



SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 5ª REUNIÃO, EXTRAORDINÁRIA, DA COMISSÃO DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA, INOVAÇÃO E INFORMÁTICA DA 3ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 09 DE ABRIL DE 2025, QUARTA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR ALEXANDRE COSTA, PLENÁRIO Nº 7.

Às dez horas e seis minutos do dia nove de abril de dois mil e vinte e cinco, no Anexo II, Ala Senador Alexandre Costa, Plenário nº 7, sob a Presidência do Senador Flávio Arns, reúne-se a Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática com a presença dos Senadores Efraim Filho, Alessandro Vieira, Esperidião Amin, Vanderlan Cardoso, Chico Rodrigues, Sérgio Petecão, Dra. Eudócia, Izalci Lucas, Teresa Leitão, Beto Faro, Paulo Paim, Weverton e Hamilton Mourão, e ainda dos Senadores Jorge Seif, Fabiano Contarato, Zenaide Maia, Eduardo Girão, Wilder Moraes, Augusta Brito, Angelo Coronel e Professora Dorinha Seabra, não-membros da comissão. Deixam de comparecer os Senadores Confúcio Moura, Oriovisto Guimarães, Daniella Ribeiro, Dr. Hiran e Cleitinho. Deixam, ainda, de comparecer os Senadores Marcos do Val e Astronauta Marcos Pontes, conforme os Requerimentos REQ 138/2025-CDIR e REQ 69/2025-CDIR, respectivamente. Havendo número regimental, declara-se aberta a reunião. A Presidência comunica o recebimento dos seguintes avisos do Tribunal de Contas da União: Aviso nº 186 - GP/TCU, encaminhando para ciência cópia do Acórdão nº 426/2025, proferido no processo que trata de acompanhamento realizado na modalidade operacional com o objetivo de fiscalizar a estruturação da Autoridade Nacional de Segurança Nuclear, autarquia federal criada pela Lei 14.222, de 15 de outubro de 2021, com a finalidade institucional de monitorar, regular e fiscalizar a segurança nuclear e a proteção radiológica das atividades e das instalações nucleares, materiais nucleares e fontes de radiação no território nacional, nos termos da Política Nuclear Brasileira e diretrizes do Governo Federal; Aviso nº 287 - GP/TCU, encaminhando para a ciência cópia do Acórdão nº 1939/2024, proferido no processo que trata de pedido de reexame interposto pela União, por intermédio da Advocacia-Geral da União, em face do Acórdão nº 898/2024-Plenário, que resultou de acompanhamento realizado pelo tribunal com a finalidade de monitorar a implantação do Centro Tecnológico Nuclear e Ambiental, previamente conhecido como Repositório Nacional de Rejeitos Radioativos de Baixo e Médio Níveis de Radiação. A Presidência comunica também o arquivamento dos Avisos nº 967 e 1010 - GP/TCU, lidos na 2ª Reunião, realizada em 12 de março de 2025, e do Aviso nº 183 - GP/TCU, lido na 3ª Reunião, realizada em 19 de março de 2025, sem que tenha havido manifestação de Senador membro da CCT para análise das matérias por este Colegiado, conforme Instrução Normativa da Secretaria-Geral da Mesa nº 12, de 2019. Passa-se à Audiência Pública Interativa, atendendo ao requerimento REQ 4/2025 - CCT, de autoria Senador Flávio Arns (PSB/PR), com a finalidade de discutir os aspectos da Ciência e Tecnologia na incorporação de medicamentos, procedimentos, equipamentos ou produtos no SUS (Sistema Único de Saúde), em comemoração ao Dia Mundial das Doenças Raras, que ocorre no dia 28 de fevereiro, com a participação de Thiago Moraes, Coordenador-Geral de Ciências para Saúde, Biotecnológicas e Agrárias do Ministério da Ciência, Tecnologia e Inovação (MCTI); Pedro Ribeiro Barbosa, Diretor Presidente do Instituto de Biologia Molecular do Paraná (IBMP); Márcia da Silva, Presidente da Associação Brasileira de Esclerose Tuberosa (ABET); Andreia Bessa, Diretora Jurídica da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas); e Natan Monsores de Sá, Coordenador-Geral de Doenças Raras do



Assinado eletronicamente, por Sen. Flávio Arns

Para verificar as assinaturas, acesse <https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1960831212>



SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Ministério da Saúde (MS). Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às doze horas e quatorze minutos. Após aprovação, a presente Ata será assinada pelo Senhor Presidente e publicada no Diário do Senado Federal, juntamente com a íntegra das notas taquigráficas.

**Senador Flávio Arns**  
Presidente da Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática

Esta reunião está disponível em áudio e vídeo no link abaixo:

[Portal Multimídia](#)

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. Fala da Presidência.) – Declaro aberta a 5ª Reunião da Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática do Senado Federal da 3ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura.

A Presidência comunica o recebimento dos seguintes avisos do Tribunal de Contas da União:

– Aviso nº 186 - GP/TCU, encaminhando para ciência cópia do Acórdão nº 426/2025, proferido no processo que trata de acompanhamento realizado na modalidade operacional com o objetivo de fiscalizar a estruturação da Autoridade Nacional de Segurança Nuclear, autarquia federal criada pela Lei 14.222, de 15 de outubro de 2021, com a finalidade institucional de monitorar, regular e fiscalizar a segurança nuclear e a proteção radiológica das atividades e das instalações nucleares, materiais nucleares e fontes de radiação no território nacional, nos termos da Política Nuclear Brasileira e diretrizes do Governo Federal;

– Aviso nº 287 - GP/TCU, encaminhando para a ciência cópia do Acórdão nº 1939/2024, proferido no processo que trata de pedido de reexame interposto pela União, por intermédio da Advocacia-Geral da União, em face do Acórdão nº 898/2024-Plenário, que resultou de acompanhamento realizado pelo tribunal com a finalidade de monitorar a implantação do Centro Tecnológico Nuclear e Ambiental, previamente conhecido como Repositório Nacional de Rejeitos Radioativos de Baixo e Médio Níveis de Radiação.

Os expedientes lidos serão publicados na página da Comissão, da CCT, pelo prazo de 15 dias, para que as Senadoras e os Senadores membros possam manifestar interesse na análise das matérias por esta Comissão, conforme Instrução Normativa da Secretaria-Geral da Mesa nº 12, de 2019.

A Presidência comunica também o arquivamento dos Avisos nºs 967 e 1010, do TCU, lidos na 2ª Reunião, realizada em 12 de março de 2025, e do Aviso nº 183, do TCU também, lido na 3ª Reunião, realizada em 19 de março de 2025, sem que tenha havido manifestação de Senador membro da CCT para análise das matérias por este Colegiado, conforme Instrução Normativa da Secretaria-Geral da Mesa nº 12, de 2019.

A presente reunião se destina à realização de audiência pública com o objetivo de discutir os aspectos da ciência e tecnologia na incorporação de medicamentos, procedimentos, equipamentos ou produtos no SUS (Sistema Único de Saúde), em comemoração ao Dia Mundial das Doenças Raras, que ocorre, anualmente, no dia 28 de fevereiro. Isso tudo em cumprimento ao Requerimento nº 4, de 2025 - CCT, de minha autoria.



Assinado eletronicamente, por Sen. Flávio Arns

Para verificar as assinaturas, acesse <https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1960831212>



SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

O público interessado em participar desta audiência pública poderá enviar perguntas ou comentários pelo endereço [www.senado.leg.br/ecidadania](http://www.senado.leg.br/ecidadania) ou ligar para 0800 0612211.

Participarão desta audiência pública as seguintes pessoas, remotamente, por meio do sistema de videoconferência – e quero dar as boas-vindas, de imediato, a todos os participantes, às participantes também: Thiago Moraes, Coordenador-Geral de Ciências para Saúde, Biotecnológicas e Agrárias do Ministério da Ciência, Tecnologia e Inovação; Pedro Ribeiro Barbosa, Diretor Presidente do Instituto de Biologia Molecular do Paraná (IBMP); Andreia Bessa, Diretora Jurídica da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas) e Márcia da Silva, Presidente da Associação Brasileira de Esclerose Tuberosa (ABET).

E, presencialmente, estará chegando, daqui a um ou dois minutos, a esta Comissão, em função de dificuldades... (*Pausa.*)

Ah, sim, já está presente aqui, desculpe. Por favor, se puder sentar aqui...

Seja muito bem-vindo!

É que ele estava entrando no Senado, apresentando os documentos também, mas já está presente agora.

Que bom cumprimentá-lo! Seja muito bem-vindo.

Natan Monsores de Sá, presencialmente, que é o Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde.

Que bom que você está aqui! Seja muito bem-vindo, Natan.

Muito bem.

Quero também lembrar que o dia 28 de fevereiro – na verdade, é o dia 29 de fevereiro – é o dia mundial de sensibilização, conscientização e debates sobre o tema doenças raras. Então, é um dia raro, que é 29 de fevereiro, porque só acontece a cada quatro anos. Neste ano não tivemos o dia 29 de fevereiro, então foi no dia 28 de fevereiro.

E, só para externar e para contextualizar, nós temos um número muito elevado de doenças raras, com cerca de 8 mil doenças raras, sendo que, em 10% delas – depois o Natan aborda melhor do que eu –, nós temos algum encaminhamento em termos de pesquisa, de medicamento. Então, há toda uma discussão ainda a ser feita em torno do tema.

E nós sempre pensamos... quer dizer, são poucas pessoas em cada doença rara, mas, como são muitas doenças raras, nós temos um universo de cerca de 13, 14 ou 15 milhões de brasileiros – por aí – que apresentam um quadro de doença rara. Se nós pensarmos que cada pessoa com uma doença rara tem o pai, tem a mãe, tem o irmão e a própria pessoa, nós vamos ver que este assunto interessa diretamente – além de forma indireta, porque o tio, a tia, a avó, o avô, todo mundo pensa na pessoa da família que apresenta um quadro de doença rara – 60 milhões de brasileiros; quer dizer, são 15 milhões de brasileiros, em torno disso ou um pouco menos, de acordo com as estimativas, mas, com pai e mãe, são 60 milhões. Então, o tema interessa a todos.

E, quando nós falamos em doença rara, nós falamos na caminhada dessa pessoa pela vida. O que significa isso? Dependendo da situação, a família tem que ter um aconselhamento genético já antes da gestação. Então, não é só a pessoa; é a organização da família em torno disso também, para se saber o que fazer, caso tenha sido identificada alguma situação.

A pessoa, apresentando o quadro de doença rara, tem que ter o diagnóstico dessa doença. Para ter o diagnóstico, tem que haver centros especializados nisso e médicos, também, com uma formação continuada, como a gente fala – na formação inicial, já se abordarem doenças raras nos cursos de





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Medicina, de Enfermagem, de Psicologia, de Fisioterapia, de Terapia Ocupacional, em todas as áreas da saúde, mas também se ter uma formação continuada. E ela precisa ter acesso ao tratamento, medicamento, alimentação... Tudo depende da doença rara, mas ter acesso ao que for necessário para o tratamento.

A família precisa ter o apoio para isso, porque essa pessoa vai continuando também na sua caminhada pela vida e vai precisar, em muitos casos – cada caso tem a sua especificidade –, ver o que é necessário em termos de saúde, de assistência, de trabalho, de educação.

Por isso, há a interface da doença rara aqui em ciência e tecnologia – e eu sei que o ministério também aborda, e nós vamos ter essa abordagem pelo Ministério da Ciência e Tecnologia. É um tema que interessa diretamente à saúde também – lógico, incorporação de medicamentos, de tecnologias, todo o debate sobre isso – e também à educação. Essas pessoas vão para a escola, vão para outras... Então, tem que haver essa articulação toda. E com essa articulação nós queremos também colaborar, discutindo o tema com a educação, com a saúde, com a assistência e com outras áreas, para chegarmos a conclusões e convergências que facilitem o bem-estar e a vida das pessoas com doenças raras e o apoio para as famílias.

Então, nesse sentido, só para vocês terem uma ideia, hoje à tarde, tudo indica que vai ser aprovado o Projeto de Lei 5.307, no Plenário, que veio da Câmara dos Deputados, de 2019, que institui a Política Nacional de Conscientização e Orientação sobre as Doenças Inflamatórias Intestinais – Doença de Crohn e Retocolite Ulcerativa – e Assistência aos Portadores. Só para terem uma ideia, essa é uma doença rara, um quadro raro, então essas pessoas precisam ter assistência, conscientização, orientação, e as outras doenças também.

Sejam todos muito bem-vindos.

Eu quero sugerir, quanto às falas, que primeiro as pessoas que não fazem parte dos ministérios falassem, Natan e também Thiago, inclusive para vocês poderem depois se posicionar em relação ao que tiver sido colocado.

Eu quero dizer que vamos dar para cada expositor... Na verdade, é um tempo de 15 minutos, mas vamos dar dez minutos e, quando passarem os dez minutos, aparecerá uma figura lá, uma campainha, para vocês saberem que tem mais cinco minutos. É claro que a gente não vai interromper ninguém no meio do pensamento, mas é só para vocês se organizarem em termos do tempo, o.k.?

