais leucodistrofias sejam incorporadas no rol de indicações do transplante de células-tronco hematopoiéticas do Sistema Nacional de Transplantes.

Já existe, inclusive, a Indicação nº 77, de 2025, sugerindo ao Ministério da Saúde que avalie a pertinência da incorporação da doença de Krabbe, da leucodistrofia metacromática e de outras leucodistrofias no rol de doenças para as quais seja indicado transplante.

Eu acredito que a maioria das mães e dos pais de pessoas com doenças raras se pergunta: "O que eu posso fazer para evitar que outras crianças sofram da mesma doença?". Por esse motivo, eu agradeço imensamente a oportunidade de me manifestar e de trazer aqui, por meio dessas fotos de algumas crianças, cujos pais autorizaram a exibição, o coração de mães e pais de crianças com a doença de Krabbe, que sabem, tanto ou mais do que muitos, que a vida não pode esperar. Não sejamos espectadores passivos diante de um sofrimento evitável.

Eu gostaria de finalizar só mostrando um pouquinho a Maria Flor, que está aqui pertinho de mim, sempre coladinha na gente. Toda a trajetória dela foi importante para que algumas outras crianças tivessem o transplante ainda mais rápido que ela.

Que hoje seja um momento oportuno para que a gente tenha ainda esse transplante autorizado logo no início e que o teste do pezinho aconteça também, para que a gente tenha a maior eficácia desse tratamento.

O Davi também está aqui perto de mim.

Obrigada pela oportunidade.

O SR. RICARDO DE LIMA AGOSTINHO *(Por videoconferência.)* - Sua linda!

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Tchau, Davi e Aline.

Ô Maria Flor, como você é bonita! *(Pausa.)*

Nossa, muito obrigada, Aline! Muito obrigada pelo depoimento!

Eu vou até aproveitar essa oportunidade, porque a gente está recebendo muitas perguntas, então eu vou jogar as perguntas aqui de quem está assistindo e está mandando pergunta via *web* aqui.

Então, o Diego, do Mato Grosso, por exemplo, pergunta assim: "Como definir a responsabilidade civil em casos de efeitos adversos decorrentes de terapias experimentais?".

Aí, o Luiz, também do Mato Grosso: "Como garantir acesso ágil a terapias experimentais sem comprometer a segurança do paciente e a responsabilidade dos envolvidos?"

Tudo do Mato Grosso? (*Risos.*)

O Davi, do Mato Grosso, também: "Como garantir o equilíbrio entre o acesso rápido a terapias experimentais e a segurança do paciente no uso compassivo de tratamentos?"

Mikeias, do Paraná: "Quem deve arcar com os custos do tratamento: Estado, indústria ou o paciente?"

Essas são algumas das perguntas; daqui a pouco, eu trago mais.

E agora eu passo a palavra para a Andreia Bessa, que é Coordenadora Jurídica da Casa Hunter e da Febrararas.

Andreia, você está com a palavra.

A SRA. ANDREIA BESSA (*Por videoconferência.*) - Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - E se você quiser ler algumas perguntas, fique à vontade.

A SRA. ANDREIA BESSA (Para expor. *Por videoconferência.*) - Tá. Deixe-me pegar a apresentação. (*Pausa.*)

Só um minutinho, gente. A gente até treinou antes, mas, como se diz, jogo é jogo.

Bom, vocês estão vendo a tela?

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Estamos vendo.

A SRA. ANDREIA BESSA (*Por videoconferência.*) - Bem, primeiramente quero agradecer. Boa tarde a todos e a todas. Quero agradecer imensamente à Mara Gabrilli por mais este convite, por mais esta parceria.

Meu nome é Andreia Bessa, sou Diretora Jurídica da Febrararas. Hoje, eu participo em nome da Febrararas, que é a Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras.

Bem, nós estamos aqui para trazer uma perspectiva de quem mais diretamente sente o peso do tempo, que são os pacientes com doenças raras. Isso porque há dois tempos que raramente se sincronizam: o tempo da regulação, que segue seus ritos necessários, e o tempo da doença, que não espera. Então, quando essa janela se fecha, o tratamento pode chegar tarde demais. Eu acho que falar um pouco sobre o uso compassivo é falar um pouco sobre isso.

Antes de entrar no detalhe, é importante dizer que a tese que nós defendemos é a de que o uso compassivo deve funcionar como uma ponte, mas não é uma ponte sem regulação, é uma ponte regulada entre a inovação científica e a urgência clínica dos pacientes que não têm alternativa terapêutica. Isso significa que há algumas coisas que a gente precisa pontuar.

A ciência tem avançado. A gente tem visto, no dia a dia, que ela está produzindo terapias promissoras antes do ciclo regulatório se complementar. Então, às vezes, quando a Conitec está discutindo a incorporação de uma tecnologia, já estamos com três outras chegando, que são muito mais avançadas. E por que isso é importante? Não é discutir, não é falar de um excesso de tecnologia: é falar de tecnologias que melhoram a qualidade de vida. Não é a mesma coisa, não é mais do mesmo. São tecnologias que trazem uma parte muito significativa para o paciente, que principalmente é o paciente poder ter o domínio novamente sobre a sua vida, sobre os seus cuidados, sobre a sua vida econômica; poder voltar a produzir, poder voltar a ter a diretriz da sua própria vida e deixar a família não tão refém, com todos em volta daquele paciente. Então, quando a gente discute as novas terapias, a gente está falando disso também.

Deixe-me avançar aqui.

Então, o que a gente quer apresentar para vocês? A ciência avança, então isso é um ponto importante. A regulação vem para proteger; ela traz essa segurança ética, que precisa ser preservada. E aquilo que eu estava dizendo: o paciente não tem como esperar, porque essa progressão pode destruir uma janela terapêutica para esse paciente, e o fluxo tem que existir.

Então, quando a gente fala de excepcionalidade, as pessoas falam assim: "Ah, mas vocês querem exceção, vocês não querem entrar dentro da regra geral". Não, não é que a gente quer exceção, é porque as doenças raras precisam ser tratadas com certa excepcionalidade, mas com critérios - com critérios claros, com critérios bem definidos.

Opa, passei demais. Vamos lá.

Qual é, hoje, o nosso papel institucional - pelo que a gente tem brigado muito e que a gente entende que é muito importante hoje nas doenças raras? Primeiro, a Febrararas é uma voz coletiva, né? Então, a gente representa famílias e associações de todo o Brasil, e nós atuamos nessa interface entre pacientes, políticas públicas, pesquisa, inovação, SUS, ANS, enfim, a

Anvisa. A nossa missão é garantir que questões, assim, que muitas vezes estão invisíveis no debate público sejam ouvidas - e onde as decisões são tomadas.

Para esta audiência, algumas mensagens são essenciais para a gente. A primeira: que o uso compassivo é um tema de acesso, e não de privilégio. A segunda mensagem: que a doença rara exige uma resposta regulatória sensível no tempo clínico, porque o tempo aqui tem consequências irreversíveis. E a terceira é equidade territorial: a segurança e também a segurança de um tratamento precisam caminhar juntas.

E aí, quando a gente fala de janela terapêutica, por que o uso compassivo é crítico, em diversos aspectos? Porque, em muitas condições das doenças raras e ultrarraras, a doença avança em uma velocidade que... A gente viu aqui a apresentação da Aline e do pai do Rodrigo - é do Rodrigo, né? Desculpa se eu errei o nome do Rodrigo -, em que a gente pode perceber que o paciente recebe esse diagnóstico, mas não tem uma alternativa terapêutica disponível de imediato. Enquanto isso, o pai - a família - está vendo a doença progredir. E aí, está vendo a perda da funcionalidade do paciente, a perda neurológica, a perda respiratória, podendo chegar ao óbito precoce antes mesmo que um acesso regular ao tratamento esteja disponível.

O uso compassivo existe exatamente, ao nosso ver, para proteger essa janela terapêutica. Eu falo que a covid foi um grande exemplo que a gente teve da pressa e de como que as coisas têm que ser analisadas e têm que ser recebidas no país com mais atenção, não para substituir uma avaliação científica - não é isso -, mas para preservar uma oportunidade clínica enquanto o paciente aguarda que o processo regulatório se complete. Então, na base hoje regulatória, nós não estamos partindo do zero. Para o paciente a gente tem uma base regulatória, e nós temos várias proposições em tramitação no Congresso. Desde a Portaria 199, que instituiu a Política Nacional de Atenção às Pessoas com Doenças Raras, até a Lei 15.390, que foi aprovada este ano, o desafio não é mais criar lei do zero; é criar fluxos céleres, seguros, equitativos, para que as situações excepcionais sejam respondidas dentro do que já existe, mas com processos que funcionem.

