



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 4ª REUNIÃO, EXTRAORDINÁRIA, DA COMISSÃO DE ASSUNTOS SOCIAIS DA 2ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 28 DE FEVEREIRO DE 2024, QUARTA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR ALEXANDRE COSTA, PLENÁRIO Nº 9.

Às quatorze horas e vinte minutos do dia vinte e oito de fevereiro de dois mil e vinte e quatro, no Anexo II, Ala Senador Alexandre Costa, Plenário nº 9, sob a Presidência da Senadora Damares Alves, reúne-se a Comissão de Assuntos Sociais com a presença dos Senadores Jayme Campos, Soraya Thronicke, Veneziano Vital do Rêgo, Ivete da Silveira, Leila Barros, Izalci Lucas, Alan Rick, Carlos Viana, Alessandro Vieira, Flávio Arns, Zenaide Maia, Jussara Lima, Paulo Paim, Humberto Costa, Fabiano Contarato, Romário, Eduardo Girão, Wilder Moraes, Rogerio Marinho e Dr. Hiran, e ainda dos Senadores Marcos do Val, Rodrigo Cunha, Angelo Coronel, Lucas Barreto e Augusta Brito, não-membros da comissão. Deixam de comparecer os Senadores Giordano, Styvenson Valentim, Mara Gabrielli, Ana Paula Lobato e Laércio Oliveira. Havendo número regimental, a reunião é aberta. Passa-se à apreciação da pauta: **Audiência Pública Interativa**, atendendo ao requerimento REQ 136/2023 - CAS, de autoria Senadora Mara Gabrielli (PSD/SP), Senador Humberto Costa (PT/PE). **Finalidade:** Aludir ao Dia Mundial e ao Dia Nacional das Doenças Raras (Lei nº 13.693/2018), discutir os 10 anos da Portaria nº 199/2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, e debater avanços e desafios para a atenção integral aos brasileiros com doenças raras. **Participantes:** Luciano Márcio Freitas de Oliveira, Coordenador-Geral de Proteção Social de Média Complexidade da Secretaria Nacional de Assistência Social do Ministério do Desenvolvimento e Assistência Social, Família e Combate à Fome; Ida Vanessa Doederlein Schwartz, Presidente da Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica – SBGM; Rômulo Bezerra Marques, Diretor da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras – Febrararas; João Batista Silva Júnior, Gerente de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas da Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa; Priscila Torres, Coordenadora de Advocacy e Comunicação da Biored Brasil; Regina Próspero, CEO da Aliança Brasileira de Associações e Grupos de Apoio a Pessoas com Doenças Raras – Aliança Rara; e Natan Monsores de Sá, Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde. **Andamento:** Após as considerações iniciais, a presidência faz a leitura de mensagem encaminhada pela Senadora Mara Gabrielli. Após a leitura, a palavra é concedida aos participantes para suas exposições iniciais. Cada participante expõe suas considerações, sugestões e manifestações, abordando seu ponto de vista sobre a temática da audiência e sobre os avanços e desafios para a atenção integral aos brasileiros com doenças raras. No decorrer da audiência, a presidência procede à leitura de perguntas e comentários recebidos pela Ouvidoria e pelo e-cidadania. Antes de encerrar a reunião, a presidência concede novamente a palavra aos participantes para respostas às perguntas e aos comentários enviados e para considerações finais. **Resultado:** Realizada. Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às dezessete horas e trinta minutos. Após aprovação, a presente Ata será assinada pela Senhora Presidente e publicada no Diário do Senado Federal, juntamente com a íntegra das notas taquigráficas.

Senadora Damares Alves

Presidente Eventual da Comissão de Assuntos Sociais



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Esta reunião está disponível em áudio e vídeo no link abaixo:
<http://www12.senado.leg.br/multimedia/eventos/2024/02/28>

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Fala da Presidência.) – Havendo número regimental, declaro aberta a 4ª Reunião, Extraordinária, da Comissão de Assuntos Sociais da 2ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura.

A presente reunião atende ao Requerimento nº 136, de 2023, de autoria da Senadora Mara Gabrilli, para a realização de audiência pública destinada a aludir ao Dia Mundial e ao Dia Nacional das Doenças Raras – lembro que o Dia Nacional foi instituído pela Lei 13.693, de 2018 –; discutir os dez anos da Portaria 199, de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras; e debater avanços e desafios para a atenção integral aos brasileiros com doenças raras.

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

Eu quero fazer aqui a minha fala de boas-vindas a todos os senhores. Boas-vindas aos que estão *online*, assistindo. Boas-vindas aos nossos palestrantes, aos nossos expositores que vão participar *online*. Obrigada por terem atendido o convite. Boas-vindas às pessoas que estão aqui no Senado, aqui, agora, no plenário. Nós temos famílias, temos instituições. Obrigada por estarem conosco. Quero dar boas-vindas também aos nossos expositores que vão fazer a sua participação de forma presencial. É muito importante para a nossa Comissão, especialmente para a nossa Subcomissão, a realização deste evento.

Eu, particularmente, me sinto muito feliz e posso dizer até, Sr. Rômulo, emocionada. Alguns anos atrás, como assessora, quando eu estava ali militando com a pauta neste Congresso Nacional, às vezes a gente tinha que bater à porta de alguns Parlamentares, pedir por favor e falar dos raros. Às vezes eles não tinham a compreensão do que a gente estava falando. Isso lá, 25 anos atrás. Eu fiquei muitos anos nos bastidores do Congresso. Aí, eu tenho a graça divina de ser Senadora num momento em que a gente, hoje, tem uma sessão solene na Câmara dos Deputados e, no Senado, uma audiência pública tão importante. Isso



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

mostra que nós estamos avançando na pauta, especialmente colocando o tema no protagonismo. Eu estou muito feliz. Isso só foi possível graças, muito, à atuação da sociedade civil, a quem eu honro. Toda a minha homenagem a todas as instituições que trabalham com as pessoas raras. Vocês não desistiram, vocês se mantiveram, mesmo diante de tantas lutas nos últimos anos, vocês estão aí. Eu quero agradecer às famílias raras por não terem desistido.

Eu conheço mães raras que estavam aqui quando a criança ainda estava com dois, três aninhos, andando pelos corredores, batendo nas portas. Hoje essa criança está na faculdade. Então, quantas mães raras dedicam o seu tempo à causa!

No Congresso Nacional, hoje, a gente tem um lugar, aqui no Senado, muito especial para os raros, que é esta Subcomissão. É um sonho a gente ter um canto no Senado para chamar de nosso, uma Subcomissão onde a gente se encontra, onde a gente celebra vitórias, onde a gente chora também; uma Subcomissão que está reunindo Parlamentares muito comprometidos, muito comprometidos com a pauta; uma Subcomissão que está influenciando as outras Comissões aqui no Senado; uma Subcomissão capitaneada por nossa Senadora, que é a nossa inspiração nessa pauta, a Senadora Mara Gabrilli, que não pôde estar conosco hoje – organizou tudo isso aqui, mas não pôde, por uma questão de saúde, estar conosco hoje –; uma Subcomissão que ela sonhou, ela idealizou. E nós, todos os Senadores da Comissão, aprovamos por unanimidade esta Subcomissão, uma Subcomissão que está trabalhando muito.

Eu fico imaginando nós raros há 30 anos e nós hoje.