Muito bem.

Agradeço aos meios de comunicação do Senado, que acompanham esta audiência pública, porque esse é um tema que é transmitido para o Brasil todo, dada a repercussão grande que isso tem no Brasil. E queremos, nesta Comissão, dar a ênfase também.

Quero agradecer aqui ao Leomar, ao Itamar e a toda a comissão de apoio aqui, que organizam todos os eventos desta Comissão. Parabéns pelo trabalho também.

E saúdo a todos e todas que estão aqui presentes.

Passamos, em primeiro lugar, então, a palavra, se me permitem, à Andreia Bessa, Diretora Jurídica da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas), para colocar os desafios que as associações enfrentam pelo Brasil e dar esse panorama dos pais, das pessoas, das famílias.

Seja muito bem-vinda, Andreia! Você está remotamente.

**A SRA. ANDREIA BESSA** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia a todos e a todas.

Agradecemos imensamente a oportunidade de poder estar presente aqui hoje, mais uma vez, representando os pacientes e as associações de doenças raras, que têm passado por momentos





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

desafiadores, desde outubro do ano passado, com as recentes decisões que têm impactado diretamente esse grupo de pacientes. Não só os pacientes com doenças raras, mas também pacientes de outras enfermidades têm sofrido os impactos de recentes decisões.

É com grande satisfação que a gente participa hoje deste debate. Com responsabilidade, a gente vem representando esse grupo de associações, principalmente quando o tema é incorporação de medicamentos, terapias e tecnologias no sistema de saúde, especialmente no contexto das doenças raras.

Atualmente, a nossa realidade é marcada por grandes desafios. Pacientes com doenças raras enfrentam inúmeras dificuldades, desde diagnóstico tardio ou incerto, até acesso limitado a tratamentos e terapias inovadoras. Muitas vezes – na maioria das vezes – esses pacientes dependem exclusivamente da disponibilidade de tecnologias avançadas e medicamentos especializados, cuja incorporação no SUS é essencial para a gente garantir a vida digna e de qualidade desses pacientes.

A realidade enfrentada pelas associações revela o cenário em que os critérios rígidos e tradicionais utilizados pela Conitec hoje na incorporação muitas vezes dificultam a inclusão de terapias que poderiam transformar significativamente a vida desses pacientes.

Isso acontece devido a diversos fatores. Um deles é a escassez das evidências clínicas, a randomização de estudos de forma robusta, pela quantidade de pacientes que são estudados. Nós temos um público que não é um público em que dá para serem realizados estudos como os que ocorrem nos casos de hipertensão, diabetes... Então, a gente tem um público muito diferenciado para a randomização de estudos, sem contar que não podemos utilizar métodos como placebo nesses casos, em decorrência da pouca quantidade de pacientes. Isso dificulta significativamente a vida desses pacientes, pela demora da incorporação e pelos critérios como a Conitec analisa atualmente a incorporação desses tratamentos dentro da lista do SUS, para utilização.

Por isso, as nossas expectativas em relação à ciência e tecnologia são imensas. Nós esperamos uma visão mais flexível, mais abrangente das evidências científicas, que considere não apenas os ensaios clínicos tradicionais, mas também os estudos observacionais. Registros de vida real, em especial, permitem uma análise mais completa e sensível à realidade dos pacientes de doenças raras. Hoje falar em registro de vida real para as doenças raras é, de fato, a questão mais impactante quando a gente fala da incorporação de novas tecnologias.

Então, nós acreditamos muito na inovação tecnológica, porque ela pode mudar essa realidade desses pacientes, trazendo tratamentos que nós consideramos revolucionários.

Até dez anos atrás, não se falava em terapias gênicas, a gente não falava em medicamentos de última geração que eram capazes de proporcionar uma melhora significativa na qualidade de vida dessas pessoas.

E, quando a gente fala na melhora significativa da qualidade de vida, nós não estamos falando só do paciente, mas nós estamos falando aqui de toda a família, porque, quando você tem um paciente com uma doença rara na família, não é só o paciente que é impactado, mas toda a sua família. Isso gera um impacto econômico na família, porque são tratamentos mais caros. E, quando a gente fala de tratamento, nós não estamos aqui falando só de medicamentos, mas nós estamos falando de toda a estrutura que cerca esse paciente, como a estrutura psicológica, acesso à educação, acesso a tratamentos multidisciplinares, o conhecimento multidisciplinar para que esse paciente possa fazer seu acompanhamento, e também a família, porque um dos membros, no mínimo, da sua família acaba





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

tendo que se distanciar do mercado de trabalho para poder se dedicar exclusivamente ao paciente com doença rara.

Então, quando a gente analisa os critérios de incorporação de uma nova tecnologia para os pacientes com doenças raras, nós teríamos que levar em consideração não só, hoje, como é feito o custo-efetividade, mas a gente deveria levar em consideração, nesse custo, também o retorno dessa família ao mercado de trabalho, a possibilidade de retorno desse paciente ao mercado de trabalho, para ele voltar a ser um cidadão economicamente capaz. Então, tudo isso não é levado em consideração. E, se a gente passasse a fazer o estudo de vida real desse paciente, nós conseguiríamos apresentar, de forma cabal, o quanto essas novas tecnologias trazem de qualidade de vida para esse paciente; e não somente um estudo frio, calculado, sem analisar toda essa jornada do paciente.

Então, além disso, nós esperamos que a ciência e a tecnologia auxiliem nessa redução dessas desigualdades no acesso à saúde, promovendo mecanismos ágeis e eficazes na incorporação do SUS. Para que isso seja viável, defendemos uma maior colaboração e diálogo transparente entre Governo, academia, indústria e sociedade civil, permitindo que as negociações viabilizem preços justos e sustentáveis ao sistema.

Ontem, por exemplo, nós tivemos uma primeira notícia boa, que é a participação da sociedade civil na Conitec. Isso não é tudo, mas já é um passo em direção a que a sociedade civil possa participar e fazer parte do sistema de saúde de forma mais efetiva. Então, participar das decisões do Conitec é conhecer, é poder dialogar e informar para aquelas pessoas que compõem a Conitec o quanto é complicada a jornada desse paciente e o quanto existem outros critérios que podem ser levados em consideração.

Então, as perspectivas são animadoras, mas elas dependem essencialmente do compromisso conjunto de todos os envolvidos. Nós precisamos... É urgente – urge essa importância – que a gente traga um compromisso conjunto de todos os envolvidos. Não podemos mais viver num sistema onde cada um trabalha o seu ponto, e em nenhum momento eles conjuguem, em nenhum momento eles se encontrem.

Então, a sociedade civil é importante para a Conitec, ela é importante para o Governo, ela é importante para as políticas públicas, para que elas, de fato, atinjam a necessidade dessa população. Nós precisamos construir um sistema mais humano, justo, eficiente e que utilize o melhor da ciência e tecnologia para proteger e melhorar continuamente a vida das pessoas com doenças raras.

Recentemente também, tivemos uma ótima novidade, que é a parceria da Fiocruz, que começou com a Universidade da Filadélfia, hoje com a Gemma, que é para a gente trazer novas tecnologias, estudos de manipulação de vetores, de terapias gênicas, o que vai favorecer uma redução de custo para os pacientes no Brasil, para os pacientes brasileiros, pois a gente passa a ser produtor de tecnologia e não importador de tecnologia. Então, é necessário o investimento também dentro das nossas estruturas internas, em tecnologias, em *tech transfer*, para que o Brasil seja um produtor dessas novas tecnologias e não apenas um importador dessas tecnologias. Isso, com certeza, reduziria significativamente o custo dessas terapias, e a gente não deixaria o paciente de fora sob o argumento de que o custo dessa terapia não é sustentável para que o Governo mantenha esse paciente. Você falar para uma família que essa tecnologia, qualquer tecnologia, não é incorporada não porque ela não tenha evidência clínica, evidência médica, mas sim porque o seu custo não é compatível para o sistema, isso é a mesma coisa que dar uma sentença de morte antecipada, é você declarar a morte dessa pessoa em vida. Então, isso é muito triste, isso é impactante. Não desejamos isso para ninguém.







SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

É por isso que todas as associações, representadas aqui pela Febrararas, continuarão firmes nessa luta, sempre defendendo uma visão integrada entre inovação, tecnologia e humanização do SUS, com o compromisso inabalável de promover a dignidade humana e a qualidade de vida dos pacientes que representamos.

Muito obrigada a todos pela atenção.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Agradeço à Andreia, que é Diretora Jurídica da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas).

Como você foi a primeira, na verdade, caso ainda deseje, você teria mais cinco minutos. Quando aparece esse sinal, é só para dizer para a pessoa: "Passaram-se dez minutos, mas você tem mais cinco". Não sei se quer complementar alguma coisa ainda, ou está bem, Andreia?

**A SRA. ANDREIA BESSA** (*Por videoconferência.*) – Não, está satisfatório. Para a gente é muito importante ouvir os outros participantes para entender o que eles pensam e como eles veem o impacto disso na vida desses pacientes, porque uma coisa é ver tecnicamente, outra coisa é a gente aqui, do outro lado, mostrando um pouco para vocês qual é o sentimento do dia a dia do paciente.

O nosso principal papel, o nosso fundamental papel aqui é trazer essa humanização para, quando a gente falar de dados, de incorporação, apesar de ser uma comissão técnica, a gente entender que existem pessoas por trás dessa avaliação técnica, então qual é a melhor forma de a gente não deixar essas pessoas excluídas da sociedade, porque, quando a gente exclui essas pessoas de uma nova tecnologia, de uma possibilidade de melhoria da sua qualidade de vida, automaticamente nós estamos excluindo essa pessoa da nossa sociedade. Elas já são excluídas de forma velada no seu dia a dia, seja nas salas de aula, porque nós não temos hoje profissionais que possam acompanhar essas pessoas na sua educação... Muitas delas têm condições de acompanhar o ensino, de ir a uma escola, de poder viver em comunidade, e muitas vezes elas já são excluídas porque, infelizmente, não tem profissionais suficientes dentro das instituições educacionais ou porque muitas escolas se recusam a receber essas pessoas. Por mais que a gente tenha leis que as protejam, nós não temos a efetividade, a eficácia dessas leis para poder garantir que essas pessoas possam ter os mesmos direitos do que qualquer outro cidadão neste país. Então, também não é justo que, quando a gente fale da sua saúde, elas também fiquem excluídas desse processo de incorporação, de acesso a esse tratamento.

Então, ao falar desses pacientes de doenças raras, nós temos que tomar muito cuidado, porque qualquer decisão em torno deles é uma sentença de morte em vida. E isso tem um impacto que não é só para o paciente, é um impacto para toda a família.

Agradeço, mais uma vez, e fico aqui também à disposição para qualquer comentário, qualquer dúvida com relação ao impacto sobre o paciente.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Agradeço de novo à Andreia – muito clara, muito precisa –, que é representante da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras.

Como a área da doença rara é uma área considerada prioritária pela Comissão de Ciência e Tecnologia, outras audiências públicas vão naturalmente ocorrer no decorrer dos meses. Então, vocês representam as doenças raras.

Eu faria só três observações, Andreia, pedindo a sua ajuda, porque, como vocês englobam várias doenças raras – é uma associação brasileira –, que você colocasse, se for possível, em relação a cada





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

doença, o desafio que as pessoas que têm essa doença ou as famílias vêm enfrentando, porque cada doença tem uma trajetória diferente.

**A SRA. ANDREIA BESSA** (*Por videoconferência.*) – Sim, sim.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Basta dizer... Você falou na terapia gênica também, quer dizer, a genética.

Inclusive, eu recebi aqui, da parte do Ministério da Saúde, quanto à questão da AME (Atrofia Muscular Espinhal), que o SUS vai ofertar tratamento inovador para crianças com AME, quer dizer, o medicamento Zolgensma, que, na verdade, cura – dependendo, cura a doença. É um dos medicamentos mais caros do mundo. E será a primeira terapia gênica disponível na rede pública.

Às vezes, as pessoas – você entrou numa outra área, para enfatizar, a do custo-benefício – dizem: "Ah, é muito caro o medicamento". Mas, nesse custo-benefício – você enfatizou bem, Andreia – não é levada em conta a possibilidade de a pessoa, estando curada ou com a doença interrompida, como acontece com a fibrose cística – com o medicamento novo, que interrompe o ciclo... Porque, se não tivesse o medicamento, ela estaria todo mês na UTI.

**A SRA. ANDREIA BESSA** (*Por videoconferência.*) – Exatamente.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – E o há custo de uma UTI, há o custo para a família – o pai não trabalha, a mãe não trabalha, porque tem alguém doente na família, a pessoa não trabalha. Então, todos esses benefícios que o tratamento pode trazer são importantes e têm que ser levados em conta. E isso não é levado em conta; só o preço do medicamento. Mas não é só o preço; é o custo-benefício indireto.