E aí a gente fala muito... A gente trata como se fosse um vale, né? É o vale da espera, a lacuna. Então, quando a gente escuta os depoimentos dos pais, você percebe o quanto eles ficaram nesse vale da espera. Eu acho que eu tenho até um eslaide aqui que passa um pouco sobre esse vale. Deixe-me ver se eu fiz... Não, não fiz, mas tudo bem. Não fiz esse eslaide - eu falhei nesse eslaide, que sempre faço -, mas, na realidade, esse eslaide que a gente sempre trabalha é para você ver as etapas, os intervalos que têm as etapas: a Anvisa, a incorporação no SUS ou na ANS. São intervalos que, para muitos que estão ali, nessa parte burocrática, administrativa, parece ser um tempo pequeno, mas não. Para o paciente, esse intervalo é longo, é extenso, porque o uso compassivo é uma ferramenta para reduzir essa lacuna de forma individual, de forma excepcional. E vejam: de novo, nós não estamos defendendo que seja de uma forma bagunçada, e sim, que ela seja organizada, mas que ela possa chegar de uma forma em que o paciente tenha oportunidade de tratamento enquanto aguarda toda essa parte regulatória.

Recentemente, nós fizemos diversos cenários regionais, em todo o Brasil, para identificar quais são os principais gargalos de cada região do Brasil, e nós verificamos esses gargalos em vários locais. Por exemplo, quando a gente vai ao Norte, a gente verifica que o anseio das famílias está muito voltado à logística, à distância; no Nordeste, a questão do diagnóstico tardio ainda é algo que pega muito, a fragmentação da rede...

Então, o conceito central que a gente quer trazer para vocês hoje é o que é esse uso compassivo do ponto de vista do paciente, ou seja, é importante que a gente consiga falar a mesma coisa. O uso compassivo é o acesso individual excepcional ao medicamento ainda sem registro ou incorporação regular, para um paciente com uma doença grave, debilitante ou ameaçadora à vida e que não tem outra alternativa terapêutica.

É uma medida, a gente pode colocar, que é humanitária, regulada, mas é uma medida humanitária. Não substitui a avaliação científica, não é isso que defendemos, não vai dispensar o controle sanitário, mas é um instrumento que traz uma forma humanitária de esses pacientes poderem atender essa janela terapêutica.

Para finalizar, porque eu sei que acabou o meu tempo, vou cortar o mais rápido possível aqui, muito nos preocupa... E quero deixar este recado aqui, até me estendendo um pouquinho, convidando a Senadora para ter uma atenção especial, porque, nos dias 16 e 17 agora, está acontecendo o oitavo fórum nacional do CNJ, que é do direito à saúde. E muito têm nos preocupado as discussões que tem lá e o conflito de competências que hoje o Judiciário tem trabalhado, de encerrar portas de discussões para o paciente, de criar enunciados sobre a saúde, o que enfrenta, de forma direta, a competência, que é do Legislativo, deixando os pacientes, cada vez mais, sem qualquer acesso, sem qualquer tratamento, sem qualquer possibilidade de ter sequer a quem recorrer. Ou seja, quando a política pública falha, a quem esse paciente vai recorrer?

Então, Senadora, eu sei que fugi um pouquinho do tema, mas eu queria encerrar pedindo um olhar especial para esse fórum que vai acontecer dia 16 e 17, para que vocês pudessem ver esses enunciados e ver o quanto eles crescem o poder da Conitec como órgão decisório. E não foi com esse objetivo que a Conitec foi criada. A Conitec segue um órgão regulatório, como a Anvisa segue, tem todo um caminho a ser traçado. E nós estamos tendo conflitos de competência.

Imagina quando a gente chegar ao uso compassivo! Nós vamos começar a ter diversos problemas, e os pacientes somente vão ter como recorrer ao medicamento via uso compassivo. Isso é muito preocupante, porque o número de acessos e os medicamentos de acesso são muito limitados, muito poucos e insuficientes.

Muito obrigada.

Desculpa, mais uma vez, por ter passado o tempo. Tentei correr o máximo, mas são muitas mensagens para deixar.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Andreia, muito, muito obrigada pela sua participação, muito importante. Valeu a pena dar uma estendidinha.

Sabe que a gente está recebendo muita mensagem falando sobre a síndrome do nariz vazio, mas eu vou ler duas outras aqui, da Mary, do Rio de Janeiro, que pergunta assim: "Quais são os critérios específicos para além da falta de alternativas? Pacientes em estado paliativo serão abrangidos?" E também: "Tendo em vista que terapias alternativas não são baratas, esse acesso será garantido a pessoas que dependem exclusivamente do SUS?" Está jogada aí a pergunta.

Agora eu vou passar a palavra para a Defensoria Pública da União, através da Dra. Adriana Ribeiro Barbato, para fazer uso da palavra. Adriana, você está com a palavra.

A SRA. ADRIANA RIBEIRO BARBATO (Para expor. *Por videoconferência.*) - Primeiro, bem, estão me escutando? (Pausa.)

Primeiro, fazendo uma autodescrição, eu estou com óculos roxinhos, uma camiseta laranja, ainda de unhas da Copa, do jogo de ontem - não deram muita sorte, vou mudar para o próximo. E estou sentada na minha cadeira de rodas.

Agradeço à Senadora Mara Gabrilli, com quem eu já tive oportunidade de estar em alguns eventos pela Defensoria, pela instituição de reabilitação Lucy Montoro e em vários outros em que a vida acaba nos levando a ficar juntas muitas vezes. Muito obrigada mesmo.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Obrigada.

A SRA. ADRIANA RIBEIRO BARBATO (*Por videoconferência.*) - Então, eu aqui falo em nome da Defensoria. O colega Naves é um grande amigo e me permitiu também estar falando em nome... Ele me passou o convite. E agradeço a todos.

Cada história aqui é realmente motivadora. Eu não gosto muito de falar que é... É motivadora. Não gosto de falar que são exemplos. Acho que são coisas para a gente parar para pensar. Acho que todos têm luta. Acho que a luta do brasileiro costuma ser diária em todos os aspectos.

Então, muito obrigada mesmo, Senadora. É uma honra participar e escutar a gente falando a respeito de um tema tão importante.

Vou tentar falar aqui um pouco com uma visão tanto jurídica como pessoal também, porque, às vezes, a gente tem umas crises de identidade. Eu me lembro assim, por exemplo, de célula-tronco, quando teve o *boom* da célula-tronco. Foi todo mundo viajando para fora e: "Vamos fazer!" Depois vieram as células de Schwann: "Não, é melhor a Schwann. Vamos fazer! Vamos viajar!" E eu acho que a gente também tem que fazer uma coisa... Porque no Brasil a pesquisa é séria. A gente tem milhões de defeitos como país, mas a pesquisa é séria no Brasil e a gente tem gente muito boa aqui. A Dra. Tatiana é um exemplo disso.

Então, a gente tem que ver que os protocolos são importantes e têm que ser seguidos, mas quem tem problema com saúde tem pressa. Essa é uma equação que, às vezes, não fecha, porque a gente tem que ser criterioso, porque a gente está falando de saúde. A gente não pode colocar uma célula-tronco, como quando começou o *boom*, que pode se multiplicar erroneamente e virar tumor, enfim. Mas também era uma... Falando daquela época atrás, isso também era uma esperança. De repente, aquela célula você coloca em uma medula que vai restaurar, que vai restaurar... Então, tem que ter esse equilíbrio. Tem que fazer, colocar a célula certa no certo lugar, que vai se multiplicar da forma certa. E isso é difícil. E a medicina, graças a Deus, está a passos largos e corre contra o tempo, porque é vida, mas também tem que ser criteriosa, tem que ter protocolos. São muitos? Dá para diminuir? Sou advogada. Não sei. Eu gostaria de que sim. Gostaria que pudesse ser mais ágil, ser mais... Eu acho que essa parte a gente tem que respeitar, porque dá.