Esta semana são muitas as iniciativas que vão acontecer aqui no Congresso Nacional com o tema. Então, eu creio. Nós temos muita, muita coisa para fazer; ainda temos muito a avançar, mas eu confesso, para quem está há muitos anos na luta – eu confesso –, que hoje, para mim, é um dia de dizer: uau, valeu a pena a luta de todas as mães e pais raros. Valeu a luta, Sr. Rômulo, de todas as instituições. O Congresso Nacional para nos ouvir. O Congresso Nacional sinaliza a boa intenção, sinaliza uma motivação. E eu vou dizer uma coisa, e eu fui Ministra da pauta – eu fui Ministra da pauta –: eu vejo nesta legislatura uma motivação que eu não via nas legislaturas anteriores. Estão no Senado hoje muitos Parlamentares comprometidos com a causa. Então, é o momento de a gente aproveitar e avançar. É o momento de a gente estar junto, todo mundo junto.

Esta sessão de hoje, em homenagem ao Dia Mundial e ao Dia Nacional das Doenças Raras, é uma sessão extremamente importante, porque ela cai no dia 28, mas o nosso dia é amanhã, dia 29; este é o ano em que a gente comemora dois dias. Hoje eu estava falando mais cedo na Comissão – aqui na Comissão, mais cedo –: hoje é o nosso dia também, porque no ano que vem vai ser nesse dia. E as pessoas que estão nos assistindo talvez não entendam: por que 29 de fevereiro? Porque 29 de fevereiro é um dia raro. Então, o dia 29 de fevereiro é o dia instituído mundialmente para a gente falar sobre as doenças, para a gente falar sobre os avanços, sobre as necessidades e especialmente sobre a conscientização, para fazer trabalhos, ações



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

e iniciativas de conscientização. Então, o Senado o comemora hoje, dia 28, por meio desta sessão, dizendo a todos vocês: todos nós somos raros de verdade.

Obrigada por estarem aqui. Muito obrigada.

E eu fico imaginando a vontade que a Senadora Mara tinha de estar neste momento aqui, conduzindo este debate. Vai ser um debate que a gente vai conduzir de uma forma muito madura. Mas, é claro, aqui a gente tem o Ministério da Saúde, e a gente vai dizer: "Façam mais por nós". Aqui está a Anvisa: "Anvisa, por favor, não se esqueça da gente". Vai ser um momento de a gente fazer um diálogo, um diálogo maduro, um diálogo também movido de muita emoção.

Atenção quem está nos acompanhando: fiquem até o final, porque eu sei que nós vamos ter falas carregadas de muita emoção nesta tarde.

Como a Mara não pôde vir, a nossa Senadora manda uma mensagem, da qual eu passo agora a fazer a leitura. E ela manda essa mensagem com muito carinho para todos vocês, inclusive para mim, dizendo:

Cara Senadora Damares, caras convidadas e caros convidados desta audiência pública que celebra uma data importantíssima: o Dia Mundial e o Dia Nacional das Doenças Raras.

Gostaria de agradecer a presença de todos neste dia, mas, sobretudo, quero parabenizá-los pela atuação e pelo grandioso trabalho que realizam para promover os direitos das pessoas com doenças raras e de suas famílias, e contribuir para melhoria da qualidade de vida dessa parcela da população.

Hoje temos uma Portaria do Ministério da Saúde, a Portaria 199, que completou 10 anos em vigor e que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Por isso, para celebrarmos o Dia Mundial e nos conscientizarmos da necessidade de trabalharmos para os brasileiros com doenças raras, convidamos representantes do governo, das sociedades médicas e de organizações de pacientes para esse debate.

Queremos dar visibilidade às pessoas com doenças raras e suas necessidades para continuarmos evoluindo na atenção desses milhões de brasileiros e suas famílias.

Peço desculpas por não estar pessoalmente com vocês. Infelizmente, estou em licença médica por motivo de saúde. Mas quero que saibam que meu coração está aí [temos certeza, Mara!] e que reforço o meu compromisso para ampliar essa rede de cuidados e de inclusão social das pessoas com doenças raras em nosso país. Elaboramos uma Revista para mostrar o nosso trabalho [da Subcomissão] na CASRRaras em 2023, que entregamos com muito orgulho a vocês hoje. E, neste ano de 2024, apresentaremos um novo plano de trabalho na Subcomissão de Raras com o objetivo de avaliar a Portaria 199 e contribuir para seu aprimoramento. Contamos com a participação de todos nos trabalhos desse ano e queremos ouvir suas necessidades e sugestões.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Agradeço mais uma vez a presença de todos e a parceria da senadora Damares nesta causa. Mando um beijo carinhoso a todos e desejo uma excelente audiência. Muito obrigada!
Senadora Mara Gabrielli.

Que emoção, gente! Eu tenho certeza de que o coração dela está pulsando neste momento. Esse é o recado da Senadora Mara, que fez referência à revista.

Todos vocês sabem que a Subcomissão começou no ano passado. E a gente traz aqui uma prestação de contas do trabalho que já foi feito pela Subcomissão. Eu convido todos vocês a conhecerem – quem ainda não recebeu a revista, depois peça aqui na Comissão –, que todos vocês conheçam o que foi feito em um ano de trabalho... ou menos de um ano, porque a gente começou ano legislativo ali em fevereiro, foi ano de posse, com muita gente nova chegando, mas avançamos na Subcomissão nos objetivos propostos. Ela tem um cronograma de trabalho e a gente conseguiu cumprir o nosso cronograma de trabalho. E chamo atenção de vocês também porque a revista foi feita com muito carinho. A nossa assessoria caprichou na apresentação, na forma como colocou o conteúdo, e eu fiquei muito emocionada quando eu vi o trabalho final da nossa assessoria. Então, está aqui. Conheçam a nossa revista e o trabalho que a Subcomissão fez.

E nós vamos dar continuidade. Nós já temos perguntas que estão chegando, participação do nosso público via internet, e eu estou muito feliz, porque eu acho que os nossos expositores terão muito muito trabalho para responder às perguntas hoje.

Quero registrar que está no plenário conosco o Vereador Leonardo Dias de Maceió, parceiro do Dr. Hemerson do instituto para dar visibilidade às doenças raras lá no estado, e ele tem isso como pauta também, ele tem dedicado a sua atuação legislativa também em defesa das pessoas com doenças raras, em luta pela causa rara lá em Maceió. Parabéns, Vereador, e obrigada por estar presente conosco.

Nós temos já distribuídos os nomes dos nossos oradores. Na lista divulgada, há uma ordem; mas eu quero pedir permissão aos oradores que estão presentes, porque nós vamos fazer uma inversão. A nossa Presidente da Sociedade Brasileira de Genética Médica, a Ida Vanessa, vai precisar falar primeiro, porque ela tem uma outra agenda. Então, nós vamos começar as exposições com Ida Vanessa... Eu não sei se pronunciar o seu nome, Ida. Depois você se apresenta direito. Que nome difícil! Ela é Presidente da Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica. Ela vai fazer sua participação via videoconferência.

Seja muito bem-vinda! Obrigada por ter aceitado o convite.

A senhora tem dez minutos para a sua exposição inicial e depois teria mais cinco minutos de considerações finais, mas eu vou ser tolerante com a senhora: pode passar um pouquinho dos seus dez minutos aí, porque a senhora não vai usar os seus cinco no final.

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ (Por videoconferência.) – Está bem.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Seja muito bem-vinda, estamos muito felizes com a sua presença.

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ (Para expor. *Por videoconferência.*) – Muito obrigada.