E o que você falou, só para enfatizar para o público também que nos acompanha pelo Brasil: sempre ter a presença, nas decisões da Conitec, que discute a incorporação de medicamentos, da representação da doença rara que está sendo discutida.

Isso é muito importante e foi aprovado no Senado e já foi publicado no *Diário Oficial*, é lei. Então, agora é preciso regulamentar.

Por exemplo, discute-se ELA (esclerose lateral amiotrófica) – nada sobre nós sem nós! –, então a família ou o portador da ELA tem que estar lá para dizer o que é importante, o que é fundamental, como é a vida, para que a discussão seja bastante adequada.

E temos que saber também – vocês têm às vezes os dados – onde que essas pesquisas vêm acontecendo, porque aqui, em ciência e tecnologia – o Ministério da Saúde provavelmente sabe também –, a gente vê grupos muito especializados no Brasil.

Aqui, tivemos uma audiência uma vez sobre glicogenose hepática, cujo tratamento não é feito com um medicamento, é um tratamento com maisena, no fundo, mas para o qual tem que...

**A SRA. ANDREIA BESSA** (*Por videoconferência.*) – Exatamente.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – ... comprar 50 pacotes de maisena num mês, e a família não consegue. O medicamento é a maisena, alimentação especial. E, por exemplo, no Hospital de Clínicas de Porto Alegre, o pessoal é muito especializado nessa doença.

Então, temos que saber onde que estão acontecendo as pesquisas para aproximarmos – agora, com a inteligência artificial e os meios de comunicação possíveis –, pela Comissão, esses grupos de pesquisa que estão aí atuando no Brasil.







SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Eu recebi uma ponderação sobre a ELA, por exemplo, do pessoal aqui da Universidade Federal de Goiás: eles não têm recurso para continuar a pesquisa. Então, não dá para parar também: "Estamos fazendo a pesquisa, e vamos parar porque o recurso não vem".

Então, a gente quer atuar muito nisso, sabe, Andreia? Fale aí para a turma da federação.

Passo em seguida a palavra, com satisfação, para a Márcia da Silva.

Acho que você está em Minas Gerais, não é, Márcia?

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (*Por videoconferência.*) – Isso. Estou em Minas Gerais.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Em Belo Horizonte?

Márcia é a Presidente da Associação Brasileira de Esclerose Tuberosa, cuja lei também foi aprovada e sancionada há cerca de dois meses, do Dia Nacional da Esclerose Tuberosa, que é uma doença rara também.

Com a palavra, Márcia. Seja muito bem-vinda!

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (*Por videoconferência.*) – Obrigada, Senador. Eu que agradeço.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Quero só dizer que a Márcia é Presidente e é mãe também. Então, vamos ouvir a pessoa da família. Temos que ter esse ponto de vista na nossa audiência pública.

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Eu quero agradecer ao Senador, a toda a equipe, a todos aqui presentes. Estou representando as mães de doenças raras.

A esclerose tuberosa é uma doença complexa, que afeta todos os órgãos vitais: são tumores benignos que afetam todos os órgãos vitais.

Não é fácil para uma mãe quando recebe um diagnóstico de uma doença rara, principalmente a esclerose tuberosa. E eu venho aí... A Flávia vai fazer 40 anos. E, quando foi fechado o diagnóstico mais de 38 anos atrás, ninguém dizia o que era a doença. E viemos caminhando aí na área da pesquisa, do tratamento, do medicamento.

E a Flávia hoje vai... E eu tenho certeza de que, durante esses anos todos, quando ela esteve em coma, eu tinha prometido a Deus que eu iria ajudar outras crianças com esclerose. Há um tempo, conheci o Senador Flávio Arns. O Osvaldo, filho dele, também teve a esclerose tuberosa. A gente se encontrou, e, graças a Deus, as coisas estão caminhando.

Eu sou muito grata ao Senador, à tecnologia, aos médicos, aos tratamentos que estão sendo feitos no Hospital das Clínicas, em Curitiba, como o dia do mutirão, quando são atendidas várias crianças naquele dia. Eles têm os médicos especialistas, os medicamentos, que nós lutamos para poderem chegar ao Brasil, para que isso possa dar qualidade de vida aos nossos pacientes.

E eu vejo aqui a área de comunicação, a área científica, tudo isso, como um aprendizado para todos nós que vivemos o dia a dia com uma crise de doença rara. Não é fácil lidar com tudo isso, mas, graças a Deus, os meios de comunicação, hoje, os médicos... A geneticista, foi a pioneira em fechar o nosso diagnóstico, e eu sou muito grata a ela.

Há duas médicas... Na época, aqui no Brasil, não existia nada sobre esclerose tuberosa. Nós fomos buscar esse conhecimento e, quando nós fundamos a associação, foi muito difícil esse meio de comunicação. E hoje, graças à comunicação, as áreas médica e científica vêm nos apoiando. Os medicamentos hoje são pelo SUS, pelo Sistema Único de Saúde; e hoje estamos em rede nacional, podendo acolher essas famílias.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Deveria ser – são milhões, como o Senador falou – para todas as doenças raras, porque o sofrimento de família, sem saber o que fazer, qual o medicamento, como as crianças vão ser no futuro, tudo isso traz uma grande angústia para todas as famílias, como eu senti.

Hoje, a associação acolhe as famílias, indica médicos especialistas. Tem, hoje, em São Paulo, também, médicos especialistas; mas hoje nós temos uma rede, e essa rede deveria ser criada para todas as famílias que passam por este momento tão difícil quando a gente recebe um diagnóstico. Para mim não foi muito fácil, porque na época ninguém nunca tinha ouvido falar sobre esclerose tuberosa. E hoje a gente vê várias doenças raras, como a ... lá, desde o início, lutando para conseguir tratamento, medicamento, acolhimento, para pensar no futuro dessa criança. Hoje a Abet trabalha o cognitivo, o sensorial, a área motora dessas crianças, para que elas tenham qualidade de vida.

Nem todos os pacientes, às vezes, têm um cognitivo preservado. Eles não têm oportunidades na sociedade. É o que a gente fala da inclusão. Quando eu implantei a inclusão no Estado de Minas, eu capacitei trezentas e tantas escolas, quase 400 escolas. Eu acredito (*Falha no áudio*)... para que a gente possa proporcionar qualidade de vida a todos nossos pacientes raros, a todas essas famílias, quando elas recebem um diagnóstico, às vezes, como foi colocado, sem perspectiva nenhuma de vida.

Então, eu quero agradecer ao Senador, aos médicos, aos profissionais multidisciplinares. Que continuem, como o Senador fala, juntos nessa luta em defesa das crianças com doenças raras, porque não é fácil conviver, todos os dias, com uma criança que, às vezes, é até condenada, quando... (*Falha no áudio*).

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – O.k., Márcia. Não sei se interrompeu a fala por algum problema técnico.

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (*Por videoconferência*) – ... trazendo qualidade de vida.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Desculpe-me, Márcia. Nessa última parte, se você puder repetir, houve o congelamento da sua imagem e da fala. É só repetir, assim, esse último minuto. Você tem mais tempo também, se quiser.

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (*Por videoconferência*) – Sim, mas eu falo que é muito importante que a gente dar essa qualidade de vida não só aos pacientes de esclerose tuberosa, mas a todas as famílias de todas as doenças raras, porque, quando eu recebi a sentença da minha filha, quando a gente recebe uma sentença de que não tem condições de tratamento, de medicamento, a gente se sente impotente.

Então, hoje nós estamos aí com os medicamentos, com o acolhimento, com o sistema de saúde, com o mutirão, com uma equipe multidisciplinar, mas nós temos que andar juntos, caminhar juntos para poder proporcionar qualidade de vida aos raros. Falo como mãe, representando as doenças raras. A gente sabe que não é fácil.

Como o Senador fala, estamos juntos, nunca vamos desistir. O amor supera tudo. E temos a tecnologia, a ciência, a genética, os medicamentos, os médicos, para a gente poder proporcionar aos nossos filhos alegria de viver e qualidade de vida.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Muito bem, Márcia. Agradeço a você pela apresentação.

Quero dizer que conheço pessoalmente a Márcia, a família da Márcia, a Flávia – quase xará minha –, que tem esclerose tuberosa, o Wesley, o irmão da Flávia, muito dedicado à área também.

Quero dizer que eu também sou pai de uma pessoa com esclerose tuberosa. O meu filho faleceu há um ano e meio, mas a gente sabe dos desafios que acontecem na área da saúde, da educação, do trabalho, do esporte. É um conjunto que tem que ser abordado.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

As informações disponíveis, hoje em dia, são bem diferentes das informações, como a Márcia colocou, de anos atrás, mas tem que haver assim uma conscientização, sempre sensibilização, formação, diagnóstico, que pode até acontecer, eventualmente, em muitos casos, durante a gravidez, só que os médicos precisam saber disto: o que fazer, como fazer, como interpretar o resultado. Não que vá mudar, também, mas o atendimento já pode ser diferenciado, e as implicações de saúde, em termos de pulmão, de rins e de uma série de coisas...

Só para dizer que os filhos são muito amados, como a Flávia, muito amada...

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (*Por videoconferência.*) – Sim.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – ... por vocês, pela família, e o Osvaldo, que era o meu filho, também sempre foi muito amado e foi uma pessoa que inspirou muita gente aí pelo Brasil.

Muito bem, Márcia. Agradeço a participação.

Eu estava até falando com o Thiago, que depois vai mostrar como pode haver uma página no Ministério da Saúde para abordar as doenças raras, especificamente, cada uma. Se alguém quiser falar sobre AME, onde vai olhar lá para saber qual é o medicamento, onde estão trabalhando, qual é o estágio da pesquisa, quem está fazendo a pesquisa; sobre ELA (esclerose lateral amiotrófica), vai lá, olha; ou sobre o próprio projeto que a gente vai aprovar, hoje, de doenças inflamatórias intestinais – doença de Crohn e retocolite ulcerativa –, vai lá, coloca-se... Para tentarmos, assim, dar para o público informações que levem a pesquisa, ciência e tecnologia, que é o objetivo desta Comissão.

Muito bem, passamos, em seguida, a palavra ao Pedro Ribeiro Barbosa, que é Diretor-Presidente do Instituto de Biologia Molecular do Paraná.

Seja muito bem-vindo, Dr. Pedro.

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia, Senador Flávio Arns. Agradeço o convite a esta Comissão.

Cumprimento os meus colegas e as minhas colegas de fala, parabenizando pela sua atuação a Andreia e a Márcia e, em seguida, o Thiago, do MCTI, e o Natan, do Ministério da Saúde.

Eu tenho uma exposição que vou colocar em tela. Enquanto isso...

Vocês estão vendo?

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Ainda não.

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (*Por videoconferência.*) – Ainda não? Só um minuto.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Qualquer coisa, o pessoal auxilia aí, também. Não sei se foi testado antes. Foi testado? (*Pausa.*) Foi.

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (*Por videoconferência.*) – Foi testado.

Bom, enquanto isso, eu quero já fazer alguns comentários. Eu não sou especialista no campo de doenças raras, mas...

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Dr. Pedro, só interrompendo um pouco, eu não quero atrapalhar...

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (*Por videoconferência.*) – Pois não.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Aqui nós temos a apresentação. Se o senhor quiser, a gente pode passar aqui também...

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (*Por videoconferência.*) – Pois não. Agradeço.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Em vez de ser de lá para cá, é daqui para lá. (*Risos.*)

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (*Por videoconferência.*) – Agradeço. Eu mandei anteriormente, isso seria...

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Isso. Agora está aparecendo.

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (*Por videoconferência.*) – Excelente! Agradeço. Agradeço à equipe da Comissão por me facilitar essa exposição.

Como eu ia dizendo, eu não sou um especialista em doenças raras. Eu dirijo um instituto – lá no final vou localizar mais – que é vinculado à Fiocruz e trabalha com ciência e inovação tecnológica.

Sem dúvida alguma, no tema das doenças raras, ainda que elas existam há décadas, do ponto de vista do conhecimento e do ponto de vista tecnológico, de medicamentos, é apenas muito recentemente que nós temos conhecimentos, e possibilidades, e políticas de valorização e, como Andreia e Márcia colocaram muito bem, de inclusão, no sentido de essas pessoas serem reconhecidas como pessoas diferentes e que precisam ter atendimento diferente. São raras, mas, acima de tudo, cada uma delas é uma pessoa; são poucas, mas cada uma delas faz parte da nossa sociedade enquanto filho, enquanto amigo ou, simplesmente, enquanto cidadão.

Eu vou, então, tomar esse assunto como um assunto que, a meu entender, uma vez enfrentado, consegue valorizar o campo da saúde por inteiro.

Essas doenças em geral são doenças que se encontram, para efeito do seu diagnóstico e tratamento, na fronteira da ciência, se encontram na fronteira da tecnologia e, por sua vez, são tratamentos, são cuidados que requerem recursos diferenciados, à altura dos desafios de cada uma dessas doenças.