O Brasil é sério nisso e tem gente muito boa, muito boa mesmo. A gente tem profissionais que são exemplos. Em termos de vacina, veja o que o Brasil já desenvolveu em termos de vacina no mundo, desde a história da vacina. Então, eu acho que dar os parabéns para a pesquisa no Brasil, para os cientistas brasileiros e para a área da saúde não é pouco, não.

Falando um pouco do uso compassivo, a gente tem que, primeiro, deixar claro que a gente está falando de pacientes graves e que há risco de vida. Então, a gente está falando não de coisas que têm tempo, que estão sempre a se desenvolver, coisas

para que já existem tratamentos outros, uma coisa nova e tal. A gente está falando de vida, de doenças extremamente graves. E o outro critério é a gravidade. A gente não está falando de coisas do dia a dia; a gente está falando de coisas graves.

Segundo, já foram esgotados os protocolos padrão. Não tem mais alternativa de tratamento satisfatória pelas vias regulamentares, ortodoxas, conhecidas há milênios - tratamentos convencionais, digamos assim. Já foi esgotado.

Então, o uso compassivo é quando a gente está falando de vida e de esgotamento das vias convencionais. E a gente vê que, em muitas coisas, às vezes - isso a gente vê na história da medicina e em tudo -, desenvolvem remédio para x e, de repente, viram que teve um efeito bom para y também.

E uma coisa: tem sempre um médico por trás. Não é: "Eu, Adriana, acho que vou... quero tentar usar canabidiol para lesão medular. Não... Porque eu acho que, como deu certo para convulsão, pode dar certo para lesão. Eu, como advogada, acho isso". Não. Eu, como advogada, não tenho que achar nada sobre saúde. Eu tenho que me resguardar com bons profissionais.

Então, no uso compassivo, tem sempre uma avaliação médica de um médico responsável. Graças a Deus, no Brasil, temos bons, e temos bons no SUS; vamos deixar bem claro isso. A gente não está falando de... A gente está falando de SUS (Sistema Único de Saúde), que está aí. É uma cobertura universal, falando um pouco como advogada. Então, é grave, é risco de vida, e tem profissional habilitado por trás. E ele tem um grupo de pacientes ou ele pode ser para um grupo. Isso a gente vê e, às vezes, a gente meio que se frustra como paciente: "Ah, está sendo usado para mulher, 20 anos, com no máximo cinco anos de desenvolvimento da doença ou da lesão". Daí você fala: "Putz, eu tenho oito anos, já passei dos meus 30 anos, não estou no grupo". Mas a gente tem que entender que, para chegar em mim, precisa ter aquele estudo inicial fechado, para conseguir desenvolver ao máximo para, depois, abrir para todos: para as mulheres, para os homens, para 10 anos, 30, 40, 50, 60, enfim... A gente tem que saber que esses protocolos são importantes. São importantes para ver efeitos colaterais, são importantes para ver sucesso da terapia, do medicamento, para poder tornar esse uso expandido.

Então, eu vejo muito, às vezes, como advogada, na Defensoria, o desespero de pais de pacientes a quem, às vezes, a mídia nem sempre ajuda muito, porque faz um *boom* com alguma coisa e, de repente, todo mundo quer, e começa a entrar, a chover ação judicial. E, às vezes, sem muito respaldo médico, clínico. "Ó, deu certo." Infelizmente, a medicina tem que ter um pouco mais de... O desenvolvimento da pesquisa precisa, às vezes, ser fechado inicialmente para ser aberto depois para todos.

Então, eu me vejo, às vezes... Eu converso muito com o juiz e falo: "Poxa, como você consegue negar uma coisa?". Ele fala: "Dri, pelo amor de Deus, como é que eu vou liberar para uma criança, mas só foi testado em adulto? E tem pareceres que, às vezes... Pode ser que, para uma criança que tem um organismo que ainda não foi desenvolvido totalmente, aquela droga possa ter efeito pior, possa ser letal. Eu preciso de um embasamento médico seguro porque eu não posso colocar a vida... Eu sou juiz, eu não sei, não posso simplesmente dar uma liminar de saúde, dizendo: 'Pode operar e colocar um implante x que só foi colocado em alguns' para uma criança que ainda não tem organismo formado ou que está muito debilitada. Eu preciso de um fundamento médico, então não basta". Então, essa parte... Às vezes, no jurídico, a gente até tem uma base, mas e a parte médica, como fica? Então, eu queria aqui colocar que essa parte de uso compassivo tem que ter, realmente, autorização, tem que ter uma avaliação médica. E quero deixar, assim, meu respeito a essa parte de pesquisa no Brasil, e gostaria muito que não partisse de mim, mas de todos os órgãos, que agilizassem o máximo, respeitassem e dessem o crédito. É o que foi dito aqui por todos os pais - e eu vejo minha mãe e meu pai nessas horas, quando eu fiquei doente -, que: "Quando tem vida, tem pressa", mas essa pressa tem que ser com responsabilidade. Por isso que a gente espera que os órgãos possam agilizar o máximo todos os processos, mas sempre respaldados com critérios científicos, sempre respaldados nas evidências e nos estudos, e que a gente consiga cada vez mais continuar deslanchando para que existam cada vez mais curas para as coisas mais raras, tratamentos que amenizem dor e que amenizem sofrimento. Porque eu acho que, no fundo, a gente quer ver as crianças lindas aí nas fotos, cada vez mais alegres, felizes, ver os pais com menos sofrimento pela dor do filho.

Mais uma vez, quero agradecer, em nome da Defensoria, em nome da Adriana, defensora, cadeirante, paciente e cidadã, porque eu acho que espaços como esse só valorizam a cidadania, e que a gente tenha um SUS cada vez mais forte, com cada vez mais mentes brilhantes, como a gente tem. Muito obrigada mesmo pela oportunidade. Senadora Mara, que a gente continue se encontrando em debates tão importantes para um país com uma cidadania cada vez mais forte.

Muito obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Adriana, superobrigada. Obrigada pela participação e obrigada por estar sempre nos acompanhando, sempre tendo... Assim, para mim, é uma honra ter a Defensoria Pública da União sempre colaborando com os nossos trabalhos. Obrigada pela sua visão, porque ela abrange vários papéis aí.

Agora eu quero passar a palavra para a Dra. Tatiana Coelho de Sampaio, Professora e Pesquisadora da UFRJ - nossa musa nesta audiência.

Muito obrigada pela sua participação, Tatiana.

Você está com a palavra.

A SRA. TATIANA COELHO DE SAMPAIO (Para expor. *Por videoconferência.*) - Boa tarde a todos. Eu queria agradecer muito o convite para estar aqui, à Senadora Mara Gabrilli e aos outros Senadores que organizaram esta audiência pública.

Eu acho que eu me preparei para falar uma coisa, mas eu acho que uma das grandes vantagens desta audiência pública é que a gente discute de verdade, né? Eu estou aqui, eu cheguei com algumas ideias e elas já mudaram. Então, eu não sei o que eu vou falar exatamente.

Eu vou tentar colocar algumas ideias aqui, porque, na minha cabeça, está tudo mudando, porque eu queria dialogar com cada um de vocês aqui. O meu desejo era de poder ficar muitas horas falando com cada um, porque, pelo que eu estou percebendo, nós estamos todos aqui dispostos a questionar as coisas que a gente pensa e a ter opiniões melhores e talvez mais... Eu ia dizer produtivas, mas eu não quero dizer produtivas, não, que é uma palavra feia, mas mais importantes e mais significativas e que ajudem a gente a avançar mais.

Então, primeira coisa, eu acho que os relatos da Aline e do Ricardo foram muito emocionantes, porque, assim, a minha realidade é muito diferente da maioria de vocês. Vocês estão acostumados, ou têm mais a vivência de lidar com vários casos e várias doenças, e pensar sobre isso. E essa experiência para mim é muito nova, porque eu não sou médica, eu sou uma pesquisadora de laboratório, eu passei a minha vida protegida dentro de um laboratório, trabalhando com moléculas e coisas que não tinham esse impacto da realidade batendo na sua porta, pedindo providências e posicionamentos. Então, os meus posicionamentos nessas questões sempre foram teóricos. Quer dizer, eu penso como cidadã, de um modo geral, mas essa realidade da necessidade de se tomarem decisões, de se avaliar esse tipo de postura são coisas que nunca participaram da minha rotina - isso para mim é novo, tá?