Na pessoa, então, da Senadora Damares, eu saúdo a todas as pessoas que estão participando desta conferência, da audiência, de forma *online* ou presencial. É uma honra para mim estar participando, então, como Presidente da Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica.

Vejam que até, no fundo aqui da minha apresentação, digamos, tem uma frase: "Somos um serviço de referência em Doenças Raras", porque eu atuo dentro do serviço de genética médica do Hospital de Clínicas de Porto Alegre.

Eu vou compartilhar a minha tela. (*Pausa.*)

Só estou arrumando aqui para fazer o compartilhamento... (*Pausa.*)

Acho que está dando para ver, não é?

Então, nesses dez minutos, em torno de dez, que eu tenho disponíveis, eu vou apresentar para vocês a nossa visão em relação aos desafios e aos avanços que houve no Brasil com a instituição da Portaria 199, que delinea a atenção integral aos brasileiros e brasileiras com doenças raras.

Eu não tenho conflito de interesses com o tema desta apresentação.

Eu vou iniciar comentando com vocês que toda a minha exposição é centrada, então, no nosso Sistema Único de Saúde (SUS), que é o sistema do qual pelo menos 80% dos cidadãos e cidadãs brasileiros dependem para ter o seu acesso à saúde.

Obviamente, a realidade do SUS, em termos de acesso a exames genéticos, ainda não ocorre da mesma forma que ocorre no sistema privado. Existem desigualdades, mas o SUS, sem dúvida alguma, principalmente nos últimos anos, tem fortalecido a sua política em prol da comunidade de raras. Mas eu já aponto para vocês que essa aparente dicotomia do público e do privado gera alguns problemas que devem ser saneados em termos de pesquisa e de base de dados, porque não existe no Brasil uma base de dados única, que una o Datasus, por exemplo, com os dados do sistema privado.

Eu vou dar um exemplo muito simples, que diz respeito ao teste do pezinho, da triagem neonatal: as estatísticas que nós temos disponíveis são aquelas do Ministério da Saúde, a que o programa está vinculado, mas essa estatística inclui, a princípio, 80% dos recém-nascidos vivos, porque se estima que 20% façam a triagem neonatal no sistema privado. Como os dois sistemas não funcionam de forma concatenada, na realidade a gente nem sabe quantos brasileirinhos e brasileirinhas realizam esse teste. Então, em termos de



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

estatística para planejamento de políticas públicas, em qualquer área das raras, esse é um entrave que tem que ser vencido.

E daí eu vou iniciar... Eu sempre vou mostrar avanço e desafio. Então, um dos avanços que nós tivemos nos últimos anos – já faz dez anos; é impressionante como o tempo passa rápido – foi a instituição da Política Nacional de Atenção Integral às Doenças Raras, em 2014. Obviamente já existiam alguns outros movimentos na área, mas essa data, então, é um marco para a comunidade de raras.

E eu gostaria de colocar aqui também a importância de se ter uma Coordenação-Geral de Doenças Raras. A coordenação, inicialmente, pela primeira vez, foi criada ainda quando a Senadora Damares era Ministra. E essa coordenação permanece, agora vinculada ao Ministério da Saúde. A existência de uma coordenação reconhecida dentro de um ministério, no Brasil, é muito importante. Então, nós consideramos uma conquista.

A política trouxe também como avanço a criação dos serviços de referência para doenças raras no Brasil. Vocês veem que o meu mapa está até desatualizado, porque atualmente existem 32 serviços de referência para doenças raras habilitados no nosso país.

O que são esses serviços? Esses serviços são geralmente serviços de genética – mas não obrigatoriamente – que recebem uma verba mensal do Governo para se equipar e poder fornecer à comunidade de raras tanto as consultas quanto os exames que são necessários para o seu diagnóstico.

Só que aí vocês podem dar uma olhadinha no mapa, que já mostra um dos nossos desafios: a maioria dos serviços de referência são localizados no Sul e no Sudeste. Existem ainda poucos serviços de referência no Nordeste, no Norte e no Centro-Oeste. E eu aponto, sim, que, em relação à Região Norte, o serviço de referência foi criado no final do ano passado, ele é muito recente. Então, aqui, é um desafio, porque nós temos áreas no Brasil ainda desassistidas em relação ao atendimento de raras. E eu estou falando do SUS; não quer dizer que nas regiões não possa ter médicos geneticistas que façam atendimento na rede privada.

Aqui neste eslaide, também eu já coloquei que a genética médica é, por enquanto, a menor especialidade em termos numéricos no Brasil. Então, nós temos em torno de 400 especialistas atuando em todo o nosso país, o que é um número reduzido. Mas aqui eu também estou colocando para vocês, o que é uma coisa boa – a gente tira essas informações do Datasus –, a quantidade de consultas feitas nesses serviços de referência para aconselhamento genético.

Aconselhamento genético, então, em princípio, quem faz é o médico geneticista. Ele tem uma definição bem ampla, ele é mais até uma atividade educativa, em que se passam informações sobre a condição genética da família, risco de recorrência, a questão de tratamento. E o que a gente pode ver é que a política foi instalada em 2014. Pela política, então, existe um pagamento aos serviços de referência pela realização de aconselhamento genético. Aconselhamento genético era um procedimento que antes não estava incluso no SUS, e vocês veem, então, que a gente, ali até...



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

(Soa a campanha.)

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ *(Por videoconferência.)* – ... 2023, tem registrado em torno de 40 mil procedimentos de aconselhamento genético realizados.

Mas, em relação aos desafios desses dois pontos, eu também trago um mapa aqui um pouquinho diferente do outro, mas que diz respeito à localização dos médicos geneticistas. Neste mapinha aqui, as regiões que estão em amarelo têm menos médicos geneticistas, e as regiões que estão em rosa, tons de roxo, têm mais geneticistas. Também existe uma disparidade: novamente ali, Norte, Nordeste, Centro-Oeste, com um número menor de profissionais.

Em relação ao acesso para exames, eu coloquei os avanços: a política criou procedimentos que incluem esses exames, alguns muito sofisticados, como sequenciamento de exoma para deficiência intelectual; mas nós sabemos – e aí é um desafio – que esses exames, embora estejam previstos na portaria, não são passíveis de realização em todos os serviços de referência.

Da parte de pesquisa, nós também sabemos que o Ministério da Saúde tem um programa que se chama Genomas Raros, e esse programa oferece o sequenciamento de genoma para alguns casos de doenças raras.

E este aqui é um gráfico de uma pesquisa que tem sido realizada no Brasil, que já incluiu 12 mil indivíduos com doenças raras, mostrando para vocês que quase 20% desses indivíduos são casos ainda não diagnosticados – porque existe essa categoria: a gente tem doenças raras com diagnóstico e doenças raras sem diagnóstico, porque, às vezes, elas nem foram descobertas ainda, ou a pessoa não teve o diagnóstico porque ela não teve acesso a toda a investigação que ela tinha que fazer. Então, vocês vejam: diagnóstico confirmado, aqui, desses 12 mil, foram 60%; e 20%, mais ou menos, ainda são casos sem diagnóstico.

Em relação ao acesso a exames – também quero mostrar para vocês –, é o mesmo panorama: os serviços de referência localizados no Sul e no Sudeste são os que têm mais acesso aos exames diagnósticos de genética.