Então, eu vou falar de um modo mais geral. Quase todas elas estão no campo da chamada biotecnologia ou das terapias gênicas, que, de fato, são grandes desafios para nós no país.

Eu quero dar um destaque a alguns obstáculos, a alguns elementos de contexto, mas vou colocar no final temas que são assumidos pelo Governo, que são assumidos, sobretudo, pelo Ministério da Indústria, que são assumidos pelos Ministérios da Saúde e da Ciência e Tecnologia, como sendo políticas virtuosas que nós precisamos levar a cabo. E aí, nesse caso, seguramente, para enfrentar o tema das doenças raras, mas para enfrentar o tema do acesso a diagnóstico, do acesso a terapias, do acesso a soluções de fronteiras para o campo da saúde por inteiro, obviamente destacando o campo das doenças raras.

Pode passar o seguinte, por favor?

Nos elementos gerais do contexto, aqui localizo um pouco que o nosso país tem uma grande dependência no campo tecnológico e industrial que afeta por demais a área de saúde.

Nós alcançamos importações que vão a bilhões, como estão registradas. Nossa área farmacêutica, na área de insumos e medicamentos, em até 75% é dependente de importações. Nós somos o quinto mercado mundial em faturamento. Nós temos um déficit na balança de medicamentos e insumos, em 2019, de mais de US\$7 bilhões. Gastos com imunobiológicos são mais de 50% dos gastos de medicamentos, e são esses medicamentos e terapias que fazem cada vez mais diferença na qualidade da atenção e do enfrentamento de doenças que exigem tecnologias, que exigem medicamentos bastante avançados. Os dez produtos de maior faturamento na indústria farmacêutica são imunobiológicos, com certeza vários deles usados em doenças raras.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Não preciso falar aqui da pandemia, mas, nesse processo, nós enfrentamos uma explosão do déficit comercial, ou seja, o quanto precisamos importar para as nossas necessidades no campo do enfrentamento da covid, sobretudo vacinas.

Nós temos, e é preciso assumir isso, uma indústria em saúde atrasada, incipiente. Infelizmente ainda temos uma realidade em que boa parte das inovações que incorporamos no país são transferências tecnológicas. Esse quadro coloca uns desafios para o país de como superar isso, de como fazer com que a ciência brasileira, que é bastante avançada, se transforme em soluções, seja por desenvolvimento nacional próprio, seja por lógicas de parcerias internacionais.

A Andreia falou de uma delas, virtuosa – que eu conheço bem, porque o IBMP vai se envolver também nisso –, em terapias gênicas, a partir de uma parceria da Fiocruz com a Universidade da Filadélfia. Isso é uma transferência tecnológica, mas que, ao mesmo tempo, permitirá desenvolvimento e avanço a partir desse conhecimento no próprio Brasil, no caso da Fiocruz. Eu preciso registrar que o Butantan também tem movimentos importantes no campo de terapias gênicas e em outros.

Pode passar o próximo.

Então, quais são essas...

Nós temos desafios nas novas fronteiras do desenvolvimento. Precisamos muito de inovação em biotecnologia. Inovação em biotecnologia é bastante diferente do que inovação em medicamento genérico, por exemplo, que é de fácil incorporação, que é de infraestrutura bastante simplificada. Infraestruturas para biotecnologias, para terapias gênicas demandam um processo muito intensivo em equipamento e em instalações – isso é algo sofisticado –; é preciso muito capital humano, o que significa muito conhecimento; exigem-se padrões regulatórios elevados. O que significa? E estamos falando de Conitec, estamos falando de Anvisa, como é que se dá o processo de incorporação desses medicamentos, dessas terapias. Em geral, tem tempos avançados, longos, melhor dizendo, para incorporar. A gente está com a experiência agora do desenvolvimento de um biossimilar. Veja que o biossimilar é uma cópia, é uma espécie de genérico de um biofármaco. O processo de incorporação pode levar até cinco anos; um medicamento inovador pode levar até dez anos e pode custar até US\$1 bilhão. E nós hoje ainda somos dependentes de centros de inovação que estão em outros países.

Pode passar o próximo.

Então, quais são os desafios para o país? O primeiro desafio – isso ocorre e ocorreu em qualquer país do mundo – é que desenvolvimento científico, tecnológico e industrial é impossível sem o poder do Estado, do ponto de vista do financiamento de infraestrutura, de inovação industrial, da utilização do poder de compra, e aqui, mais uma vez, falando de novidades e de experiência do Ministério da Saúde, quando é capaz de incorporar medicamentos e derrubar preços desses medicamentos, por lógicas de capacidade de compra para um público sempre maior – poder de compra.

É preciso por vezes colocar barreiras comerciais, mas é preciso também trabalhar com valorização de *players* públicos – aqui, no caso, mais uma vez, destaco o papel no campo tecnológico e industrial da Fiocruz e do Butantan –, mas também com parceiros privados diferenciados, nacionais, que incorporem capacidade, e, óbvio, com parcerias internacionais seletivas.

Mas nós precisamos de centros de inovação. Nós precisamos de plantas de escalonamento. O que é uma planta de escalonamento? Um medicamento, uma terapia que é desenvolvida numa bancada de laboratório precisa de uma infraestrutura diferenciada para chegar à indústria. Ela precisa passar por testes clínicos, ou seja, as chamadas Fase I, Fase II, Fase III. Onde se produzem esses medicamentos que saem da bancada e vão para o teste clínico? Nas chamadas plantas de escalonamento. O IBMP, hoje,





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

está em processo de construção de uma planta de escalonamento que é rara no mundo. Isso chama-se infraestrutura tecnológica e industrial. Precisamos de plantas de IFAs (insumos farmacêuticos ativos), que são onde se produzem esses biofármacos, essas vacinas. No caso de terapias gênicas, não são plantas de IFAs, mas são laboratórios superespecializados, capazes de até customizar terapias. E precisamos de plantas que coloquem o produto final no mercado.

Pode ir adiante.

Eu vou aqui dar um destaque.

Acredito que nossos colegas do MCTI e do ministério possam, não é meu papel, aprofundar, mas eu preciso valorizar políticas recentes do Governo nas áreas, repito, industrial, de saúde, de tecnologia, comercial. E o destaque é para a política Nova Indústria Brasil. A área de saúde, na Nova Indústria Brasil, corresponde à Missão 2. E o destaque qual é? Ampliar a participação da produção nacional em saúde de 42% para 70% das necessidades nacionais. Isso significa ampliar a produção e a capacidade de desenvolvimento científico e tecnológico de medicamentos, vacinas e equipamentos, mas ter a capacidade de produzir no país. Isso significa fortalecer o SUS e melhorar o acesso da população à saúde. Isso significa uma política, eu acho, muito consistente do Governo, que hoje se expressa no Ministério da Saúde, como *locus* principal, que é a própria reconstituição institucional do Ceis. Nós hoje, cada vez mais, compreendemos esse termo. Falamos de um Complexo Econômico-Industrial da Saúde. O que significa esse complexo? Precisamos de base científica, precisamos de base tecnológica, precisamos de base industrial, precisamos de uma infraestrutura de serviços de saúde pública e privada capaz de ofertar, em condições justas, públicas e privadas, o acesso à população seja no SUS...

E, aqui, um destaque para o SUS. Eu fui aluno de um grande Professor e um dos maiores sanitaristas do Brasil que se chama Sergio Arouca, foi Presidente da Fiocruz. Ele dizia que o SUS é a expressão máxima de uma política civilizatória, qual seja, do desenvolvimento civilizatório. O que significa isso? Inclusão de pessoas, equidade. E o SUS se propõe a isso, mas, para isso, precisa ainda seguir bastante o seu desenvolvimento.

Pode ir adiante.

Essas políticas do ministério são expressas, hoje, em alguns grandes programas, todos eles de modo a permitir que não apenas a lógica de diagnóstico, de terapias para doenças raras seja valorizada, mas que todo o sistema de atenção industrial seja valorizado – eu não vou aqui, pelo tempo naturalmente, me deter –, através de um programa de parcerias para o desenvolvimento produtivo.

O que a Andreia falou, em relação às terapias gênicas, Fiocruz e Filadélfia, é típico disso. Uma transferência de tecnologia para que o Brasil seja capaz de produzir e oferecer, óbvio, um programa específico no campo de vacinas, soros e hemoderivados. Um programa de modernização da infraestrutura: nossos laboratórios, indústrias e plantas de escalonamento precisam ter sua infraestrutura ampliada.

Aqui, um ponto que é muito caro. Nós precisamos ter capacidade nacional de transformar conhecimento em soluções.

Aqui se fala do Programa de Desenvolvimento e Inovação Local. Significa valorizar nossos centros de pesquisa, nosso relacionamento entre centros universitários, centros de investigação e a indústria, de tal modo a transformar. Repito, o Brasil é um grande produtor de ciência, mas, infelizmente, não alcança padrões tecnológicos, ou seja, soluções, patentes, no nível da sua ciência. Para isso, é preciso infraestrutura, é preciso incentivo, e esse programa cuida disso.







SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Alguns destaques para doenças e populações negligenciadas, e, obviamente, tudo isso materializando novas lógicas de assistência. Como é que a gente aperfeiçoa o sistema de assistência no campo dos ambulatorios, da atenção primária e dos hospitais, de tal modo que todas essas inovações sejam entregues, gerem acesso à população com muito mais equidade, com muito mais qualidade? Para isso, é preciso modernizar também nosso parque, nossa estrutura de assistência.

Já estou próximo de finalizar, Senador.

Nós temos desafios adicionais. É importantíssimo ter políticas, sejam aquelas mais focalizadas, como o objeto deste debate hoje, no campo das terapias para doenças raras, e elas demandam muito recurso... Vocês imaginem o sistema como um todo. O nosso país precisa de mais recursos públicos para ciência e para tecnologia em saúde.

Aqui uma fala de que eu gosto muito. Ciência e tecnologia são condições essenciais para um país soberano, um país que tem a capacidade de cuidar das suas necessidades sociais e do seu desenvolvimento econômico. A base desse processo é a incorporação de tecnologias, é a inovação, como dinamismo da economia, mas também como oferta de padrões e de serviços mais avançados para a população, segundo as suas diferentes necessidades de natureza básica, coletiva e ampliada, além daquelas que podem acometer poucas pessoas, como as doenças raras, mas que são essenciais para o orgulho de um país. Que essas pessoas sejam cuidadas, que suas famílias recebam atenção. Isso é papel de um país.

Adiante, vou finalizar, por último, 30 segundos, sobre o que é o IBMP.

Nós somos uma *biotech* que cuida do desenvolvimento tecnológico. Nós temos papel importante no desenvolvimento de testes e diagnósticos. Hoje a gente, juntamente com a Fiocruz e com o Tecpar, temos um centro de medicina de precisão, que tem muito impacto em doenças raras, capaz de, por lógica de sequenciamento, identificar e diagnosticar pessoas para doenças raras e, ao mesmo tempo, identificando essas sequências, promover os tratamentos mais eficazes. Acho que vocês colocaram muito bem, pelas experiências, que, por vezes, esses diagnósticos são tardios, porque o médico não sabe, porque a família não sabe, mas alguma coisa diferente está acontecendo com essa criança, com esse indivíduo. O sequenciamento hoje, sem dúvida alguma, é algo que pode sustentar e pode ofertar melhores condições.

O IBMP também desenvolve novos medicamentos, biofármacos, de tal modo que possam ser ofertados a indústrias brasileiras, sobretudo à Fiocruz, e em seguida possam ir ao SUS, possam ir aonde há as necessidades da população.

Senador, é isso.

Eu agradeço muito por poder compartilhar com vocês essa discussão e aprender com vocês. Eu vejo que estou ao lado de pessoas que não apenas vivem essa condição de pessoas, de filhos, de alguém da família – o próprio Senador bem relatou – com doenças raras, mas que este país tenha a capacidade de abraçar e de resolver, de tal modo que a gente seja cada vez mais um país civilizado, um país com equidade, um país que valoriza cada indivíduo da nossa população.

Obrigado e fico à disposição também para as considerações e para perguntas.

É um prazer estar aqui, compartilhando essas ideias e esses desafios.

Obrigado.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Agradeço muito ao Dr. Pedro Ribeiro Barbosa, que é Diretor-Presidente do Instituto de Biologia Molecular do Paraná.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Parabéns pela apresentação, extremamente clara, apontando os desafios para a área e as necessidades que devem ser abordadas.

Eu vou passar, em seguida, a palavra para o Ministério da Ciência, Tecnologia e Inovação e para o Ministério da Saúde. Antes, porém, bem rapidamente, já foram passadas as perguntas e comentários para os expositores, mas eu vou ler, para que todos do Brasil que nos acompanham também possam ter conhecimento do que está sendo comentado e perguntado pelos meios de comunicação.

Ana, do Amapá, pergunta de que forma a incorporação de novas terapias pode representar o avanço no atendimento prestado pelo SUS.