Então, eu queria dizer para vocês que eu começo a refletir sobre essas questões há um tempo mais recente, que foi o tempo não da polilaminina em si, que foi essa proposta de medicamento que a gente está desenvolvendo, que isso eu já faço há muito tempo, mas de confrontar com as pessoas realmente que estão, por conta da divulgação grande que houve na mídia, que não foi, vamos dizer assim, uma decisão... Em nenhum momento, eu imaginei que isso fosse acontecer, principalmente no tempo em que está acontecendo, com o impacto e com o alcance que está acontecendo.

Assim, tudo isto para mim é novo e inesperado: a resposta das pessoas, a resposta da sociedade. Eu não acho que tenha sido uma estratégia, ou uma coisa que a mídia quis fazer e teve um plano. Eu acho que não foi um plano, eu acho que esse fenômeno da divulgação desse trabalho que a gente está fazendo da polilaminina aconteceu, e isso encontrou uma resposta na sociedade que é surpreendente para todos, inclusive para mim. Então, eu não imaginava que eu seria uma musa, de nenhuma forma, há muito pouco tempo. (*Risos.*)

Mas, de alguma forma, isso reverberou, encontrou um acolhimento nas pessoas, uma vontade de falar sobre isso. Eu acho que tem a ver com o fato de as doenças raras serem mais raras. Quando a pessoa não conhece alguém, não faz parte da vida dela, da realidade dela... Mas a lesão medular é mais comum e acontece para muitas pessoas, e é muito dramático, porque geralmente acomete pessoas muito jovens com efeitos muito rápidos. Então, aquela pessoa que num dia tinha uma vida normal, tinha tudo, não tinha nenhuma restrição, de um dia para o outro, perde tudo e tem que construir uma vida nova. Então, isso é uma coisa que eu acho que assusta muito as pessoas porque pode acontecer com qualquer um. Então, eu acho que é por esse motivo que isso chama tanta atenção e desperta tanto o interesse da sociedade como a gente tem observado, como eu tenho observado agora. Essa é a minha interpretação do que está acontecendo. Eu não sei necessariamente se é isso mesmo, mas, enfim, é o que eu imagino.

O que eu queria falar e tentar dialogar mais diretamente é, primeiro, com relação à questão que a Andreia levantou de que o uso compassivo é uma oportunidade de excepcionalidade. Então, existe, vamos dizer assim, um sistema em que a gente tem novos medicamentos que precisam ser testados e que estão submetidos a regras regulatórias. Mas, ao mesmo tempo, existe uma premência, uma urgência das pessoas que precisam e que têm o desejo de fazer uso desses medicamentos, e essas duas coisas se conflitam.

Mas existe um processo. Eu não concordo com a construção da frase de que precisa ser seguido. Eu acho que existe um processo que costuma ser seguido e que tem justificativas. Mas, se ele precisa necessariamente ser seguido da forma como sempre o foi, para mim, é uma questão que não é necessariamente verdadeira. Eu acho que a gente pode mudar as coisas,

sempre se pode mudar desde que a gente, de uma forma responsável e aberta, questione coisas que sempre foram feitas de uma maneira. Eu acho que elas podem deixar de ser feitas dessa maneira e passarem a ser feitas de outra.

Mas eu acho que, independentemente disso, existe essa questão da excepcionalidade. Então, eu acho que o uso compassivo é uma oportunidade de se avaliar as questões de uma forma excepcional. Quer dizer, existe um processo, a gente pode tentar mudar isso de uma maneira. Isso é mais lento, mas existe também uma oportunidade de se trazer a excepcionalidade, porque existem casos em que isso é gritante. Então, no caso que a Aline trouxe, é óbvio que alguém tinha que ver que aquela era uma situação excepcional, entendeu? Alguém tinha que poder identificar essa situação excepcional e agir para que a resposta fosse dada de uma forma mais rápida, porque isso teria um impacto imenso no resultado. Então, eu acho que a gente precisa ter a noção de que é fundamental ter janelas de excepcionalidade, e o uso compassivo eu acredito que seja uma dessas janelas, eu acho que ele precisa continuar existindo.

Eu acho que talvez a RDC 38, que existe hoje, foi uma abertura grande. Ela é uma abertura muito grande, mas talvez precise ser rediscutida, e esta reunião seja uma oportunidade de a gente colocar isso em questão. Eu acho que a gente pode... A gente, não; a nossa sociedade pode melhorar, e eu acho que é uma coisa que é importante.

Aí eu vou passar para o caso específico da polilaminina. A RDC, como ela existe hoje, traz a oportunidade da excepcionalidade. E não existe na RDC uma restrição específica. Ela não traz, no seu texto, uma restrição de que o uso compassivo precise seguir critérios de inclusão de um estudo clínico. A RDC diz que um novo medicamento, que está em teste, poderá ser usado em pacientes fora do estudo clínico. Então, não existe nenhuma obrigatoriedade para que se sigam os critérios de inclusão do estudo clínico em questão. Eu acho que, no caso específico da polilaminina, isso tem sido colocado, quer dizer, a Anvisa passou a exigir que sejam seguidos critérios de inclusão, sendo que a RDC não diz isso. Então, é um critério que foi colocado agora e que eu acho que, no caso específico, não se justifica, porque isso está restringindo o acesso, restringindo de uma forma que não tem, eu acho, nenhuma justificativa. Eu acho que isso pode ser mais discutido, mas eu acho que não existe razão para se impor uma restrição sem que haja um motivo para isso. Então, no caso específico, é isso.

Agora, se a gente abrir mais a janela, sair do caso específico da polilaminina - e aí tentando dialogar um pouco com a fala da Adriana -, o que eu percebo, na fala da Adriana, é uma confiança imensa na capacidade, na devoção e na entrega dos médicos, cientistas, especialistas e todo mundo que está envolvido nesse processo e que tem o conhecimento. Eu acho que isso é uma coisa muito bonita de se ver e admirável, mas uma coisa que eu queria colocar é o seguinte: os médicos, os especialistas, os cientistas não têm as respostas. Então, seria muito bom se a gente tivesse um médico, um cientista que pudesse dizer "Isso aqui é certo, isso é errado, isso é verdade, isso é mentira", mas não tem isso. A gente tem que lidar com o fato de que quase ninguém sabe quase nada. Essa é a realidade, entende? Então, a gente não pode se esconder atrás... "A gente", que eu quero dizer assim, agora estou falando com o chapéu de cientista... A gente não pode se esconder atrás da falsa expectativa de que a gente sabe a resposta, porque a gente não sabe. A gente pode saber um pouquinho mais, mas a gente não sabe de tudo. Essa dúvida que angustia todo mundo também está na gente - "na gente", agora estou falando como cientista. A gente não sabe tudo. Seria maravilhoso se a gente soubesse, mas a gente não sabe. Então, *(Falha no áudio.)* a dúvida está dentro da pessoa que precisa, está dentro do legislador, está dentro do juiz, está dentro do promotor, do defensor, do médico e do cientista. Todo mundo tem a dúvida.

Eu acho que essas questões que envolvem essa interface, nesse choque entre, vamos dizer assim, a ciência e a especialidade, e a vida real, a necessidade e a premência, essas questões não podem ser debatidas apenas por especialistas. Essas questões têm que ser debatidas por toda a sociedade, têm que ser debatidas por todo mundo. E a gente tem - eu acho - que criar esses espaços de debate, porque, em primeiro lugar, também, enquanto cientista ou enquanto médico, a gente pode dar mais, sim, a gente pode explicar melhor, a gente pode compartilhar muito mais o conhecimento com a sociedade do que a gente normalmente faz.

Então, assim, a gente pode, sim, e a sociedade tem que cobrar isso, porque não adianta dizer assim: "Ah, não, vamos ver o que o fulano disse, o que o sicrano disse". Infelizmente não são oráculos, são pessoas que têm um conhecimento um pouco mais profundo, mas que não têm o poder de decidir, porque elas não têm o conhecimento da verdade. Então, essa verdade, a qual nenhum de nós tem acesso, surge do embate entre o pensamento e o sentimento talvez de todos, e a gente tem que assumir isso, sabe? A sociedade tem que debater, sim, a gente tem que ter espaços, comissões e comitês que tragam pessoas que têm os problemas, que têm as dificuldades, com pessoas que são especialistas, com pessoas que buscam soluções, com políticos, com juízes, com advogados, todos juntos, para que a gente chegue a posicionamentos mais próximos do que seria não sei se a verdade, mas a uma melhor solução.