Em relação a dados epidemiológicos, eu aqui quero só ilustrar o que eu já comentei com vocês. Neste artigo aqui, foi feito um levantamento, com base na base de dados Datasus, do número, por exemplo, de internações hospitalares por doenças raras genéticas entre 2019 e 2020, que deu 640 mil; mas vocês vejam que, quando a gente vai trabalhar em termos de sistema privado, a gente não tem essas informações, embora a gente tenha a informação de quantas consultas com geneticistas são feitas no privado.

Mas existem algumas iniciativas para melhorar essa questão da epidemiologia.

O que é epidemiologia? É dizer assim: "ah, somos raros, mas quantos somos?; Somos raros, mas onde estamos?; Quais são as condições mais prevalentes?; O que é mais prevalente no Rio Grande do Sul?; O que é mais prevalente em Brasília?; O que é mais prevalente no Maranhão?".



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, nós temos pesquisas que são financiadas pelo Ministério da Saúde e pelo CNPq, como essa rede Raras, que está traçando, então, a epidemiologia de doenças raras no país.

Estou quase terminando, vou comentar alguma coisa sobre medicamentos.

Vocês sabem que a questão de medicamentos para doenças raras é uma questão muito complexa.

(Soa a campanha.)

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ *(Por videoconferência.)* – Vários medicamentos não são reembolsados e acabam indo para a judicialização.

Em novembro de 2022, a Conitec também acabou – para todas, quando eles fazem as análises econômicas – instituindo um valor que a gente chama limiar de custo-efetividade, que é o mesmo para a doença frequente e para a doença rara, embora ele diga que isso pode ser adaptado para doenças raras.

Então, essa questão aqui no Brasil de que ainda o processo de avaliação de medicamentos para raras é igual ao de doenças frequentes é uma coisa que tem que ser olhada com mais cautela.

Independente disso, nós temos mais de 40 tratamentos para doenças raras cobertos pelo SUS, o que é bom, inclusive terapia genética. Vocês devem ter acompanhado o caso do Zolgensma e da atrofia muscular espinhal proximal.

Em relação à pesquisa – eu vou terminar, mas eu quero comentar com vocês que nós temos que gerar mais dados sobre a odisseia diagnóstica dos indivíduos com doenças raras no país –, os dados indicam que os pacientes demoram cinco anos desde que iniciam com os sintomas até entrarem num serviço de referência. Quando eles entram, o diagnóstico é feito relativamente rápido, menos de um ano, mas muito tempo é perdido na fila de acesso. Então, essa questão da regulação da fila da genética é importante. Aqui, no Rio Grande do Sul, a fila é de 2,5 mil indivíduos esperando atendimento.

Com isso, eu vou terminar a exposição. Vou terminar com esse eslaide aqui dizendo que a cooperação, a união e o *networking* são essenciais na área, lembrando que a telegenética também, que há a possibilidade de se fazerem teleconsultas na área de doenças raras e elas devem ser cada vez mais incorporadas ao sistema. Elas já estão incorporadas desde a pandemia, mas nós temos que ser mais criativos também em seu uso.

Muito obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dra. Ida, obrigada pela sua participação.

Já tenho uma pergunta aqui para a senhora. Eu vou passar a pergunta, porque sei que a senhora tem que se ausentar.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Mas faço um destaque na sua apresentação sobre a odisseia. A senhora traz uma realidade de uma média de cinco anos de espera entre o diagnóstico, o início do atendimento e o acolhimento no serviço público. A gente tem que acabar com isso. Eu acho que esse é um dos grandes desafios de todos nós. A senhora traz uma média de cinco anos, mas quem vai para regiões mais remotas do país... E, como está no auge esta semana, me permitam falar de Marajó. Eu estive lá. Eu estava lá, na floresta, com aquelas mães, com as famílias que nem sabiam, às vezes, que eram raras. Eu estava lá, e não são apenas cinco anos, doutora. Eu sei que a senhora traz uma média.

Lamentavelmente, a gente vai precisar avançar muito, muito. O Brasil vai precisar avançar nesse sentido.

Trago para a senhora a pergunta que veio pela internet, lá do Rio Grande do Norte, de Alexandre Ribeiro. Ele não vai falar, ele não está perguntando sobre dados científicos, mas ele faz uma pergunta que eu acho que a senhora tem condições de responder, sim, Dra. Ida. Ele pergunta: "De que maneira é possível melhorar a qualidade de vida e sobrevida dos pacientes com doenças raras?".

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ (*Por videoconferência.*) – Eu acho que essa pergunta é bem importante. Como a senhora mesma ressaltou, a gente acaba falando em médias, mas, obviamente, as situações são muito heterogêneas e vão variar de casos para casos.

Como é que eu responderia, então, essa pergunta? Obviamente que, se houver um tratamento específico para a condição rara de que a gente estiver falando, é fundamental que a pessoa receba esse tratamento. Só que nós sabemos que, na maioria das vezes, nos casos de doenças raras genéticas, não existe – e eu digo sempre "ainda", porque nós sempre temos esperança – um tratamento específico.

Então, o principal para a questão da qualidade de vida e sobrevida é o cuidado, e um cuidado amplo, certo? O acolhimento. Esse cuidado amplo, obviamente, significa que a pessoa tem que ser acompanhada por algum serviço ou acompanhada na sua própria residência, se isso for possível, para ver evolução e para a gente poder entrar com algumas intervenções da parte que a gente chama de medicina de reabilitação.

Então, é muito importante fisioterapia, fonoaudiologia, a parte de nutrição também e pensar na coisa do acolhimento e da inclusão, porque, quanto mais amada e quanto mais aceita for a pessoa, mais a gente consegue levar a vida com tranquilidade, está certo?

Então, é isso que eu tenho para dizer. É uma coisa que vai depender do sistema, mas também de toda essa parte mais afetiva, está bem?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dra. Ida, só mais um minutinho, permaneça conosco.

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ (*Por videoconferência.*) – Sim, tranquilo.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Está presente conosco, no plenário, a Senadora Soraya. Ela também é uma das Parlamentares comprometidas com a pauta. A Senadora Soraya é do Mato Grosso do Sul, para quem não a conhece.

Eu queria informar à Senadora, porque ela não estava sabendo, que a Dra. Ida vai ter que falar e sair. A senhora teria alguma pergunta direcionada a ela? (*Pausa.*)

Não. O.k., mas a senhora fique à vontade. Eu sei que a tarde hoje está agitadaíssima no Senado, a sua agenda está lotada. Fique à vontade para fazer sua manifestação quando necessária.

Dra. Ida, a gente quer lhe agradecer, e eu quero fazer mais um destaque da sua fala. A senhora celebrou a coordenação nacional das doenças raras no antigo Ministério da Família, que foi um espaço também conquistado no Executivo, e essa coordenação foi enviada agora para o Ministério da Saúde. Então, a gente tem que celebrar também o espaço conquistado por todos vocês lá no Executivo. Nós temos espaço hoje no Legislativo, temos espaço lá no Executivo. Isso também é um motivo de celebração nesta tarde. Dra. Ida, queremos agradecer a sua participação, parabenizar a Sociedade Brasileira de Genética Médica e Genômica e parabenizar especialmente o seu trabalho, o seu trabalho individual, tudo que a senhora tem feito pela causa. Muito obrigada por sua participação.

A SRA. IDA VANESSA DOEDERLEIN SCHWARTZ (*Por videoconferência.*) – Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Vamos dar continuidade, nós vamos seguir a lista de expositores.