De uma maneira geral, estão sendo respondidas também, mas é para a gente saber o que está acontecendo.

Beatriz, de Minas Gerais: "Como o SUS pode incorporar novas terapias sem comprometer o orçamento e garantindo acesso igualitário à população?"

Josivan, da Bahia: "Como o SUS avalia a eficácia e o custo-benefício de novas tecnologias antes de incorporá-las? Há participação da sociedade nesse processo?"

Thaynara, de Minas Gerais: "[...] [Como] a pesquisa nacional pode ser valorizada para acelerar a inclusão de terapias inovadoras no SUS?"

Felipe, do Paraná: "Quais estratégias tecnológicas e logísticas podem ser adotadas para garantir que [essas terapias] cheguem a áreas remotas menos favorecidas?"

Michele, do Rio de Janeiro: "Como o SUS pode equilibrar a equidade no acesso com os altos custos de terapias avançadas, como imunoterapias ou terapias gênicas?"

Ana, de São Paulo: "O SUS é o melhor plano de saúde do Brasil, mas por que é tão caótico? Não existem diretrizes e [...] [padrões] para padronizar os atendimentos?"

Júlia, do Rio Grande do Sul: "Como a ciência e a tecnologia podem acelerar a incorporação de tratamentos para doenças raras no SUS?"

Também, há comentários agora.

Frederico, do Espírito Santo: "[...] todo brasileiro tem direito à saúde, está na Constituição, não pode [...] [ser prejudicado] por ter uma doença rara. A doença não espera".

Vinícius, de Minas Gerais: "[...] [As] terapias ofertadas pelo SUS devem possuir [...] [as mais recentes] tecnologias do mercado de [...] [assistência à saúde]"

Douglas, de Minas Gerais: "Ritalina e canabinoides fazem parte do tratamento do autismo [não só do autismo, mas fazem parte também do autismo] e [são] medicamentos de uso contínuo, [...] [mas, infelizmente, a burocracia dificulta o acesso]"

Thiago, do Acre: "É necessário se tratar de medicina integrativa e alimentação. Os médicos só tratam a doença, [isso] está errado, os médicos devem tratar de saúde".

José, de São Paulo: "[...] [Treinar] desde a alta gerência até os profissionais de ponta no uso das tecnologias ou sistemas é essencial para [que] esse processo [...] [funcione]"

E o Gian, finalmente, de Minas Gerais: "Algumas doenças possuem características hereditária, [...] [investir] no mapeamento gênico poderia oferecer tratamentos e prevenções eficazes".

Passo, em seguida, a palavra ao Thiago Moraes, que é Coordenador-Geral de Ciências da Saúde, Biotecnológicas e Agrárias do Ministério da Ciência, Tecnologia e Inovação.

Thiago está remotamente...

Seja muito bem-vindo também, Thiago.

Passo a palavra para você.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. THIAGO MORAES** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia a todos e todas. É um prazer poder participar desta audiência.

Na pessoa do Senador, gostaria de cumprimentar toda a mesa, os colegas que já apresentaram e os que ainda vão apresentar.

Eu vou trazer aqui uma visão um pouco do que o ministério tem feito no tema de financiamento de pesquisa em doenças raras, trazer um pouco do histórico, para que a gente consiga debater ao final.

Todos estão vendo minha apresentação?

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Estamos vendo.

**O SR. THIAGO MORAES** (*Por videoconferência.*) – Só para contextualizar um pouco, a Coordenação de Ciências da Saúde, Biotecnológicas e Agrárias fica dentro da Secretaria de Políticas e Programas Estratégicos do MCTI, que é a secretaria responsável, digamos assim, pelo fomento e pelas atividades de pesquisa, de pesquisa mais básica, avançando até uma maturidade tecnológica de ensaios clínicos.

É uma secretaria que tem dois departamentos: um de programas temáticos, com três coordenações, que pega a questão de ciências humanas e sociais, ciências do mar e ciências da saúde; e outro departamento, de clima e sustentabilidade que trabalha mais a questão de clima e biodiversidade de ecossistemas.

Também estão aqui o Concea (Conselho Nacional de Controle de Experimentação Animal) e a CTNBio (Comissão Técnica Nacional de Biossegurança), que avaliam a questão de segurança de OGMs.

Eu trouxe aqui alguns exemplos de iniciativas que a gente tem tocado aqui no ministério, para além de doenças raras. Eu trouxe aqui a Rede Buriti, que é a primeira rede de pesquisa em OGMs. A gente criou essa rede em 2023, é a primeira rede do Sul Global que vai tratar especificamente de pesquisa em síndrome de Down. Assim como doenças raras, a síndrome de Down é uma condição que traz uma série de impactos e de diferenças para essa população, então, ela precisa ser avaliada do ponto de vista técnico-científico, suas particularidades, as suas respostas aos tratamentos de doenças comuns. Essa rede vem nesse sentido.

O Centro Latino-Americano de Biotecnologia, que é uma parceria que o ministério executa há mais de 40 anos. Inicialmente era o Centro Brasileiro-Argentino de Biotecnologia. Hoje ele se expandiu, a gente já tem Colômbia, Uruguai, Paraguai e Peru participando do centro. É uma importante ferramenta de colaboração em biotecnologia, fomenta tanto projetos de pesquisa quanto cursos de treinamento. Como já foi muito bem colocada pelo Pedro, a biotecnologia é essencial para que a gente consiga avançar nas questões de tratamento e diagnóstico de doenças raras e o Cabbio pode contribuir nesse sentido.

A Rede Nacional de Saúde Mental, também criada em 2023, tem como objetivo avaliar a saúde mental, principalmente de população universitária, inicialmente, e compará-la com o restante da sociedade, como anda a saúde mental desse público especificamente.

E a RedeVírus MCTI, que foi criada durante a pandemia e fomentou uma série de iniciativas no combate à pandemia, inclusive o desenvolvimento de vacinas nacionais contra a covid-19.

Isso é só para ilustrar um pouco todas as atividades que a gente tem feito aqui no âmbito do ministério.

Agora eu gostaria de falar um pouco do Ciclo de Planejamento de Ciência e Tecnologia. A gente está num momento ideal de atualização da Estratégia Nacional de Ciência, Tecnologia e Inovação. A





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Estratégia Nacional é o documento que aponta as áreas estratégicas, os desafios e as diretrizes para o plano nacional de ciência e tecnologia. A Estratégia Nacional vai se desdobrar em planos setoriais que vão apontar as ações e as metas a serem desenvolvidas. Então, a gente está num momento propício para essa discussão, justamente porque, no ano passado, a gente teve a 5ª Conferência Nacional de Ciência e Tecnologia, que vai servir de base para a atualização da Estratégia Nacional de Ciência e Tecnologia e de seus respectivos planos setoriais.

E por que eu estou trazendo isso aqui? Porque a Estratégia Nacional e os planos setoriais vão apontar as áreas prioritárias de pesquisa e desenvolvimento, incluindo a questão de financiamento. É muito importante que a gente tenha aí a colaboração de outros ministérios, da sociedade civil, do setor empresarial, para que a gente aponte o que a gente entende ser prioritário para a pesquisa nos próximos anos. E aí a importância desta audiência pública, para que a gente tenha essa colaboração com diferentes entes da sociedade e que a gente consiga incluir a pesquisa em doenças raras como uma área prioritária de pesquisa dentro da saúde.

Para ilustrar, eu trouxe a versão anterior do plano de ação para ciência e tecnologia para a saúde. Ele foi dividido em seis linhas temáticas, incluindo ensaios pré-clínicos, doenças transmissíveis, doenças crônicas, áreas de fronteira de conhecimento, aí trazendo medicina personalizada, regenerativa, células-tronco, terapia celular, terapia gênica; insumos para a saúde, com desenvolvimento de novos fármacos, biofármacos, imunobiológicos; e pesquisa clínica. Então, a ideia aqui de trazer esse tópico é justamente essa, alertar os diferentes entes da sociedade que a gente está neste momento de atualização da política de ciência e tecnologia e que seria importante ter a participação de todos para que a gente consiga dar um destaque merecido para a pesquisa em doenças raras dentro dessa política de ciência e tecnologia e o seu respectivo fomento.

E aí, falando em fomento, eu trouxe um pouco do histórico do FNDCT, que é o Fundo Nacional de Desenvolvimento Científico e Tecnológico, que é a principal ferramenta de fomento do ministério. Ele foi criado em 1969, tem todo um histórico de regulamentação, mas se tornou efetivo a partir de 2007 apenas. Depois, ele teve um período de contingenciamento, de forte contingenciamento, a partir de 2013 e 2014. E, em 2021, foi aprovada a Lei Complementar 177, que teve uma participação muito ativa da CCT do Senado. Eu agradeço aqui a contribuição da Comissão na aprovação dessa lei complementar, que tornou o fundo incontingenciável.

Então, a partir de 2021, a gente tem um cenário mais favorável ao financiamento de ciência e tecnologia. A gente acabava tendo o famoso voo de galinha: a gente tinha o financiamento, depois ficava um tempo sem financiamento por conta de contingenciamentos. E isso para a ciência e tecnologia é horrível, porque você não consegue começar um projeto de pesquisa, parar dois anos, um ano e, depois, retomá-lo. Você perde todo aquele investimento. Então, essa lei complementar foi essencial para que a gente conseguisse ter um descontingenciamento do FNDCT.

Aqui são as três principais ferramentas de financiamento do fundo. O Fomento à P,D&I, que é o grande forte do fundo, que atua direcionando esses recursos para ICTs públicas e privadas. A gente também tem a Subvenção Econômica, que é um risco compartilhado entre Governo e empresas; é um recurso não reembolsável, em que o Governo assume boa parte do risco, para que a gente consiga incentivar a inovação no âmbito das empresas. E os Instrumentos de Crédito também, direcionados para empresas, que é um crédito subsidiado, como maneira de se fomentar a inovação no âmbito das empresas privadas.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Esse aqui é um histórico do orçamento do fundo, a partir de 1999. Aqui, em 2024, a gente teve R\$12 milhões para ações não reembolsáveis. Então, eu gostaria de reforçar a importância do descontingenciamento do fundo e como ele vem num crescente de arrecadação. E isso é importante para que a gente consiga manter as atividades de fomento da pesquisa.

O fundo é dividido em áreas temáticas e aí eu destaco aqui o fundo setorial Saúde. Tem toda a regulamentação do fundo, que está aí, a Lei nº 10.332, o Decreto 4.143, de 2002, que regulamentou o funcionamento do CT-Saúde. Esse CT-Saúde tem como objetivo: estimular a capacitação tecnológica em áreas de interesse do Sistema Único de Saúde (saúde pública, fármacos, biotecnologia); aumentar os investimentos privados em pesquisa e desenvolvimento; promover a atualização tecnológica da indústria brasileira de equipamentos médico-hospitalares, bem como de fármacos e medicamentos; e difundir tecnologias que ampliem o acesso da população a bens e serviços na área da saúde.

A composição do Comitê Gestor é bem variada. A gente tem Ministério da Ciência e Tecnologia, Ministério da Saúde, Anvisa, Funasa, Finep, CNPq, que são as agências que vão executar essas ações depois; dois representantes do segmento acadêmico-científico; e dois representantes do setor industrial.

Falando especificamente do CT-Saúde, eu destaco aqui a aprovação da Lei 13.930, de 2019, que destina no mínimo 30% dos recursos desse fundo, que devem ser aplicados em atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para saúde e outras mobilidades terapêuticas, destinadas ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas. Então, é um importante destaque. A gente tem ali um financiamento basal para várias atividades de pesquisa em doenças raras ou negligenciadas.

Historicamente, nos dois últimos anos, para o CT-Saúde, a Lei Orçamentária previu R\$67 milhões em 2023 e R\$88 milhões em 2024. Mais para frente, a gente vai ver que o fundo aplicou muito mais do que os 30% previstos em lei para pesquisa em doenças raras.

Aqui o primeiro exemplo foi uma chamada pública lançada em 2022, por meio da Finep, com o objetivo de promover o financiamento de pesquisa em doenças raras. Essa chamada foi dividida em duas grandes linhas temáticas. A primeira é dedicada a rastreamento, diagnóstico e marcadores prognósticos de doenças raras, com foco nos aspectos abaixo... Aí tem uma série de outros subitens: desenvolvimento de insumos, metabolômica, sequenciamento de nova geração para diagnóstico, biomarcadores, métodos de rastreamento neonatal, desenvolvimento de tecnologias *point-of-care* para diagnóstico de doenças raras. Uma segunda linha temática é mais dedicada à abordagem terapêutica de doenças raras, incluindo ensaios clínicos, terapias avançadas, desenvolvimento de novas drogas ou reposicionamento de drogas, biológicos e plataformas de biotecnologia, biomarcadores de resposta ao tratamento e *delivery*, trazer nanotecnologia ou uma tecnologia farmacêutica que aumente a capacidade de entrega daquela droga ou de ação em um alvo específico.