Então, assim, não acho que a gente precise necessariamente continuar fazendo as coisas do jeito que sempre fez. Eu acho que a gente pode mudar tudo - não necessariamente tudo, mas pode mudar muita coisa. E uma das coisas que eu acho

que é muito importante que a gente melhore é abrir mais o acesso da sociedade ao conhecimento que existe tanto no meio médico quanto no meio científico. E a sociedade tem que cobrar mais, porque, assim, todo mundo tem o direito de entender, e a gente pode explicar muito mais. A gente, como cientista, pode explicar muito mais. E a verdade ou o melhor posicionamento eu acho que vai surgir dessa convivência, desse debate entre toda a sociedade, porque só os seres humanos podem resolver essas questões, só a competência coletiva dos seres humanos é que pode chegar a uma solução que não vai ser perfeita, mas que vai ser a melhor que a gente pode dar.

Então, essa que é a minha opinião sobre a discussão geral.

Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Tatiana, superobrigada por ter nos ouvido com tanta atenção, cada um dos convidados, e até por refazer o seu roteiro aqui. Obrigada muito pela sua participação.

E agora eu quero passar a palavra também para a Dra. Mayana Zatz, que é Professora e Pesquisadora da USP, nossa parceira de longa data.

Mayana, você está com a palavra.

A SRA. MAYANA ZATZ (Para expor. *Por videoconferência.*) - Só um segundo, porque eu quero abrir o vídeo aqui. *(Pausa.)*

Pronto, vocês estão me vendo?

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Não.

A SRA. MAYANA ZATZ (*Por videoconferência.*) - Não?!

Espere um pouco. *(Pausa.)*

E agora?

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Agora sim.

A SRA. MAYANA ZATZ (*Por videoconferência.*) - Bom, primeiro eu queria te agradecer muito pela iniciativa e a quem está participando. Acho fundamental essa discussão.

Eu queria aproveitar a presença do Claudiosvan e da Meiruze, que também acompanharam as nossas pesquisas e têm nos ajudado muito.

Bom, eu vou falar como cientista que trabalha com duas - várias doenças -, mas duas delas que são certamente letais: a primeira são pacientes que têm tumores cerebrais - e que não têm alternativa terapêutica - que são 100% letais; e o outro grupo de doenças são as distrofias musculares, a forma de Duchenne, que também é uma doença degenerativa sem alternativa comprovada.

E se falou aqui de janela terapêutica e de segurança. Então, eu queria só dar um exemplo com o vírus da zika. Nós descobrimos que o vírus da zika pode ser um aliado muito importante para destruir tumores cerebrais. Nós estamos trabalhando nisso e tivemos uma experiência, há cerca de dois anos, de uma criança que estava morrendo, já estava em coma, e o pai entrou com o mandado de segurança, pedindo para a gente injetar o vírus da zika nessa criança. Ela estava já em coma. Eles conseguiram uma jurisprudência, nós injetamos a primeira vez, e o protocolo pedia para a gente injetar três vezes, mas não foi permitido que ela tivesse a segunda e terceira injeções e, infelizmente, essa menina foi a óbito.

Então, nós estamos falando de tratamentos que ainda não são aprovados clinicamente, mas já são aprovados cientificamente em modelos animais.

O outro exemplo é a distrofia de Duchenne, para a qual já tem um tratamento que foi aprovado pela FDA e que, infelizmente, não está dando bons resultados, e custa a bagatela de US\$3 milhões por criança. Então, não tem paciente que consiga pagar e nem serviço de SUS que consiga pagar esses valores.

Então, o que eu queria defender aqui é que se pudesse dar mais crédito a pesquisas que talvez ainda não estejam regulamentadas, mas que o paciente... São doenças certamente letais, para as quais não existe alternativa terapêutica. E eu acho que a gente deveria... Então, nesse sentido, o que eu defendo é que se dê mais autonomia ao paciente, mais autonomia aos pais quando é o caso de uma criança.

Então, eu vi que saiu recentemente uma portaria, uma lei nova, que se chama DAV, que se traduz por Diretivas Antecipadas de Vontade. Esse documento assegura ao paciente a realização de seus desejos previamente manifestados por escrito, o que valoriza o princípio da autonomia da vontade. Então, eu acho que é uma lei extremamente importante, mas eu acho que ela poderia ser expandida, no sentido de dar mais autonomia a um paciente, mais autonomia aos pais quando não têm alternativa, e com celeridade.

Então, a gente sabe, por exemplo, que tumores cerebrais avançam de uma maneira muito rápida, e o paciente não tem tempo de esperar. Eu acho que ele deveria ter autonomia de poder dizer: "Não, eu quero fazer um tratamento experimental. Eu não quero morrer em vão; eu sei com certeza que eu vou morrer, mas eu não quero morrer em vão."

Da mesma maneira, por exemplo, o uso do zika. Eu acho que a Anvisa tem uma preocupação muito importante com segurança - e eu concordo que isso é extremamente importante -, mas vamos dar o exemplo do zika vírus: milhares e milhares de pessoas foram infectadas no Nordeste durante a pandemia, e a gente sabe que o zika vírus - muito diferente da covid - não causa nada, a não ser em mulheres grávidas. Então, eu acho que isso teria que ser levado em consideração para ter uma celeridade na aprovação de novos protocolos.

Então, é isso que eu queria defender - eu não vou passar dos meus dez minutos -, mas o que eu realmente acho importante é que essa lei possa ser expandida, dando mais autonomia ao paciente, principalmente quando você tem uma doença letal, irreversível: você tem uma curta janela de oportunidade, e onde não tem tratamento alternativo.

Então, era esse o meu recado, e muitíssimo obrigada de novo.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Ô, Mayana, muito obrigada pela sua participação. Você é incrível!

Eu vou passar... *(Pausa.)*

Eu vou passar a palavra agora para o Dr. Alcindo Cerci Neto, que é Conselheiro Federal, pelo Estado do Paraná, do Conselho Federal de Medicina.

O SR. ALCINDO CERCI NETO (Para expor. *Por videoconferência.*) - Boa tarde. Estão me escutando?

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Estamos. Parece que está bom o som.

O SR. ALCINDO CERCI NETO (*Por videoconferência.*) - Está bom o som?

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Está bom.

O SR. ALCINDO CERCI NETO (*Por videoconferência.*) - Está bom, então.

Primeiro, eu queria dizer que é um prazer poder estar aqui e contribuir de alguma forma.

(Intervenção fora do microfone.)

O SR. ALCINDO CERCI NETO (*Por videoconferência.*) - Agradeço o convite... Oi? *(Pausa.)*

Agradeço o convite da Senadora Mara Gabrilli, do Senador Flávio Arns também. E eu tinha preparado uma apresentação, mas num direcionamento um pouco diferente das falas anteriores, então eu não vou apresentar o que a gente tinha preparado, que era uma questão exclusivamente sobre tratamento compassivo - nossa visão de tratamento compassivo -, e vou seguir o que eu ouvi aqui nas falas anteriores, nas últimas duas que eu pude acompanhar, já me desculpando por não estar aqui desde o início, mas eu estava em deslocamento e não consegui chegar a tempo para poder entrar antes. Mas o Conselho Federal de Medicina sempre está à disposição para contribuir - sempre! -, sempre quando é chamado.

Eu queria iniciar minha fala dizendo, na verdade, por que nós estamos aqui, o Conselho Federal de Medicina. O conselho, como todos sabem, ele é um órgão, uma autarquia federal especial, que disciplina o trabalho de aproximadamente 660 mil médicos que nós temos no país, incluindo a questão da prescrição médica - do que se pode prescrever, do que não se pode prescrever, dos parâmetros prescritivos -, e ele disciplina, então, e normatiza essas condutas médicas, inclusive questões associadas à compassividade ou tratamento compassivo.

E como que a gente faz a nossa atuação? Ela tem dois pilares muito importantes que se subdividem. O primeiro pilar é a ciência, e eu acho que o método científico é importante. O método científico é importante, justamente porque ele precisa dividir o que é emoção do que é razão, principalmente na escolha de terapias. E o paciente, embora tenha autonomia

plena - e nós buscamos isso -, nem sempre domina a parte científica. Então a gente precisa ser cuidadoso em relação às informações que a gente passa para esses pacientes, no que eles acreditam e no que eles buscam.