Nós vamos, na sequência, ouvir o João Batista Silva, Gerente de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Dr. João, muito obrigada por estar presente, por ter aceitado o convite. Leve um abraço ao Presidente da Anvisa. É uma honra tê-lo aqui. Nós estamos na expectativa com a sua fala, está todo mundo aqui muito ansioso pela sua fala.

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR (Para expor.) – Muito obrigado, Senadora Damares.

E, na sua pessoa, eu cumprimento o Rômulo também e os colegas que estão *online*, que vão fazer parte desta mesa.

Eu também quero desejar um boa-tarde a todos vocês que estão nos ouvindo pela televisão, pela internet e também a quem está presente aqui.

Eu estou muito feliz, do ponto de vista pessoal, de estar aqui falando e podendo representar a Anvisa. Então, em nome da Anvisa, quero agradecer muito à Comissão por ter colocado a Anvisa nessa discussão. Nós temos um apreço muito grande por esse trabalho. Esse trabalho com as doenças raras tem nos motivado a crescer como agência reguladora. Vocês vão observar isso aqui na minha apresentação, porque nós



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

tivemos muitos ganhos nas metodologias de avaliação de medicamentos e produtos como um todo através da imersão que nós tivemos que fazer para atender aos pacientes de doenças raras. Então, é um pouco disso aqui, e vou falar, claro, do papel da Anvisa. Eu tenho as limitações do ponto de vista de competência, o que é típico da nossa ação regulatória.

Só para fazer uma introdução rápida, a Anvisa é uma agência reguladora que tem um espectro enorme de atuação. Vocês podem ver na lista que eu coloquei para vocês o tanto de produtos e serviços que a agência regula, e isso é feito em parceria com as secretarias municipais e estaduais de saúde, através das vigilâncias sanitárias locais.

Eu fiz essa introdução inicialmente sobre as doenças raras, e vocês vão entender o porquê eu falei isso. Nós começamos essa discussão, obviamente, há muito tempo. Sempre que chega um produto à Anvisa, um produto inovador, e quando esse produto ainda é destinado a pacientes raros, a Anvisa se mobiliza para tentar atender essa demanda de forma eficiente. Isso faz com que os nossos modelos regulatórios, que são antigos, compartilhados com outros países, sejam, inclusive, adaptados. Vamos falar um pouco sobre isso.

Eu trouxe aqui só algumas informações que vou utilizar nessa discussão. Há este conceito, que a gente trouxe para o Brasil e que é da Organização Mundial de Saúde, em 2014, da estatística e de quando é que se classifica uma doença rara. Nessas doenças, 72% são de origem genética, e isso é muito importante para que nós possamos direcionar o nosso olhar para os produtos que estão sendo desenvolvidos e também aprovados pela agência.

Entre 60% e 80%, segundo dados da OMS, são crianças – acometidas são as crianças, obviamente. E isso também traz uma percepção importante para a agência. Quando a agência avalia um produto em pediatria, a gente tem todo um cuidado, primeiro porque é um público vulnerável, segundo porque é prioridade, para que a agência possa avaliar esses produtos.

Treze milhões de pessoas vivem com essas enfermidades, e para 95% delas não há tratamento específico, ou seja, isso também faz com que exista uma coisa na agência chamada emergencialidade e prioridade para fazer essas análises, porque sabemos que, quando chega um produto específico, nós precisamos correr para que o paciente tenha acesso.

Só para introduzir um pouco aqui, como nós estamos no Sistema Único de Saúde, em que o Ministério da Saúde e outros órgãos têm as suas competências, é importante entender o papel da Anvisa nesse contexto.

Então, a Anvisa entrega para a sociedade o quê? Produtos e serviços seguros, eficazes e de qualidade. Esse é o nosso papel. É como se fosse a porta de entrada dos produtos e serviços no Brasil a Anvisa. E aí a gente faz o quê? A gente faz avaliações de riscos e benefícios. Então, a partir dos dados, do desenvolvimento daqueles produtos, você precisa fazer um balanceamento dos riscos e benefícios para aquele público que vai ser atendido por aquele produto, aquele serviço – isso com base na ciência. O peso tem que ser o



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

benefício. Então, os benefícios são o quê? São aqueles que são efeitos favoráveis ao paciente. Então, você tem um produto, e todo produto e todo serviço, em medicina, em saúde, tem riscos – isso faz parte de qualquer ação que envolve produtos e serviços em saúde –, só que nós precisamos fazer um balanceamento. As pesquisas precisam demonstrar que os benefícios, os efeitos favoráveis têm mais peso do que os riscos. E esses riscos precisam ser manejáveis, ou seja, o médico, o tratador precisa lidar com esses riscos, para que a gente tenha um efeito melhor. Então, essa é a nossa preocupação desde o início de qualquer avaliação de pesquisa e qualquer avaliação de produto que vai entrar no Brasil.

Aqui eu trouxe para vocês o ciclo de vida de um produto. Quaisquer produtos – mesmo os produtos ordinários, podemos dizer assim, que são aqueles que não são destinados a doenças áreas, ou os produtos que são para doenças raras – vão passar por este ciclo: desenvolvimento e pesquisa, que acontecem lá nos centros de pesquisa, nas universidades – ali começa o processo –; depois os estudos pré-clínicos – então, esses produtos vão passar por estudos pré-clínicos *in vitro*, e muitas vezes em animais; nós estamos cada vez mais avançando para usar menos animais com métodos alternativos surgindo, mas ainda os estudos com animais são necessários –; e depois entram os ensaios clínicos. O que são ensaios clínicos? Onde o produto vai ser, então, utilizado em seres humanos. A Anvisa entra aí. É a primeira parte em que a Anvisa entra para fazer uma avaliação se aquele ensaio clínico vai levar a resultados para chegar a ter uma aprovação final, também, claro, protegendo o participante de pesquisa.

Então, geralmente, os produtos passam por uma Fase 1, Fase 2, Fase 3, numa perspectiva de buscar dados de segurança, de qualidade, de eficácia daquele produto; depois ele é registrado – a Anvisa faz uma série de avaliações, de certificações da produção, para saber se aquela produção tem qualidade ou não –; e depois vai entrar num circuito que a gente chama de vigilância pós-registro. Nunca um produto que é registrado no Brasil não vai ser monitorado, então sempre ele vai ser. Uma aspirina, para vocês terem ideia, que todo mundo conhece, há anos que já existe no mercado, é monitorada. Se tiver algum evento adverso, algum problema com a aspirina, nós vamos ter que fazer alguma ação para controlar esses riscos. Só para vocês entenderem esse processo geral.

Para doenças raras, os produtos de doenças raras, é a mesma coisa, nós vamos ter que passar por esse ciclo. Por quê? Esse ciclo vai fazer com que o produto que está sendo desenvolvido em pesquisa vá chegar ao paciente seguro, de qualidade e com eficácia. Só que qual é o desafio? Eu vou falar do desafio da agência reguladora. Eu sei que os pais têm desafios, o Ministério da Saúde tem seus desafios, os produtores, os políticos também têm seus desafios, no caso das doenças raras. No caso da Anvisa, é: como nós vamos lidar com a aprovação de produtos onde eu tenho – vou pegar aqui aleatoriamente – pequenas populações, porque é raro, nós temos pouca... A epidemiologia da doença é pequena na população, ou seja, o quantitativo de pessoas que vão usar esses produtos nos ensaios clínicos também é pequeno. E como lidar com isso? Nós estamos acostumados a lidar com um n muito grande; para uma vacina, por exemplo, são 10 mil pessoas que se utilizam para aprovar uma vacina. Aqui, às vezes eu vou usar em cem pessoas, e tem que aprovar esse produto. Então é um desafio. As doenças são progressivas, graves, debilitantes e não têm



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

alternativa. Isso faz com que a agência precise ser rápida, ágil, eficiente, mantendo a eficiência, mas de uma forma acelerada porque não se pode esperar.