Ao total, essa chamada foi lançada em 2022, e em 2023 o MCTI fez um aporte adicional para a chamada. A gente tinha uma boa carteira de projetos selecionados no âmbito dessa chamada, então, a gente fez um aporte adicional. No momento, no âmbito dessa chamada, são apoiados 27 projetos com valor final de R\$67 milhões. Para além dessa chamada específica, o ministério tem lançado uma série de outras iniciativas apoiadas pelo FNDCT e, apesar de não serem específicas para doenças raras, acabam entrando projetos de doenças raras. Por exemplo, em 2022 foi apoiado o Instituto Nacional de Doenças Raras.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

No âmbito da chamada do Mais Inovação Brasil, lançado em 2023, está sendo apoiada uma plataforma de vírus adeno-associados para doenças raras. Se não me engano, esse projeto está com a Fiocruz.

Quanto à instalação de uma plataforma de diagnóstico *in vitro* e fenômica para diagnóstico precoce e de precisão de doenças raras, esse projeto está sendo apoiado no âmbito da chamada do Proinfra Centros Temáticos. Foram R\$12 milhões para esse projeto.

Um outro projeto apoiado do âmbito do Proinfra é uma medicina de precisão com abordagem multiômica para diagnóstico e escolha de alvos terapêuticos em doenças raras e prevalentes.

Então, somando esses projetos e mais a chamada que a gente lançou em 2022, nos últimos três anos foram aportados cerca de R\$154 milhões de pesquisa em doenças raras, mostrando o comprometimento do MCTI e do próprio FNDCT com a necessidade de apoio de pesquisa para esse tema.

E aqui, já para concluir, eu acho que o Pedro abordou muito essa questão dos desafios que a gente tem para pesquisa em saúde e mais ainda para doenças raras. A primeira delas é a translação do conhecimento, como a gente transforma todo esse conhecimento que o ministério está financiando, todo esse conhecimento que é gerado no âmbito da academia em produtos. Aí a gente tem outras iniciativas que conversam com isso no âmbito do Governo, o próprio NIB (Nova Indústria Brasil), o programa de desenvolvimento local do PDIL do Ministério da Saúde, que vem justamente nesse sentido. Pegar tecnologias que estão sendo desenvolvidas no âmbito das ECTs, fazer essa aproximação com o setor privado, para que a gente consiga acelerar a tradução desse conhecimento em produtos e serviços para a sociedade.

Um desafio adicional para a questão de doenças raras é o baixo número de pacientes para ensaios clínicos. Então, a gente precisa trabalhar em outras abordagens como a gente supera esse gargalo, como a gente consegue trabalhar outras abordagens para além do ensaio clínico, para que a gente consiga gerar conhecimento, gerar informações e desenvolver tratamentos ou sistemas de diagnóstico para essa população. Então, a gente precisa pensar de uma maneira diferente do convencional. Então, a gente tem um desafio de desenvolver novos modelos.

A superação de gargalos tecnológicos e infraestruturas. O Pedro também citou a questão de escalonamento. Esse é um trabalho que a gente tem feito muito em parceria com o Ministério da Saúde. Fomentar a plataforma de escalonamento, porque não adianta eu conseguir desenvolver um novo medicamento, principalmente pensando em biotecnologia ou diagnóstico, que funciona muito bem na bancada, mas para fazer o escalonamento desse medicamento, para fazer o ensaio clínico, fazer o escalonamento para ver a viabilidade de uma produção industrial é um outro desafio. E a gente tem esse gargalo tecnológico de infraestrutura no país para fazer esse tipo de escalonamento. A gente sofreu muito com isso na pandemia, Então, juntamente com o Ministério da Saúde, a gente tem apoiado algumas plataformas de escalonamento para que a gente consiga superar esse gargalo.

E um outro desafio, não especificamente para doenças raras, mas para pesquisa em saúde, é a capacitação e inserção de legislação e cultura regulatória nos ambientes de pesquisa. O que a gente observa que acontece muito é que, às vezes, o pesquisador começa a fazer sua pesquisa básica sem estar muito atento à questão regulatória lá na frente, pensando no desenvolvimento de um produto. E, em um determinado momento, quando o pesquisador passa pela pesquisa pré-clínica, ele faz a prova de conceito e busca a interação com a Anvisa a, com a agência regulatória, pretendendo fazer o ensaio





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

clínico ou mesmo o registro de um futuro medicamento, ele percebe que ele pulou algumas etapas de questões regulatórias. Então, a pesquisa dele precisa voltar dois ou três passos para trás.

Então, a gente tem trabalhado muito dentro dos instrumentos de fomento para que a gente consiga associar a questão regulatória, para que o projeto não precise voltar atrás duas ou três casas por conta de questão regulatória. Ele já nasce, desde o início, objetivando o registro junto à Anvisa. Então, ele já fica atento a essas questões regulatórias, e a gente consegue acelerar todo esse processo de tradução do conhecimento em produtos para a sociedade.

Eu acredito que é isso. Este é o meu último eslaide.

Fico à disposição para perguntas e interação com os demais colegas.

Obrigado.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Agradeço a você, Thiago Moraes, que é Coordenador-Geral de Ciências da Saúde, Biotecnológicas e Agrárias do Ministério da Ciência, Tecnologia e Inovação. Agradeço muito pela apresentação, Thiago. É um dos objetivos desta Comissão, com as audiências públicas, porque esta, como eu disse antes, é uma delas, vamos ter outras, é aproximar de fato, transformar, como também o Pedro falou e você reforçou, esse conhecimento em soluções e aproximar principalmente a sociedade organizada dos ministérios também, para que haja uma sintonia na busca dos caminhos, do enfrentamento dos desafios, do apoio, que a sociedade possa dar para as iniciativas dos ministérios.

Obrigado, viu, Thiago?

Passo em seguida...

**O SR. THIAGO MORAES** (*Por videoconferência.*) – Agradeço.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Grande abraço. Continue firme, vamos precisar de você na sequência.

Natan Monsores de Sá, que está aqui à minha direita, presencialmente, é Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde. Então, com muito prazer, recebemos você aqui na Comissão e passamos a palavra a você.

**O SR. NATAN MONSORES DE SÁ** (Para expor.) – Obrigado, Senador Arns, e na sua pessoa eu cumprimento todos os colegas presentes e virtualmente. É um prazer ouvir a Andreia, ouvir a Márcia, representando os grupos de pacientes e também os colegas relacionados ao cenário de pesquisa e desenvolvimento de inovações.

Eu queria retomar um pouquinho da fala do Dr. Pedro, de que saúde é democracia, democracia tem tudo a ver com saúde. É uma fala muito importante, dos primórdios do movimento da saúde pública no Brasil, e é exatamente nessa perspectiva que a Coordenação de Doenças Raras tem trabalhado. Então, como é que a gente consegue garantir acesso à informação? Como é que a gente consegue garantir cuidados adequados para a população com doenças raras, dentro de um ecossistema que é extremamente complexo, do ponto de vista de operações e organização?

A gente está aqui numa Comissão que discute a ciência e tecnologia, numa perspectiva de soberania nacional e de acordos também, acordos bilaterais, multilaterais, que podem ser trazidos para dentro da nossa estrutura, do nosso complexo produtivo e industrial do campo da saúde. Incorporação é sempre um desafio, é um tema recorrente, Senador, nesses debates. Escuto os pacientes na sua ansiedade... É extremamente legítimo que eles tragam essa perspectiva do novo medicamento, da inovação terapêutica, mas eu estou retomando a questão da saúde como democracia aqui, exatamente porque esse é um parâmetro extremamente importante para que a gente faça a discussão.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Hoje, o Sistema Único de Saúde enfrenta um desafio que é um desafio de sustentabilidade. Nós temos diversas inovações tecnológicas que trazem ganhos muito importantes para os pacientes, só que essas tecnologias têm sido trazidas dentro de um cenário de altíssimos valores. E eu não gosto de falar aqui de preço, porque rapidamente as nossas falas, no Executivo, aqui no Senado também, enfim, no setor público, costumam ser atribuídas...

"Ah, você está atribuindo um valor à vida humana", "A vida de um paciente não tem preço", "A vida do meu filho não tem preço", e não é nesses termos que a gente está tentando trazer uma discussão. Eu jamais teria aqui a arrogância de tentar atribuir um valor, um preço *per capita* para cada uma dessas pessoas que buscam cuidados, mas é importante a gente esclarecer que o Sistema Único de Saúde é a condição *sine qua non* para que essas pessoas recebam os seus cuidados. E, sem Sistema Único de Saúde, não tem saúde, não tem democracia, não tem estrutura que comporte o atendimento a essas pessoas que estão na margem, no limiar da sua vulnerabilidade social, no limiar dos cuidados porque têm doenças que são complexas.

Então, a gente precisa achar e fazer essa discussão de uma maneira séria e acertada, dentro do setor público, sobre quais são os caminhos que a gente vai construir para os próximos anos, para que a gente garanta a soberania nacional do ponto de vista de desenvolvimento tecnológico. Neste momento político, a gente vive uma guerra econômica, tarifária em todo o mundo; há uma disputa posta de valores. E certamente essa disputa pode favorecer o cenário produtivo industrial brasileiro, o cenário de ciência e tecnologia, à medida que o Brasil se torna um ator extremamente importante do ponto de vista de fomento, de capacidade de formar novos quadros para ciência e tecnologia. Então, acho que a gente tem que olhar com atenção este momento vivido e tentar trazer para as pessoas com doenças raras as possíveis benesses que esse cenário nos traz.

Eu queria destacar brevemente aqui alguns pontos trazidos nas falas dos colegas. E, aproveitando a oportunidade, Senador, que o senhor nos traz enquanto Coordenação de Doenças Raras do Ministério da Saúde, acho que seria importante a gente dar uma devolutiva para a comunidade de doenças raras, para o cidadão brasileiro, das ações que o Ministério da Saúde tem feito nesse cenário.

Primeiro, a questão que sempre aparece é a do diagnóstico tardio: "Ah, o Ministério da Saúde não está fazendo nada, não tem nenhuma iniciativa". Isso se reflete, inclusive, nas perguntas que são trazidas aqui. Então, há dois movimentos acontecendo neste momento, internamente, no Ministério da Saúde. Um se refere à instalação de um parque tecnológico para garantir que as pessoas tenham acesso aos testes genéticos, ao diagnóstico genético. Nós iniciamos um protótipo de usina, de *hub* de sequenciamento genético, que este ano começa a funcionar dentro da estrutura da Fiocruz e dentro de um dos hospitais próprios do Ministério da Saúde, que é o Instituto Nacional de Ciência e Tecnologia. Então, essa iniciativa, em conjunto com as iniciativas de pesquisa na área de ciência genômica, que têm sido fomentadas pelo Ministério de Ciência e Tecnologia e também pelo Ministério da Saúde, começam a trazer para o Brasil a capacidade de dar diagnóstico para as pessoas com doenças raras de maneira um pouco mais célere. Ainda não está nos termos que a gente deseja enquanto cidadão, enquanto gestor, mas em breve teremos a capacidade instalada de fazer 40 mil, 60 mil exomas e painéis genéticos para atender a demanda do SUS, que é essa.

Por outro lado, houve um certo atraso – e a gente reconhece, enquanto Ministério da Saúde, esse fato – para a implementação das novas fases do Programa Nacional de Triagem Neonatal. Então, rapidamente, a Secretaria de Atenção Especializada tomou pé da situação, e a gente produziu uma portaria, que em breve – enfim, de maneira tardia também – terá sua publicação. E, internamente, a





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

gente tem trabalhado também num desenho de rede, numa lógica de laboratórios para tentar atender a questão da triagem neonatal. Então, a AME... O anúncio recente do nosso Ministro Padilha em relação ao esperado acordo de compartilhamento de risco para a AME traz um novo gás para essa iniciativa, e a gente espera, em breve, Senador, trazer aqui para esta Casa também o anúncio dessas medidas inovadoras que o Ministério da Saúde está trazendo.

Falando em AME, Senador, eu vou pedir vênua e fazer uma pequena correção. As terapias inovadoras, as terapias gênicas, infelizmente ainda não são terapias de cura. Quando a gente fala de Zolgensma para a AME ou as outras terapias que vêm, na área da saúde a gente é um pouquinho mais conservador no que se refere às expectativas dessas terapias e a gente costuma usar o termo remissão. Então, a gente espera que o Zolgensma, que agora, nas próximas semanas, estará disponível dentro dos ambulatórios de neurologia, dos serviços de referência em doenças raras, que essa terapia junto com as duas outras terapias que já existem para essa doença no SUS consigam trazer algum grau de alívio e remissão, estabilização dessas doenças.

Eu me preocupo... De novo pedindo vênua aqui, Senador, em relação a essa fala de cura, eu me preocupo bastante com a literacia da comunidade de pessoas com doenças raras, o conhecimento. Recentemente, foi falado em vacina – vacina para doenças raras, vacina para as doenças genéticas – nas redes sociais, e nós do Ministério da Saúde temos uma preocupação com a assertividade, com a correção da base científica desses termos.