E o método científico se coloca como algo rigoroso, justamente para que a gente possa, de alguma forma, separar um pouco o que tem em termos de razão e razoabilidade de termos de emoção. E é claro que as coisas se misturam, e a gente precisa lidar com isso, mas é importante que o método científico seja respeitado e aplicado de forma adequada com - claro - certos limites.

E a gente já teve um histórico prévio na sociedade internacional de algumas questões, inclusive envolvendo médicos, que foram feitas em prol do desenvolvimento da ciência sem se observar o método científico e que mancham a história da humanidade, que eu não vou citar aqui para os senhores, porque não é o caso, mas a gente precisa ser cuidadoso. Eu, aqui, de nenhuma maneira, estou individualizando esta fala; estou falando de maneira mais genérica.

Em segundo plano, além do pilar científico, nós temos o pilar bioético. O nosso pilar bioético é muito importante e acaba, de alguma maneira, gerando um pouco de conflito, inclusive com o método científico. Vivemos isso na pandemia, por exemplo, quando se discutiu bastante, no tratamento da covid, a questão de dois termos bioéticos muito significativos, que são o princípio da beneficência e o princípio da não maleficência.

Para quem não conhece esses termos, o princípio da beneficência diz que o médico deve fazer ao seu paciente algo que lhe cause o bem; e o da não maleficência diz que o médico, a despeito de um seu entendimento no qual ele não sabe nada ou sabe muito pouco e de que a morte é uma consequência natural da vida, não deve fazer tratamentos que prolonguem a morte e que não tragam reais benefícios para a vida, evitando-se, assim, o sofrimento e entendendo que a regulação da morte é algo natural, é algo que vem; e a gente também trabalha bastante com esse princípio em relação aos tratamentos de final de vida.

Inclusive, as diretivas antecipadas de vida foram uma iniciativa do próprio Conselho Federal de Medicina, no qual a gente respeita um outro pilar bioético muito importante, que é a autonomia do paciente, além do princípio da justiça. A autonomia do paciente é extremamente importante e cara para nós médicos e para o Conselho Federal de Medicina.

Então vejam que nós temos princípios aqui que acabam, de alguma maneira, se conflitando com a questão do tratamento compassivo, que são: aceitar a terminalidade da vida e, ao mesmo tempo, incluir na prática médica os princípios de não maleficência e de beneficência. Inclusive, o tratamento paliativo, o tratamento de final de vida, é extremamente importante e hoje faz parte, inclusive, do Sistema Único de Saúde, como uma política prioritária dentro dele.

E onde é que entra o tratamento compassivo?

Eu peço aí que vocês vejam o meu tempo, porque eu sou meio atrapalhado com o tempo, tá? Eu acho que são dez minutos que eu tenho - é isso, né? (*Pausa.*)

Dez minutos. Tá.

Então, o que é o nosso conceito de tratamento compassivo? É quando aquele paciente especial, ou seja, aquele paciente que não tem alternativa do seu tratamento vai usar uma terapêutica de caráter excepcional em um prognóstico extremamente grave, mas sabendo-se que aquele tratamento não causa mal, que não interfere no princípio da maleficência.

Então, não é qualquer medicamento que se define como tratamento compassivo; tem que ter alguns princípios e tem que ter uma razoabilidade técnica nos seus princípios. Não é só falar que casca de laranja faz bem para melanoma que vamos utilizar casca de laranja. Tem que ter uma razoabilidade clínica que se aplique àquele tratamento, em que, embora a evidência científica dele ainda não seja conhecida, o paciente tem essas quatro questões clínicas associadas: a excepcionalidade, a razoabilidade clínica, a ausência de outros tratamentos, o princípio da não maleficência sendo seguido e um prognóstico extremamente grave.

Eu não vou entrar em detalhes, mas a gente precisa diferenciar o que é um uso compassivo, o que é um uso de medicamento ou de terapia em pesquisa clínica regulada e o que é um uso *off-label* de um medicamento que já existe. São três coisas diferentes que, às vezes, a gente confunde com tratamento compassivo.

Medicamento *off-label* que já existe, como, por exemplo, a hidroxicloroquina, que foi utilizada para a covid - não estou entrando no mérito de se é bom ou ruim -, isso é um tratamento *off-label*. Se o paciente é grave e você utiliza, como foi utilizado lá no começo, a colchicina, que não tem razoabilidade clínica nenhuma para tratar, isso seria um tratamento compassivo, porque não preenche o critério do medicamento aprovado especificamente, para um uso clínico específico. Então, existem diferenças em relação a essas questões que a gente levanta.

Mas vejam: um problema que nós temos e sobre o qual a sociedade, de fato, precisa refletir é até aonde a gente quer chegar para ter uma evidência científica, e eu explico o porquê. Existem restrições éticas muito importantes, não é uma restrição

ética do CFM, é uma restrição ética internacional, para alguns tipos de estudo. Então, de fato, quando nós temos uma terapia que já é boa, é difícil a gente fazer estudos clínicos com...

Já? Meu Deus! Está bom.

É difícil a gente fazer terapias clínicas com determinado medicamento.

Então, o que eu quero dizer com isso? É que nem sempre nós vamos ter evidência clínica - é verdade -, nem sempre a gente vai ter o maior e mais aceitável grau possível de evidência. A questão é: nós vamos permitir que, nesses casos, pacientes, utilizando a sua autonomia, submetam-se a um tratamento de que ainda a gente não sabe o efeito, sob a égide de ser compassivo, sem saber o resultado futuro que vai ter para esse paciente? Sem saber se vai causar dor ou sofrimento? Ou se vai, de fato, evitar uma vida... ou diminuir uma deficiência?

Isso, de fato, é algo com que eu concordo. Eu não concordei com tudo o que a Profa. Tatiana falou, mas isto é, de fato, algo que a gente precisa discutir: até que ponto nós, sociedade, queremos ir nessa questão de tratamentos de que nós não temos evidência clínica, científica, em que a gente ainda não sabe o que vai acontecer.

Claro que autonomia é importante, autonomia respeita-se, podemos antecipar a autonomia de vontade do paciente de querer se submeter ou não, mas isso tem que ser um processo regulado e cuidadoso, porque senão a gente pode cometer os mesmos erros que nós cometemos no passado com algumas terapias que nós utilizamos e que acabaram, inclusive, gerando danos para descendentes de pacientes, terapias de DNA, terapias avançadas. Então, a sociedade precisa, de fato, discutir isso.

Eu não tenho mais tempo para falar. Eu tinha mais coisa aqui, mas eu fico à disposição depois para debates, para me manter dentro do tempo, e peço desculpa se eu desviei, mas eu estava pensando em outra questão, mais de definição, e, quando ouvi as falas, eu acabei direcionando para esse tipo de debate.

Muito obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Dr. Alcindo, muito obrigada pela sua participação, pelos seus questionamentos.

Eu quero passar mais perguntas que vêm chegando do e-Cidadania. Vou aproveitar a Dra. Meiruze e o Dr. Claudiosvam. Quem sabe eles também nos ajudem a responder?

A Loize, do Mato Grosso, pergunta assim: "Quais evidências mínimas devem ser exigidas para liberar uma terapia experimental?"

O Eduardo, de Rondônia, pergunta: "Quais mudanças podem ampliar o uso compassivo sem comprometer critérios científicos e éticos?"

A Renata, do Distrito Federal, pergunta: "Desigualdades regionais não [...] [poderiam] impedir acesso a terapias experimentais para pacientes terminais". Ela está considerando que as desigualdades regionais impedem, sim, o acesso a terapias.

E eu tenho uma coleção de perguntas, principalmente de São Paulo, sobre a síndrome do nariz vazio, porque pessoas com essa síndrome estão participando dessa audiência.

Eu quero passar agora a palavra. Convido a Dra. Meiruze Sousa Freitas, que é Coordenadora da Instância Nacional de Ética em Pesquisa do Ministério da Saúde, para apresentar suas considerações.

Você está com a palavra, Dra. Meiruze.

A SRA. MEIRUZE SOUSA FREITAS (Para expor. *Por videoconferência.*) - Obrigada, Senadora Mara Gabrilli, é um prazer revê-la.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP) - É um prazer.