Nós temos uma diversidade fenotípica e genotípica importante na doença, são síndromes, muitas vezes. Então, hoje, o mecanismo para desenvolver um produto é pegar um índice, pegar um desfecho e atacar aquele desfecho e ver se vai ser resolvido ao longo do tempo. Não é assim, porque uma síndrome é complexa. Então nós temos essas dificuldades técnicas, não é? Os biomarcadores, faltam padrões para esse tipo de doença, então também é um desafio para nós.

E existe uma questão muito importante: quando essas pesquisas começam a ser desenvolvidas em pequenos centros de pesquisas, em centros acadêmicos, e os resultados começam a aparecer *in vitro*, para passar para os seres humanos é preciso fazer uma traslação, sair daquela bancada do laboratório até chegar a um produto que vai para o ser humano, e isso é um processo difícil. E precisa de investimento em pesquisa, então há toda essa questão.

Bem, isso que eu trouxe foram alguns desafios que passam pela nossa cabeça, pela nossa prática, que eu queria compartilhar com vocês, mas nós temos que enfrentá-los. E como é que a Anvisa tem trabalhado nisso?

Bem, deixe-me só voltar aqui.

(Soa a campainha.)

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR – A pergunta que nos aparece sempre é esta: como promover que pacientes raros tenham acesso oportuno aos produtos terapêuticos com segurança, eficácia e qualidade comprovada – não dá para ser um achismo, eu preciso comprovar todos esses atributos – para as necessidades de saúde e qualidade de vida desses pacientes? É um desafio, porque nós temos características desse tipo de doença.

Bem, o que a Anvisa tem pensado, do ponto de vista estratégico? Usar predição e precaução. Então, nós temos pouco n de estudo, poucas pessoas que passaram por aqueles estudos, mas eu preciso, então, fazer mecanismos de predição e precaução, mecanismos regulatórios eficientes com foco no paciente, no acesso do paciente. É preciso que nós, que estamos lá na análise estatística e análise técnica daquele produto, pensemos que o paciente precisa desse produto, então é trabalhar com essa questão do acesso e analisar com riscos e benefícios. E, para isso, usamos uma coisa que a gente tem chamado lá dentro de mecanismos regulatórios adaptados. Eu vou perder segurança, eficácia e qualidade? Não. Mas eu posso adaptar os mecanismos de desenvolvimento e de regulação para que esses produtos possam chegar mais rápido ao paciente.

Vou passar rápido aqui.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Há duas estratégias que a Anvisa utilizou. A primeira foi em 2017. Ela publicou a RDC 205, que traz um procedimento especial que tem que ser feito no processo de aprovação desses produtos, tanto dos ensaios clínicos quanto dos produtos que vão ser registrados. Essa é primeira coisa. Então, isso reduz os prazos... Vocês vão ver alguma coisa aqui na frente. E também, em 2021 – na verdade, em 2020; nós atualizamos em 2021 –, publicou uma RDC que trata dos produtos de terapias avançadas.

As terapias avançadas, principalmente terapia gênica, têm se mostrado na medicina uma alternativa importante para pacientes raros, principalmente pacientes raros de doenças genéticas. Nós vamos falar um pouquinho, rapidinho – eu já estou estourando meu tempo, mas eu vou correr.

Bem, vou só trazer para vocês um pouco dos medicamentos especiais que estão entrando no Brasil agora ultimamente, que são os produtos de terapias avançadas. Eles entraram no Brasil a partir de 2018, com regulação da Anvisa, e já temos produtos registrados, inclusive incorporados no SUS. Vamos falar um pouquinho disso aí.

Esses produtos a gente pode dividir em: terapia celular avançada, quando o paciente vai receber uma célula que foi produzida ou desenvolvida; engenharia tecidual, que são tecidos e órgãos desenvolvidos em laboratório; terapia gênica, que é uma mudança genética da célula, que pode ser feita exteriormente, pode ser feita no laboratório, a terapia gênica *ex vivo*, ou uma terapia gênica *in vivo*, que é a introdução do gene direto no paciente; e produtos combinados. Hoje os produtos podem ser combinados com tecnologias, com equipamentos. Só para vocês terem uma ideia desse conceito.

Bem, e aí como é que a Anvisa, diante de dois cenários... Só para vocês perceberem: a gente tem um cenário de doenças raras, que é um cenário que a agência precisa pensar... ela precisa mudar, fazer uma alternância do seu *mindset*, porque ela tem uma experiência de regular medicamentos que tem um n populacional muito grande, uma característica dos medicamentos que a gente tem até agora. Então, a doença rara requer uma avaliação específica, e nós estamos diante de produtos inovadores. Além de serem raros, são produtos inovadores, o que envolve uma avaliação técnica específica.

Vou trazer para vocês alguns pontos aqui que temos trabalhado e que têm dado certo, mas nos quais temos que avançar muito.

Então, processos de avaliação acelerados e priorizados. Foi a primeira ação que a Anvisa fez, e a gente tem tentado, dentro das perspectivas... A agência está com sérios problemas de recursos humanos, mas a gente tem colocado as doenças raras como prioridade e acelerado processos.

Constituição de comitês científicos específicos, ou seja, convidar a sociedade científica, cientistas brasileiros para nos ajudar nesse processo.

Uso de mecanismos de confiança regulatória. Há muito tempo, a Anvisa vem fazendo parte de grupos internacionais de reguladores, pesquisadores. Isso tem nos ajudado, inclusive, a conhecer melhor os



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

produtos e, inclusive, a utilizar decisões de outras agências de reconhecimento internacional para acelerar esse processo de avaliação no Brasil.

Nós enfrentamos uma questão que é o quê? A compreensão de que estamos diante de estudos clínicos adaptados, desenhos combinados – às vezes eu não tenho aquela Fase 1, Fase 2, Fase 3 que eu mostrei para vocês; às vezes eu preciso fazer Fase 1 misturado com Fase 2, combinar os dois. Por quê? Porque se mostrou tão bem... Foram resultados tão efetivos na fase pré-clínica que eu já posso começar com o paciente. Então, eu já faço Fase 1 e Fase 2 com o paciente. Geralmente, Fase 1, em medicamentos convencionais, você usa indivíduos saudáveis. Numa doença genética, com a terapia gênica, você não pode utilizar um gene em um paciente saudável. Então, você já faz uma combinação.

Desfechos substitutivos. Muitas vezes, pessoal – vocês sabem muito melhor do que eu –, uma doença rara, uma doença genética envolve uma progressão, e você vai ver resultados em longo prazo.

Muitas vezes os resultados, de imediato, são resultados que a gente chama de substitutivos, ou seja, eu vou ver que a proteína vai ser produzida, eu vou ver aqueles índices ali mudando na bioquímica do paciente, mas na clínica eu só vou ver isso a longo prazo. Então, é muito importante a agência ter mecanismos de monitoramento desses dados no longo prazo.

E aí muitas vezes esses produtos são registrados sob compromisso.

(Soa a campainha.)