A gente não está falando de vacina para doença rara, a gente está falando de uma terapia que envolve muitos riscos ainda para essa comunidade de pessoas com doenças neurodegenerativas, que afetam o sistema nervoso. Terapia gênica não é panaceia, ela traz riscos, sim, para essas pessoas, mas esses riscos estão sendo tratados com muita seriedade, muita responsabilidade e cautela pelo Ministério da Saúde. Nas próximas semanas, a gente espera que as crianças afetadas por AME consigam ingressar nos serviços em busca dessa terapia.

Em relação ao conhecimento que apareceu... Eu derrubei minha fala toda aqui, Senador, até para responder a algumas questões. Em relação ao conhecimento, o Ministério da Saúde tem investido também em programa de formação dos pacientes. Há novas residências sendo estabelecidas na área de aconselhamento genético, na área de genética e genômica, então tem todo um programa sendo desenhado neste momento no Ministério da Saúde para tentar atender essa necessidade de poucos geneticistas, poucos médicos, poucos serviços disponíveis.

E, por falar em serviços, quando assumimos a coordenação de doenças raras em 2022, havia 22 serviços; hoje, já são 36 serviços de referência em doenças raras, mais toda uma rede de apoio. Eram 30 mil atendimentos por ano dentro do Sistema Único de Saúde; hoje, já são 60 mil atendimentos por ano. Então, a gente tem conseguido trazer um certo fôlego exatamente para atender ao clamor das pessoas que vivem com doenças raras, às suas demandas.

Em relação ao seu pedido aqui, Senador, à sua fala, a gente precisa registrar: nós estamos trabalhando em dois projetos que são pilotos para a questão do registro de pacientes com doenças raras, um financiado pelo Ministério de Ciência e Tecnologia, pelo CNPq e também pelo Ministério da Saúde, conduzido com maestria pela equipe do Clínicas de Porto Alegre e pela Sociedade Brasileira de Genética Médica, com o projeto Raras, que tem olhado, em cada serviço de referência, quem são as pessoas afetadas por doenças raras, quantas são essas pessoas, quanto tempo elas levam para ser atendidas. E há também um projeto dentro do Observatório de Doenças Raras, que eu tenho o prazer de coordenar, na Universidade de Brasília, também financiado com recurso público, em que a gente



SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

tem olhado aspectos biopsicossociais. Esses dois projetos se encontram exatamente no Instituto Nacional de Ciência e Tecnologia, a que o colega do MCTI se referiu, que é o INRaras, uma iniciativa nacional que junta as diferentes frentes que trabalham com doenças raras, para, exatamente, a gente ter registro, números, evidências e ter iniciativas, hoje, organizadas, fomentadas, induzidas por evidências.

Em relação a acesso – acesso a tecnologias –, talvez esse seja o nosso maior calcanhar de Aquiles. Por quê? Infelizmente, o cenário, hoje, de ciência e tecnologia, de pesquisa, desenvolvimento e inovação, no campo de doenças raras, segue as tradições acadêmicas do Brasil. E as tradições acadêmicas do Brasil, infelizmente, ainda têm um caráter fragmentário. Eu sou professor da Universidade de Brasília, e, toda vez que a gente ingressa no edital, infelizmente é uma tradição "da minha pesquisa, os meus resultados, os dados do meu centro de pesquisa" e há pouca interlocução em redes desses serviços. Então, para a gente não ter abordagens fragmentárias do ponto de vista de inovação e desenvolvimento científico e tecnológico, precisa haver fomento para que haja, de fato, redes efetivas trabalhando. Então, o INCT de Doenças Raras (INRaras), por exemplo, é uma dessas iniciativas que juntam a área de neuro, a área de genética e endócrino numa grande estrutura.

Por fim, é importante que a gente fale da questão do acesso a tratamento. Aproveitando um pouquinho da fala da colega Andreia, da Febrararas, ela, ao final da sua fala, traz isto, a gente precisa diferenciar, na rede de cuidados, quem precisa de tratamento medicamentoso e quem precisa de tratamentos integrais, holísticos, mais amplos. Hoje, um percentual de 5% das doenças raras consegue alcançar tratamentos medicamentosos.

Eu queria trazer alguns números aqui, para que os nossos ouvintes entendam como o Executivo, como o Ministério da Saúde investe nesse ecossistema. Por parte do Ministério da Saúde, são R\$4,5 bilhões investidos para pagamento de terapias voltadas para doenças raras. Hoje são 91 medicamentos, e esse número a toda hora é atualizado. São sete medicamentos incorporados nos últimos meses, dezesseis tecnologias de diagnóstico, cuidados. Enfim, é um montante de recursos enorme para um contingente populacional que requer todo o nosso cuidado, toda a nossa devoção, toda a nossa atenção. Por quê? Boa parte dessa população é população pediátrica. Então, cuidar de doenças raras significa cuidar, sim, do futuro da nação brasileira, do futuro do Brasil, e há um empenho do Ministério da Saúde nesse sentido.

Por fim, eu gostaria de falar dos 95% restantes de pessoas afetadas por doenças raras, que requerem outros tipos de abordagem. Então, há abordagens, por exemplo, como reabilitação, e há toda uma coordenação, no Ministério da Saúde, voltada à pessoa com deficiência que tenta alcançar essas crianças, há incursões cirúrgicas, há cuidados paliativos, enfim, há uma série de outras medidas que não necessariamente passam pelo arcabouço do tratamento medicamentoso e para os quais o Ministério da Saúde também precisa endereçar, enfim, soluções.

E a gente tem trabalhado nesse sentido também. Então, do ponto de vista de equidade, pensando que saúde é democracia, precisamos, sim, alcançar as pessoas que requerem terapia gênica, terapias avançadas, terapias celulares, mas o Ministério da Saúde não pode abrir mão, também, de 95% das crianças e pessoas afetadas por doenças raras que vão requerer o leito adequado, o cuidado paliativo, todas essas outras tecnologias de cuidados de que eu falei há pouco. A gente tem trabalhado na Coordenação de Doenças Raras bem próximo às universidades, bem próximo à Fiocruz, bem próximo aos institutos de pesquisa para que esse ecossistema consiga, de fato, acolher e cuidar dessas pessoas com base no conhecimento e nas inovações produzidas.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

E aí vem um desafio, Senador, que eu trago a esta Casa como um pedido de apoio: a gente precisa garantir a sustentabilidade desse ecossistema. Vou citar, por exemplo, o Paraná. Então, o Paraná tem a Fiocruz do Paraná – o Pedro, que me antecedeu aqui, falou do IBMP –, tem o Hospital Pequeno Príncipe, tem a estrutura do Hospital Universitário do Paraná, que também tem um serviço de referência em doenças raras. O ecossistema do Paraná, por exemplo, é um ecossistema ímpar, de qualidade, para o atendimento às pessoas com doenças raras, mas, para que a gente consiga manter a capacidade do Hospital Pequeno Príncipe, por exemplo, de fazer diagnósticos com exomas, painéis genéticos, para ter acesso a algumas tecnologias diagnósticas, para que a equipe do Hospital Universitário, para que a Fiocruz do Paraná consigam ter essa capacidade, essa potência, a gente precisa de aporte de recursos, a gente precisa de fomento para a organização das redes científicas locais. Enfim, isso se repete ao longo de todos os estados do Brasil.

E aí, para terminar a minha fala, a produção de um ecossistema benéfico, positivo, efetivo, com equidade, no Brasil, para atender as pessoas com doenças raras, passa por uma lógica tripartite. O que isso significa? O Ministério da Saúde é um grande indutor, o Ministério da Ciência e Tecnologia é um grande indutor desse ecossistema, mas o atendimento às pessoas com doenças raras acontece nos estados, acontece nos municípios. Então, por vezes, o Ministério da Saúde se esforça no sentido de fomentar esse ecossistema, mas as contrapartidas estaduais e municipais ficam aquém dos esforços que a gente empreende no sentido de atender essa população. Então, a gente precisa discutir de fato o pacto federativo, no que se refere ao atendimento dessas pessoas. Esse é o meu clamor a esta Casa: é para que a gente estenda a discussão sobre o cuidado das pessoas com doenças raras para as redes estaduais, para a estrutura municipal de cuidados também, porque é lá na ponta que esse cidadão é atendido. A gente não tem – eu costumo brincar com os meus estudantes da Universidade de Brasília – um consultório dentro do Ministério da Saúde, eu não tenho um ambulatório funcionando dentro do Ministério da Saúde. O ambulatório está no estado, está no município. Então, é para lá que a gente precisa direcionar o apoio. É nesse sentido que eu queria convidar esta Casa para que, junto com o Ministério da Saúde, a gente organize essa estrutura de atendimento lá na ponta.

E, por fim, só queria salientar, Senador, que a gente não ficou inerte ao pedido de acesso à informação que a comunidade de doenças raras tem nos trazido. Prontamente nós criamos, dentro da estrutura de *sítes* do Ministério da Saúde... Eu até pedi para a sua equipe de apoio aqui projetar para a gente, para que os cidadãos que estão nos acompanhando aqui vejam.

Então, hoje a gente tem um *síte*, uma página dedicada exclusivamente a doenças raras dentro da estrutura do Ministério da Saúde.

Você pode subir um pouquinho?

E lá estão muitas informações, exemplos.

Pode baixar. Eu queria chegar lá nos quadradinhos, embaixo, na página.

Isso.

Então, se o cidadão brasileiro quer ter acesso ao médico, à equipe, a que protocolo existe, a que diretriz... Tem dados sobre doenças raras? Tem câmara técnica assessora? Como é o processo de incorporação de tecnologia? Tem legislação? Onde eu busco informação? Como eu busco o cuidado?

Então, a gente teve o cuidado de fazer a curadoria de todas essas informações que hoje estão plenamente disponíveis para cada cidadã e cidadão brasileiros.







SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Então, novamente agradecendo, Senador, pela gentileza de nos convidar enquanto Ministério da Saúde, em nome do Ministro Padilha, eu agradeço pelo convite. A gente se encontra à disposição para o diálogo e para o trabalho conjunto.

Então, novamente, eu queria salientar: o Ministério da Saúde não é um vilão, ele não quer... "Ah, o Ministério da Saúde não se preocupa em atender a população". Não, a gente se preocupa sim, porque saúde é democracia e a gente só tem democracia quando cada cidadã e cada cidadão brasileiro é bem cuidado.

Então, a gente está aberto, enquanto Ministério da Saúde, para ouvir, acolher, receber críticas e, também, está junto, em parceria com esta Casa, para tentar atender melhor às pessoas com doenças raras.

Obrigado, Senador.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Muito bem.

Agradeço sobremaneira a sua participação e quero dizer para todos e todas que nos acompanham no Brasil que isso é muito importante, porque o Natan, além de Professor da UnB, é Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde.

Há sempre, obviamente, em toda a caminhada de vida, dúvidas, questionamentos, esclarecimentos que são necessários. Por isso que eu solicitei à Andreia que ela trouxesse, como Federação Nacional – à Márcia também e a todos que coordenam áreas específicas de doenças raras –, os desafios que vêm enfrentando para que nós possamos dialogar, como Comissão, com o Ministério da Ciência e Tecnologia, com o Ministério da Saúde e com outras áreas, como dito antes, também.

Aliás, o Natan levantou o que o Pedro havia levantado: a questão de ciência e tecnologia como elemento importante para a democracia e para a soberania, quer dizer, nós, como o Pedro colocou, o Dr. Pedro, até para insumos básicos, ficamos extremamente dependentes, quando nós temos que ser independentes, tanto quanto possível, na produção, na pesquisa, basicamente, até de insumos genéricos.

Agora, essa questão da soberania, a gente viu muito bem, nessas últimas oportunidades, nesses últimos dias, em termos das *big techs*, quer dizer, uma pessoa decide se o Brasil vai ter acesso à tecnologia, à informação, à comunicação. Eu nunca vi uma dependência tão absurda do mundo em relação a um grupo de três, quatro, dez, vinte pessoas. Não tem cabimento isso!

Ciência e tecnologia significam, na área da saúde – a gente está discutindo doenças raras –, obviamente, soberania, democracia, mas também em qualquer área. Um exemplo marcante, recente, é essa questão da nossa dependência de algumas pessoas no mundo que ditam como é que o país e o mundo vão se comunicar.

Agradeço-lhe, Natan, sobremaneira.

Nós estamos no adiantado da hora. Eu passaria só um ou dois minutos para os que participaram, os expositores e as expositoras, para alguma consideração final que considerem importante, mas eu quero dizer a todos também que nós estamos numa audiência pública. O importante é receber as demandas.

Escutamos com muito prazer o Dr. Natan, com muita propriedade, inclusive. Eu vou falar da remissão da doença, não vou falar da cura da doença.