A SRA. MEIRUZE SOUSA FREITAS (*Por videoconferência.*) - Por muito, estivemos discutindo e acompanhando aí a superação do Brasil na pandemia de covid-19, a essa época na cadeira como Diretora da Anvisa, e é uma honra estar aqui hoje, nesta audiência liderada pela senhora.

Na sua pessoa, eu cumprimento todos os Parlamentares, cumprimento os representantes dos pacientes, cumprimento as pesquisadoras e os demais debatedores.

Quero dizer da relevância desse painel e dessas discussões, que vai muito além; de movimentar todo o nosso apelo, especialmente os profissionais de saúde, que atuam, nas suas diferentes vertentes, em prol da vida, em prol da proteção dos participantes de pesquisa, em prol da proteção dos pacientes.

Acho que é merecido fazer um pequeno recorte da aprovação no Brasil da Lei 14.874, exatamente de maio de 2024, que institui ali a nossa primeira lei, no ordenamento jurídico brasileiro, para pesquisas com seres humanos. Entre elas, há as pesquisas clínicas, consideradas um avanço do ponto de vista da segurança jurídica do Brasil, na área de pesquisas.

Quero chamar a atenção sobre a regulamentação, sobre um decreto presidencial dessa lei, o Decreto 12.651, de outubro de 2025, um decreto editado pela Presidência da República do Brasil, regulamentando a Lei 14.874. Com isso, com a regulamentação da lei, institui-se no Brasil o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa, composto pela Instância Nacional de Ética em Pesquisa e pelas instâncias de análise ética.

À instância de análise ética é dada, por esse diploma legal, a competência da avaliação ética das pesquisas com seres humanos, especialmente com autonomia dada às instâncias nacionais de avaliação ética em pesquisa. Dá-se à Instância Nacional de Ética em Pesquisa (Inaep) a competência de documentar, de fiscalizar, de acreditar e de credenciar os comitês de ética no Brasil e também apoiar na sua capacitação. Lembro ali da responsabilidade dessa Instância Nacional de Ética em Pesquisa, enquanto ditar as diretrizes para a condução de pesquisas com seres humanos no Brasil, fazendo o recorte da ética, especialmente da bioética, com as competências complementares, especialmente dos ensaios clínicos que envolvem novas tecnologias de saúde e destacadamente medicamentos ou dispositivos médicos, com a autoridade sanitária do Brasil, a Anvisa.

Então, fazendo esse recorte, é importante também circundar que tanto a Lei 14.874 como o próprio decreto se fundamentam em princípios da proteção, especialmente na condução de pesquisas no Brasil e também nos princípios bioéticos aqui já citados, acrescidos do princípio da justiça, do consentimento livre esclarecido e especialmente o da avaliação benefício-risco para participar de uma pesquisa.

Nesse contexto, o uso compassivo vem no bojo de produtos que estariam realizando pesquisas com seres humanos no Brasil, especialmente pesquisas clínicas. Um dos princípios basilares para a condução e para a utilização de produtos em seres humanos é você conhecer e garantir - especialmente antes de iniciar as fases clínicas 1, 2 e 3 - o maior conhecimento possível desse produto quanto às avaliações pré-clínicas e não clínicas, garantindo ali um perfil de segurança a partir de estudos em modelos não humanos, em animais, em outros modelos que hoje já são muito comuns, utilizando ferramentas de organoides, ferramentas de inteligência artificial, para que se possa avançar para estudos em humanos.

É sabido por todos que, na primeira fase, basicamente, você vai avaliar o perfil de segurança desses produtos. Em muitas situações, quando a gente se depara com produtos em que se tem questões características da doença, especialmente relacionadas a vazios terapêuticos e a riscos também relacionados a esse produto, seja de toxicidade, como, por exemplo, os medicamentos citotóxicos e os genotóxicos, que são muito mais comuns e utilizados na oncologia, por vezes, esses primeiros estudos, que inicialmente seriam utilizados em participantes voluntários sadios, migram para participantes com a doença. Nesse sentido, o próprio Decreto 12.651, que regulamenta a lei, traz como uma diretiva de prioridade para o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa a avaliação de pesquisas de forma prioritária, no âmbito ético, de pesquisas, por exemplo, para esses vazios terapêuticos que nós temos, incluindo as doenças raras ou as doenças de alta mortalidade - alta morbidade -, em que você normalmente não tem outra proposta terapêutica para aliviar as dores ou mesmo melhorar a qualidade de vida dos pacientes e até a remissão da doença.

Essas considerações estão também atreladas a esses princípios bioéticos. Ainda que o paciente tenha o direito, na sua autonomia, de estabelecer ali o seu consentimento para exposição a produtos, esses princípios devem ser balizados sempre com os dados científicos que balizam a utilização desse produto - ainda experimental - nas pessoas. Não perpassa só pelo direito da pessoa de se disponibilizar a participar do estudo ou até mesmo de utilizar o produto de forma consentida. Então, esse basilar da bioética vem no sentido exatamente de proteger o participante de pesquisa.

Então, em que pese a instância nacional de ética em pesquisa não atuar nas diretrizes do uso compassivo, a premissa básica da proteção - da proteção ao participante - é o conhecimento científico suficiente para que, no caso do médico, ele vá utilizá-lo para o uso compassivo, e ele parta de princípios científicos bem estabelecidos e conhecidos para a utilização da terapia como uso compassivo.

Soma-se a isso - além da avaliação benefício-risco, da questão da não maleficência, da beneficência, do princípio da justiça - a necessidade de dar ao paciente a total informação, a clareza, a transparência da condição daquele produto, no âmbito do conhecimento científico até então, sobre a sua utilização. É muito importante que essa informação seja clara e que essa informação não seja omitida, mas ela tem que estar sustentada nas melhores evidências científicas disponíveis.

Então, por vezes, especialmente os médicos adotam essa estratégia como estratégia para salvar vidas. Não há outra alternativa terapêutica, e o médico usa essa estratégia baseado também num consenso - num consenso, normalmente, de um comitê médico, que apoia também a utilização do uso compassivo, sempre esteado na ciência, na proteção, na avaliação benefício-risco e na possibilidade de fazer-se essa intervenção com os riscos inerentes a um produto experimental.

No Brasil, nós precisamos realmente avançar ainda mais neste debate, trazer mais clareza, trazer a sociedade, encurtar etapas, mas sempre encurtar dentro do princípio da segurança.

É um prazer estar aqui. Eu me coloco à disposição e ficarei aqui para o debate, de forma que a gente ganhe tempo e possa seguir neste debate público.

Muito obrigada, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*) - Obrigada, Dra. Meiruze. Saiba que a gente estava até comentando na nossa equipe que foi inesquecível a sua luta pela vacina durante o covid. Guardo no coração todo o seu empenho e estou muito feliz por você estar aqui hoje.

Agora eu passo a palavra ao Claudiosvam Martins Alves de Sousa, que é Coordenador de Pesquisa Clínica em Medicamentos e Produtos Biológicos da Anvisa.

Claudiosvam - os últimos, muito importantes -, você está com a palavra.

O SR. CLAUDIOSVAM MARTINS ALVES DE SOUSA (Para expor. *Por videoconferência.*) - Muito obrigado, Senadora Mara Gabrilli.

Muito obrigado pelo convite, agradecimento que estendo a todos os signatários desta audiência tão relevante, tão importante. É uma honra, é um prazer estar aqui discutindo - e desde já cumprimento todos os debatedores - um tema tão relevante, tão importante.

É aquele velho jargão: o bom de ser o último é que já se falou quase tudo, então a gente fica só com algum arremate.

Bom, nós estamos falando aqui, na verdade, de formas de acesso a medicamentos, de acesso a tratamentos. Isso para chegar à origem do uso compassivo, do acesso expandido, do fornecimento pós-estudo. Então, no mundo inteiro, tem alguns mecanismos de excepcionalidade para acesso a tratamentos. E de onde surge isso?

A nossa lei de 1976, a Lei 6.360, que é a da vigilância sanitária de produtos, e também a Lei 5.991, de 1973, dizem o seguinte: nenhum produto pode ser industrializado, exposto à venda ou fornecido ao consumo sem antes ter o seu registro pelo Ministério da Saúde. Então, o produto só poderá ser de fato consumido, entregue - o medicamento, o tratamento -, se tiver o registro. Isso é o geral que dizem as Leis 6.360 e 5.991.

Bom, quais são os outros mecanismos para acesso quando não se tem o registro?