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR – Você registra, comprova a eficácia; você vai acompanhar esses pacientes a longo prazo, e aí a empresa tem a responsabilidade de, periodicamente, no caso do Brasil, acompanhar por 15 anos – a nossa legislação colocou –, com avaliações anuais desses produtos.

Vou passar rapidamente, gente, para a gente ganhar tempo aqui nas discussões.

Bem, então, qual o resumo da obra aqui toda para vocês? O que nós temos pensado e trabalhado diariamente? Adaptação regulatória, sem perder – para vocês pacientes aqui saberem –, mantendo os padrões elevados de avaliação de segurança, qualidade e eficácia que a Anvisa faz com todos os produtos, e tem um reconhecimento internacional por isso, mas nós precisamos adaptar e temos feito isto: adaptação regulatória.

Estou terminando.

E só para finalizar, os dados que a gente tem para vocês aqui, para a gente aprimorar nossa discussão. Para vocês verem: a partir de 2016, começou a aumentar muito o número de produtos, medicamentos para doenças raras no Brasil. Hoje nós temos mais ou menos 122 produtos registrados para doenças raras no Brasil: cinco são produtos de terapia avançada – esses dados, pessoal, como nós não fechamos ainda o



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

nosso relatório final de gestão de 2023, são consolidados até junho de 2023 –; 49, produtos biológicos; e 68, medicamentos sintéticos ou específicos.

É muito interessante, eu sempre vejo, porque essa política nasce em 2014, a gente tem movimentos importantes do Parlamento, movimentos da sociedade, como a influência disso é importante: o Brasil passa a ser reconhecido, produtos passam a ser registrados, empresas querem registrar no Brasil, empresas querem investir no desenvolvimento do Brasil. A gente vê um crescimento importante aí, praticamente uma média de 14 produtos sendo registrados por ano destinados a doenças raras.

Os de terapias avançadas – eu trouxe para vocês aí porque é o meu metiê, eu trouxe por isso – são específicos, são medicamentos específicos, então é mais fácil a gente compilar e trazer para vocês. São produtos para várias doenças, tanto doenças genéticas quanto doenças também oncológicas, que são consideradas raras porque são doenças que você já tem refratariedade e não tem mais alternativa terapêutica para aquele paciente que está sofrendo daquele câncer. E a gente está com quatro produtos em avaliação ainda. Por confidencialidade da agência, a gente não pode falar sobre o nome do produto, mas são produtos da terapia gênica para doenças raras importantes: hemofilia A, distrofia muscular de Duchenne e outras doenças aí, enfim.

Aqui é só para vocês terem uma ideia dos ensaios clínicos. De 2018 a 2022... Olhem para vocês verem: esse azul mais escuro é o que demonstra o ensaio clínico com produtos para doenças raras. Olhem o crescimento de 2018 até 2022. Se pegarem 2022, vocês vão ver que são 102 produtos sendo pesquisados no Brasil. Tanto as empresas multinacionais vêm para o Brasil pesquisar aqui quanto há o desenvolvimento nacional também. E é muito expressivo o crescimento das pesquisas no Brasil.

Também em terapia avançada, olhem o tanto de doenças genéticas e raras que estão sendo estudadas no Brasil. São mais de 40 produtos, estudos avaliados pela Anvisa. E a gente tem estudos nacionais também. Claro, a maior parte é multinacional, é uma tecnologia muito inovadora a terapia avançada, mas o Brasil está crescendo muito, e nós temos esperança de que possamos também desenvolver produtos aqui no nosso próprio país.

E a perspectiva – para finalizar realmente – é a gente cada vez mais pensar nisto, junto com a sociedade, junto com o Parlamento, junto com a sociedade científica: que outros mecanismos nós podemos utilizar para facilitar o acesso, do ponto de vista da Anvisa, da competência da Anvisa, para avaliar produtos com segurança, com qualidade, com eficácia, mais eficientemente?

Então, a gente tem tentado usar as tecnologias da evidência de vida real – isso é um assunto que o mundo inteiro tem discutido: como os dados dos pacientes, na vida real, podem nos ajudar, por exemplo, a entender melhor os produtos e, com isso, promover a aprovação mais rápida? –; melhorar a utilização de inteligência artificial, de sistemas de informação, integrando os sistemas de informação da Anvisa com os do Ministério de Saúde e de outras plataformas, principalmente plataformas de pacientes; ter parcerias público-privadas na condução dos estudos e a responsabilidade das indústrias, das empresas que



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

desenvolvem e registram no Brasil, de monitorar os pacientes que estão utilizando esses produtos, o que é uma questão de que a Anvisa não abre mão; e – aproveitando que estamos no Parlamento aqui – aumentar a força de trabalho da agência.

A agência tem um papel importante, fundamental, mas nós precisamos ter mais pessoal lá dentro. Por quê? Nós precisamos fazer uma coisa que se chama aconselhamento regulatório. É uma experiência que tem sido feita em outras agências regulatórias do mundo e tem ajudado muito o desenvolvimento nacional, porque, quando a agência senta com um pesquisador brasileiro – "olha, você precisa fazer isso, vamos por esse caminho, vamos por aquele caminho" –, o processo vai muito mais rápido, e, muitas vezes, o pesquisador consegue sair daquela situação ali da bancada e até chegar ao produto de registro. Então, é muito importante isso. Nós estamos tentando fazer, e é com pessoal, é com mais pessoas na agência que a gente vai conseguir trabalhar e servir melhor a sociedade.

Aqui eu trouxe o portal da Anvisa. Busquem essas informações; tudo o que eu coloquei aqui está no portal, inclusive a lista dos medicamentos registrados para doenças raras. Vocês podem ter acesso a essa lista.

E, para finalizar, muito obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Para interpelar.) – João Batista, talvez as pessoas se perguntem por que eu fui tão tolerante com a sua fala. É porque a gente precisava mesmo ouvi-lo. Para quem está lá na ponta, trabalhando com as comunidades, trabalhando com pequenos municípios, quando a gente não consegue sucesso, a gente culpa a Anvisa. Você sabe disso. Lá na ponta, a culpada é a Anvisa. Mas a gente observa o compromisso de vocês. E eu quero cumprimentar a Anvisa pelo trabalho.

Mas hoje a gente queria mais respostas. Com certeza a gente quer mais respostas. E o senhor disse aí que, com o fortalecimento da agência – se a gente fortalecer a agência, se a gente trabalhar, se o Parlamento trabalhar no fortalecimento da agência –, as respostas poderiam vir mais rápidas. Seria isso?

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR (Para expor.) – Perfeito, Senadora, tanto do ponto de vista de rapidez, obviamente, porque a gente conseguiria inclusive acelerar nossos prazos... Nossos prazos hoje estão muito atrativos. Vocês podem ver que as empresas estão cada vez mais querendo vir desenvolver no Brasil, mas nós podemos melhorar. Então, prazo é um ponto. Mas, além disso, eu acho – e a gente tem feito esses estudos dentro da agência – que, se a gente tivesse mais pessoal... Eu sei que é difícil. Nós estamos numa situação em que o serviço público em si está precisando de mais pessoas, todo o serviço público, mas a questão de mais força de trabalho na agência é para ajudar que nós possamos desenvolver o nosso parque tecnológico industrial aqui no Brasil.