**O SR. NATAN MONSORES DE SÁ** (*Fora do microfone.*) – Sim, obrigado. Obrigado, Senador. (*Risos.*)







SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Eu me lembro daquele filme, também, em que a menina cai da árvore – não lembro o nome do filme –, ela tinha uma doença rara também e, por um milagre...

É Milagres do Paraíso o nome do filme! Milagres do Paraíso.

A menina cai, estava sendo atendida pelo médico, e a mãe chegou para o médico e disse: "Mas ela está curada? Porque não tem mais nada, não tem mais sinal nenhum. Está curada?". E ele disse: "Não posso falar que está curada, a doença teve uma remissão". (*Risos.*)

Então, eu digo: para mim, está curado, mas, cientificamente, teve uma remissão.

Muito bem.

Andreia, você ainda está por aí?

**A SRA. ANDREIA BESSA** (*Por videoconferência.*) – Sim, Excelência, estou por aqui.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Então, se você quiser fazer alguma colocação também...

**A SRA. ANDREIA BESSA** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Claro, claro. Quero agradecer a todos.

Natan, obrigada pelas novidades. Para a comunidade de doenças raras, é sempre importante conhecer as novas disponibilidades do Ministério da Saúde com relação à comunidade de raras; isso, para a gente, é muito importante.

A fala do Thiago Moraes também, para a gente, é um impacto importante; inclusive, já fica um convite aqui para ele participar de eventos nossos, porque eu acho que é bem interessante a divulgação desse trabalho desenvolvido pelo MCTI.

Quero dizer que a gente tem bastantes dados. Nós temos trabalhado muito nisso, focados, principalmente, na condição, no estudo de vida real do paciente. Hoje, nosso foco é muito trabalhar no estudo de vida real do paciente, especialmente pela questão da randomização dos estudos, de como se dá o impacto nas políticas públicas... Isso tem sido o nosso foco.

Nós não vamos deixar de... Mas já ficou a lição de casa. Já aqui, no momento em que a gente estava conversando, mandei para toda a equipe, para as associações, para que elas possam elaborar as questões das suas áreas, para que a gente possa encaminhar isso ao Senador, que tem trazido essa importante discussão nesta Comissão.

Essa abertura de porta já é um passo muito importante, porque, se nós formos pensar em 2014, quando foi dado o primeiro passo a discutir doenças raras – antes, era um grande tabu, uma grande barreira, não é? Nós não queremos, aqui, gerar que as doenças raras sejam um grande impacto orçamentário. Não é isso. O que nós queremos é um estudo, um caminho onde todos tenham o direito e o acesso à saúde, não é? E que não seja discutido só no aspecto econômico, mas no aspecto da vida, da qualidade de vida, onde toda a população tem o mesmo direito, desde aquele que precisa do medicamento de R\$10 ou da Maizena, como aquele que precisa de um medicamento cujo custo é muito mais alto.

Obviamente, nós defendemos que um país que investe em educação e tecnologia é um país que tem a condição de progredir, o crescimento dele está baseado nesses pilares. Então, a gente precisa parar de ser importador e começar a ser produtor. Por isso nós temos defendido muito que a educação, o investimento em pesquisas são importantes para o nosso país, para que a gente não fique refém desses custos altíssimos desses tratamentos. Mas infelizmente hoje é o que a gente tem. Então, é por isso que a gente briga e luta.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Muito obrigada mais uma vez por esta oportunidade. Contem conosco. Em tudo que vocês necessitarem de informação, aquilo que nós tivermos vamos deixar disponível para esta Comissão e, sempre que for possível a gente participar, nós também estaremos à disposição.

Mais uma vez, Senador, muito obrigada mesmo por esta oportunidade.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Um abraço para você.

Transmita para todas as associações e federações também que fazem parte da brasileira o nosso abraço. Obrigado pela participação também, Andreia.

Márcia da Silva, Presidente da Associação Brasileira de Esclerose Tuberosa.

Márcia, ainda está presente? (*Pausa.*)

Sim. (*Risos.*)

**A SRA. MÁRCIA DA SILVA** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Ah, eu fiquei muito sensibilizada e quero agradecer ao Sr. Flávio Arns e a todos aí presentes, porque a luta é grande, a jornada é grande, mas nós estamos no caminho certo. E estando unidos, com certeza, nós vamos buscar algumas soluções para que a gente possa cuidar daqueles que tanto precisam, que são os pacientes raros.

Então, eu tenho muita gratidão a Deus por ter me dado essa oportunidade de estar representando aqui as mães de doenças raras e a todos os envolvidos nessa missão, que nos traz muita responsabilidade, compromisso e, principalmente, respeito e amor pelos nossos tão queridos pacientes raros.

Muito obrigada, Senador.

Obrigada a todos por estar aqui representando todas essas mães.

Muito obrigada e gratidão a todos.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Um abraço para você também, Márcia, para a Flávia, para a família e quero dizer que estamos juntos. Os Ministérios da Saúde, da Ciência e Tecnologia, os Senadores e Senadoras que fazem parte desta Comissão, para juntos enfrentarmos os desafios. Tudo tem que ser uma coisa coletiva.

Pedro Ribeiro Barbosa, Diretor-Presidente do Instituto de Biologia Molecular do Paraná.

Dr. Pedro.

**O SR. PEDRO RIBEIRO BARBOSA** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigado.

Igualmente, quero agradecer por esse convite mais uma vez, pela oportunidade de compartilhar, sobretudo, no meu caso, pela oportunidade de aprender com esse tema.

Mas eu quero aqui fazer uma última colocação, acho que repetindo a todos vocês, especialmente o colega Natan, o Thiago e o próprio Senador, quando enfatizam que isso é obrigação e desafio de um país, de uma sociedade. E no momento em que a Comissão traz esse tema no campo da ciência e tecnologia em audiência, na perspectiva de transmitir e coletar demandas, ela está cumprindo um papel essencial na valorização da ciência e tecnologia.

Para mim está muito claro que os raros – e aqui tem uma palavra que é bonita: raro no sentido de especiais, de diferenciados – merecem da gente cuidados, da sociedade e do campo científico e tecnológico, também de modo muito especial e raro. Eu entendo, em termos de desafios, que enfrentar os desafios dos raros no campo científico e tecnológico é colocar o nosso país na fronteira do conhecimento e puxando inovação. A inovação, do ponto de vista teórico, pode ser empurrada, na medida em que conhecimentos e ofertas gerem inovações, ou as demandas ou o mercado ou as necessidades pressionem, no sentido de puxar inovações. Aqui me parece que esse campo dos raros





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

tem um papel importantíssimo em demandar, em puxar inovações neste nosso país, e que, sem dúvida alguma, repercutem em todos os campos, porque inovação e enfrentamento desses desafios, por estarem na fronteira do conhecimento tecnológico, vão ter uma repercussão sistêmica, de tal modo que todos os campos da saúde e da inovação sejam abarcados, porque vão beber dessas inovações e espriar, no sentido sistêmico, com repercussão a contingentes enormes de população, porque eles estão nos provocando na fronteira.

É isso, Senador. Eu agradeço mais uma vez, valorizo. O encontro foi muito agradável, muito positivo. Que ele continue, tanto no âmbito do Senado, do Congresso, quanto no âmbito do Executivo, a produzir mais e mais resultados, mais e mais sinergia – o Natan valorizou muito isso –, de tal modo que, em todos os níveis da nossa sociedade, esse tema seja adequadamente enfrentado.

Obrigado.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Agradeço-lhe, Dr. Pedro Ribeiro Barbosa. Parabéns pela exposição muito clara, muito importante, competente. E vamos dialogar muito mais também dentro da perspectiva colocada nesta audiência pública.

Passo em seguida a palavra ao caro Coordenador-Geral de Ciências da Saúde, Biotecnológicas e Agrárias do Ministério da Ciência, Tecnologia e Inovação, a quem também a gente agradece muito a participação, muito importante e necessária, Thiago Moraes.

**O SR. THIAGO MORAES** (Para expor. *Por videoconferência*.) – Bom, Senador, eu gostaria mais uma vez de agradecer o convite. Acho que é uma discussão muito frutífera. Acho que a política científica tem que ter essa interação com diferentes entes da sociedade. Ela tem que ouvir a sociedade, que está lá na ponta, as associações de pacientes que estão lá na ponta, para que elas consigam trazer e expor as suas necessidades – e o próprio Ministério da Saúde – de como a ciência e a tecnologia podem auxiliar nesse processo todo, para que, a partir dessas contribuições, a gente consiga construir uma política científica e tecnológica efetiva e que atenda a necessidade da sociedade em geral e, para isso, eu fico disponível para futuras interações com os colegas aqui da mesa.

Agradeço o convite da Andreia, fico à disposição para participar de eventos da federação. Eu acho que é muito frutífera essa interação e, dessa maneira, a gente consegue aprimorar a política científica e tecnológica.

Da mesma maneira, fico à disposição da Comissão para futuras interações, futuras audiências ou mesmo direcionamento de emendas parlamentares, caso a Comissão entenda ser pertinente o direcionamento de emendas para pesquisa em doenças raras.

O ministério fica à disposição para a execução dessas emendas e, assim, a gente consiga alavancar o recurso de fomento para esse tema.

Mais uma vez obrigado e fico à disposição.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Muito bem.

Agradeço de novo ao Thiago Moraes e vamos, sim, dialogar, conversar e juntos construirmos os caminhos que possam beneficiar essa e as demais áreas, mas essa, de uma maneira particular, objeto do nosso debate.

Natan – que está aqui ao meu lado, agradecemos de novo – Monsrores de Sá, Prof. Natan, não é?

**O SR. NATAN MONSORES DE SÁ** (*Fora do microfone*.) – Isso.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – É médico também?

**O SR. NATAN MONSORES DE SÁ** (*Fora do microfone.*) – Não, sou biólogo.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Biólogo.

Muito bem, Prof. Natan.

É importante que a gente diga professor e mande mensagem para os professores dizendo: "vamos valorizar os professores, as professoras, os planos de cargos e salários, o concurso público, para que não aconteça o que vem acontecendo no Brasil". Inclusive mais de 50% dos professores com contratos precários, temporários.

A educação merece ter uma valorização do profissional da educação, isso é essencial também.

Com a palavra o Natan, Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde.

Muito importante para este debate!

**O SR. NATAN MONSORES DE SÁ** (Para expor.) – Obrigado, Senador Arns.

Sem professor não tem médico, não tem enfermeiro, não tem fisioterapeuta, não tem ninguém. Então, somo-me às suas palavras para, enfim, fortalecer o papel do professor e valorizar esse papel.

Para encerrar, Senador, eu novamente queria reiterar o compromisso do Ministério da Saúde em estabelecer diálogos e, a partir desses diálogos, a gente poder construir iniciativas e respostas que atendam às necessidades das pessoas que vivem com doenças raras.

Eu não vou me alongar, acho que já falei bastante aqui sobre a nossa atuação, mas quero só reiterar o compromisso da Secretaria de Atenção Especializada, dentro do Ministério da Saúde, para estar junto aqui com esta Casa no sentido de produzir iniciativas que consigam resolver, atender, acolher e cuidar dessas famílias.

Como o senhor bem destacou, a unidade de cuidado, para quem vive com doença rara, não é o indivíduo, é a família e a comunidade que vive ao redor. Não é incomum que no campo das doenças raras comunidades inteiras sejam afetadas.

Ontem tive o prazer de estar com o Secretário de Saúde do Município do Rio de Janeiro, que tem uma das maiores prevalências de epidermólise bolhosa. No Ceará tem a ataxia espinocerebelar e, em Goiás aqui, tem uma série de outras condições.

Não vou citar os nomes porque são nomes muito difíceis, mas são iniciativas que requerem, de novo, a participação conjunta das Casas que formulam as leis, do nosso Judiciário, do Executivo e também das instâncias municipais e estaduais. De novo, num pacto federativo alinhado, estruturado, a gente vai conseguir dar o adequado atendimento a essas famílias, a essas comunidades.

Obrigado, Senador.

**O SR. PRESIDENTE** (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Muito bom.

Agradeço, de novo, a presença dos expositores e expositoras, das pessoas que estão aqui no plenário e de todos e todas que nos acompanharam pelos meios de comunicação pelo Brasil. Agradeço aos próprios meios de comunicação e à nossa valorosa equipe aqui da Secretaria da Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática. Obrigado.

E vamos em frente. Que a gente possa, como foi colocado lá, transformar a discussão em soluções, em coisas concretas que beneficiem, cada vez mais – uma caminhada na vida –, cada vez mais, as pessoas, as famílias, a cidadania e a dignidade.





SENADO FEDERAL  
Secretaria-Geral da Mesa

Nada mais havendo a discutir neste momento, declaro encerrada a presente audiência pública.  
Obrigado.

*(Iniciada às 10 horas e 06 minutos, a reunião é encerrada às 12 horas e 14 minutos.)*



Assinado eletronicamente, por Sen. Flávio Arns

Para verificar as assinaturas, acesse <https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1960831212>