A gente pode ver, observar, por exemplo, resgatar aqui uma discussão que o próprio STF fez recentemente sobre o Tema 500. E aí, sob a égide pública, o STF falou: o Estado não é obrigado a fornecer um medicamento que não tenha registro, exceto em algumas condições muito específicas, quando já se tem o pedido de registro submetido à Anvisa e, por alguma razão, ainda não houve uma manifestação, pelo menos no prazo em que se esperava, ou em situações muito específicas também, se não há alternativa terapêutica, o que vai um pouco, muito semelhante, aos critérios do uso compassivo.

Então, primeiro, a lei geral diz que não pode ter registro. Aí, para se ter, para se acessar esses tratamentos que não têm registro, nós temos, por exemplo, a importação para uso pessoal, que se dá a partir de uma prescrição médica. É um produto que qualquer paciente, qualquer cidadão, com a sua prescrição médica, pode importar. Obviamente não pode vender, revender, porque isso configura crime.

E aí temos ainda os programas assistenciais. E quais são os programas assistenciais? O uso compassivo, o acesso expandido e o fornecimento pós-estudo. Eu vou começar de trás para a frente, porque a Meiruze já fez aí uma explanação sobre a Lei 14.874. Embora o fornecimento de acesso pós-estudo, aliás, o acesso pós-estudo seja algo já regulamentado há muito tempo, a Lei 14.874 trouxe alguns pilares, reorganizou, criou critérios novos, enfim. Mas de forma geral, o que é o acesso pós-estudo? É o seguinte: aquele paciente que participou de uma pesquisa clínica, de um ensaio clínico, tem o direito, ou o patrocinador, a empresa que está realizando aquele estudo tem a obrigação de continuar fornecendo aquele produto, aquele medicamento experimental para aquele paciente que participou da pesquisa, obviamente, desde que ele esteja se beneficiando, a critério médico. Esse é o fornecimento pós-estudo.

Aí vem o uso compassivo. O uso compassivo, como já foi muito bem dito aqui, pelo próprio nome, que vem de *compassion*, de *compassionate*, é aquele produto que é doado, e isso é importante ser dito, porque é um programa. Os programas assistenciais estão regulamentados pela RDC 38, que é de 2013. Já eram regulamentados desde 1999. Mas se trata de uma doação, então tem um ator importante aí, que é o patrocinador, é a empresa detentora daquela tecnologia, daquela pesquisa. Então, o processo se inicia por aí. A empresa precisa concordar em doar. E o fornecimento é gratuito. Bom, o uso compassivo, também já foi dito várias vezes aí que atende um paciente individual, é intransferível. Aquele paciente que está numa condição clínica muito grave, sem alternativa, que ameaça a vida, para que não tenha mais alternativa

terapêutica é o paciente elegível para o uso compassivo e é também um paciente que, por alguma razão, não conseguiu ser incluído ou não conseguiu entrar numa pesquisa clínica, num estudo clínico.

A pesquisa clínica será sempre... A prioridade será sempre a pesquisa clínica, também já foi dito aí. E eu acho que, nesta discussão toda, a gente deve sempre privilegiar isso. A pesquisa clínica tem que ser uma política de Estado, não é? Nós vimos recentemente muito repercutido na mídia aquele caso de uma opção terapêutica para câncer de pâncreas. Isso é pesquisa clínica. Então, eu acho que a gente tem que reforçar isso e fazer com que a pesquisa clínica seja uma política de Estado, que é a melhor forma de acesso a tecnologias inovadoras.

Agora, aquele paciente que não conseguiu, por alguma razão, como eu disse, ser incluído numa pesquisa clínica pode ser elegível para o uso compassivo, por exemplo, como eu reforcei, desde que o patrocinador concorde em doar o produto.

A diferença entre o uso compassivo e o acesso expandido é o tamanho, é o número de pessoas que serão contempladas. A depender do número de pessoas que serão contempladas, nós entramos com a proporção ou a magnitude de risco, quanto mais pessoas envolvidas que receberão um produto ainda em investigação, para o qual ainda não se tem todo um desenvolvimento clínico completo.

Então, a depender, também... Foi feita uma pergunta sobre evidências mínimas, enfim, e a resposta é esta: depende muito da complexidade daquela condição clínica, da população-alvo, da gravidade, de comorbidades. Então, devem ser levados em consideração esses pontos, esses critérios.

O paciente, para entrar no uso compassivo, primeiro tem que atender a essa condição. Ainda que não tenha, na norma, especificamente falando, que o uso compassivo se refere a dois pacientes, a um paciente, a três, a dez... Não tem esse número lá. Mas, lá no acesso expandido, que é o outro programa assistencial, vai dizer que o programa de acesso expandido, como diz o próprio nome, é expandido, é o uso de mais pessoas, é o uso de um grupo de pessoas. Então, quando se tratar de um uso para um número maior de pessoas, que a norma chama de grupo, é preciso que tenham evidências mais robustas. Nós estamos falando de um número de pessoas que formem um grupo. Então, é preciso que tenham pelo menos evidências obtidas a partir de estudos clínicos de fase III, sejam estudos já concluídos ou estudos em andamento. São essas duas modalidades ou essas duas alternativas que hoje existem para o acesso a medicamentos ainda sem registro, desde que atendam a esses critérios.

Existe um regulamento próprio, que é a RDC 38, de 2013, que começou a valer após uma ampla discussão, a uma consulta pública, a debates aqui na Anvisa. Essa resolução já entrou de novo em consulta pública, já foram consolidadas as contribuições, mas é algo que ainda não fechamos. Enfim, a regulação, os regulamentos são vivos. Eles têm que acompanhar a evolução, principalmente porque nós estamos falando de inovação, de inovação tecnológica, de novas opções, enfim.

É importante dizer também que, para além de aceitar doar o produto para o uso compassivo - de novo, é sempre a partir daí que começa o processo -, o patrocinador, aquela empresa, é responsável por acompanhar os pacientes que receberam aquela droga que ela doou; é responsável por notificar a Anvisa sobre eventos adversos graves, incluindo óbitos; é responsável por arcar com os custos de eventuais eventos adversos que ocorram, que necessitem de intervenções, enfim, para reverter, se for o caso, esses eventos adversos.

Os médicos também... E aí o regulamento não fere a autonomia médica, não fere a autonomia do paciente. Muito pelo contrário, na instrução do processo existe um termo de adesão do paciente, existe um laudo médico. Então, o que a Anvisa faz, e tem isso por competência legal, é tentar achar esse equilíbrio, como foi muito bem dito pelo Dr. Alcindo, da razoabilidade, da avaliação de risco benefício. A norma diz que precisa, que o processo tem que estar instruído com evidências que subsidiem o uso daquele produto para aquela condição clínica específica.

Então, o que a Anvisa faz é essa avaliação, que é técnica também, sobre se esses critérios foram atendidos de acordo com o regulamento. Uma vez atendidos, nós liberamos, autorizamos o uso do produto. A empresa, daí em diante, é responsável pela logística de administração, de fornecimento, de acompanhamento, enfim, e também por notificar a Anvisa.

Em relação ao prazo, no ano passado, nós liberamos, em 2025, cerca de 80 programas de uso compassivo, com um prazo médio que varia de 2 a 10 dias, chega a 15 dias, mas nunca mais que isso, e também liberamos aí quase 80 pedidos de fornecimento pós-estudo.

Então, muito obrigado mais uma vez, Senadora.

E eu sigo aqui à disposição para quaisquer dúvidas.

Muito obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Mara Gabrilli. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. *Por videoconferência.*)
- Obrigada a você, Claudiosvam. Muito obrigada pela explanação. Acho que trouxe muita luz aqui para o nosso debate o

Claudiosvam Martins Alves de Sousa, que é Coordenador de Pesquisa Clínica em Medicamentos e Produtos Biológicos da Anvisa.

Eu quero agradecer a todos vocês por essa tarde tão elucidadora, cheia de questões, de dúvidas, de observações. Tudo isso a gente vai juntando para ter um caminho mais sedimentado, mais seguro e de conhecimento de todos nós. Então, eu quero agradecer a participação de todos.

Alguém tem alguma coisa ainda a falar? *(Pausa.)*

Então, nada mais havendo a tratar, declaro encerrada a presente reunião.

Muito obrigada a todos.

(Iniciada às 14 horas e 10 minutos, a reunião é encerrada às 16 horas e 19 minutos.)