Esses produtos – vocês pacientes sabem melhor do que eu sobre isso – são produtos de altíssimo custo. Esses sete produtos que foram registrados aqui, de terapia avançada, por exemplo, são produtos na



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

escala de 1 milhão, no mínimo; 1 milhão a dose. Então, imaginem – tem um produto desse por, mais ou menos, R\$6 milhões –: como é que o SUS vai bancar esse tipo de tratamento? Só existe uma questão: conseguirmos fazer o desenvolvimento nacional. O Brasil tem condições. Nós temos andado com os pesquisadores, visitado centros de pesquisa no Brasil. O Brasil tem condições de desenvolver, tem pessoal bom aqui para desenvolver, mas nós precisamos de, claro, investimento em pesquisa, é óbvio.

E, no caso da agência, a questão de aumentar a força de trabalho é para fazer o que a agência americana faz e o que a agência europeia faz: aconselhamento regulatório. Você vai lá onde está se iniciando, na *startup* de biotecnologia, você vai à pequena empresa, aos centros nacionais de desenvolvimento, talvez, e faz uma ação regulatória ali no início, mas você precisa de gente, você precisa de acompanhamento, você precisa de monitoramento. A gente não dá conta de fazer hoje aconselhamento regulatório, o que seria uma coisa muito importante para a gente conseguir o desenvolvimento nacional, no Brasil, e com isso, talvez, reduzir custos para o SUS.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Para interpelar.) – O.k.

Dr. João, as pessoas, quando olham para a Anvisa, veem uma instituição muito longe do povo, é uma agência intocável, mas a prática tem nos mostrado aqui, especialmente nesta Subcomissão, como é fácil dialogar com a Anvisa, como é fácil conversar com vocês, trazer vocês para reuniões. Vocês nos recebem, vocês conversam.

As instituições que trabalham com pessoas com doenças raras têm um canal direto? Elas poderiam... Elas têm... A população, o Prefeito lá no interior, aquele pesquisador lá do interior, que está numa angústia muito grande e que vê a Anvisa como um órgão inatingível... Dá para o senhor dar esta resposta para nós neste sentido: a Anvisa é a casa de todo mundo também?

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR (Para expor.) – Muito bom. Obrigado pelos seus questionamentos, que são muito acertados.

Claro, a Anvisa é uma ação do Estado brasileiro muito ligada à ciência, pautada pela ciência, então a gente talvez fique nessa redoma mesmo, mas a gente tem tentado quebrar isso. Claro, os canais da Anvisa estão abertos a qualquer pessoa da sociedade: aos pacientes... Temos recebido, às vezes, pacientes – claro, são menos –, mais pesquisadores, Parlamentares... E aí, como a senhora citou, Prefeitos também têm nos procurado para entender talvez de terapia genética, essas coisas; pelo menos, nos últimos anos, a gente tem observado isso. Então, é muito importante utilizar os canais da Anvisa para que a gente possa talvez compreender melhor, a sociedade possa compreender melhor o nosso trabalho.

A gente tem tentado discutir, inclusive, até com a comunidade europeia – eles têm uma experiência muito interessante... A sua fala me remeteu a uma experiência muito interessante deles. Eu conversei até com o Rômulo aqui também sobre a gente tentar talvez discutir mecanismos, no processo de monitoramento



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

dos medicamentos, para a participação dos pacientes. Por exemplo, nós temos hoje uma perspectiva na Anvisa – colocamos até no nosso indicador estratégico da agência –, no caso de terapia avançada, que vou trazer esse exemplo para vocês: a gente tem que monitorar anualmente os dados dos produtos que foram registrados. Como eu falei para vocês, desses produtos, como eles são inovadores e são para doenças raras, nós precisamos monitorar os dados anualmente por 15 anos. Esse foi um acordo que fizemos com as empresas que registram no Brasil. Então, anualmente, a gente recebe esses dados e a gente confirma: "Não, o *endpoint*, os resultados favoráveis estão prevalecendo, então permanece o produto no mercado". E a gente fala assim: "O paciente precisa saber disso, o paciente precisa talvez ouvir isso e participar disso". Então, a gente tem tentado... A gente vai criar este ano uma perspectiva de apresentar esses dados anualmente em um fórum para que a sociedade possa participar e trazer até contribuições na prática.

Mas a sua fala é muito importante: a agência precisa se abrir cada vez mais para os pesquisadores. Por isso, eu acho importante o aconselhamento regulatório de que eu falei. Os pesquisadores podem estar presentes na Anvisa, e a gente pode estar contribuindo para as pesquisas, para elas realmente saírem da bancada para o paciente rapidamente. Esse é o papel fundamental da agência. Então, abrir para isso. Abrir para os Parlamentares e para os políticos todos, porque eu acho que eles são as vozes da população. Então, eu acho que vai ajudar muito à gente que a população tenha uma boa impressão do nosso trabalho. E, também, abrir para o paciente, porque eu acho que também o paciente pode contribuir de alguma forma nessas avaliações e nos ajudar a monitorar.

Quando eu falo em terapia avançada, isso está muito longe, não é? A terapia gênica está muito restrita ainda. O produto, Senadora, vem direto da empresa e vai direto para o médico destinado àquele paciente, então é muito específico. Mas, por exemplo, quando eu falo de medicamentos normais, comuns, ordinários, a população pode participar: ela pode verificar se o seu blister está direitinho, se a cor do seu medicamento está adequada, e, em não estando, o que pode fazer? Notificar a vigilância, notificar a Anvisa, e com isso a sociedade vai participar do processo regulatório. Eu acho que a gente tem que avançar muito nisto, na comunicação social e na participação da sociedade.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, João Batista.

Para quem está ligando a televisão agora ou quem está entrando nas redes sociais, está acontecendo neste momento, na Comissão de Assuntos Sociais do Senado Federal, uma audiência pública onde nós estamos discutindo... No dia 28 de fevereiro, véspera do Dia Nacional e Dia Internacional das Doenças Raras, nós estamos discutindo a portaria de 2014 que instituiu no Brasil a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Nós estamos discutindo a política, os avanços, e talvez algumas pessoas tenham se assustado: "Mas só em 2014?". Não foi fácil a gente ter essa conquista em 2014. Sim, é de 2014 para cá que nós temos uma política nacional. Não que o assunto estivesse negligenciado, mas nós temos uma política que nos dá a condição de estar aqui, dez anos depois, para avaliar a política, os avanços, onde nós podemos melhorar e o que nós precisamos fazer, os próximos desafios.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, neste momento acontece a audiência, e acabou de falar aqui o representante da Anvisa, Dr. João Batista Silva, Gerente de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas, da Anvisa.

Dr. João, a sua fala nos aqueceu o coração, muito.

Estão sentados aqui neste auditório, neste plenário, heróis e heroínas, representantes de instituições que estão fazendo um trabalho incrível no Brasil. Então, quando terminar esta sessão, dê um abraço em cada um deles, e a gente começa, assim, a estreitar mais o relacionamento da Anvisa com todas as instituições no Brasil. Então, vamos começar a colocar isso na prática agora à tarde, fazer esse estreitamento – é isso, Rômulo?

O SR. RÔMULO BEZERRA MARQUES (*Fora do microfone.*) – Vai ser muito abraçado, por pacientes.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Vai ser muito abraçado, não é? (*Risos.*)

Vamos dar continuidade ao nosso debate. Na sequência, nós vamos ter a alegria de ouvir mais um representante do Governo Federal, e a gente agradece ao Ministério da Saúde, aqui presente.

Agora a gente vai ter a alegria de ter o representante do Ministério do Desenvolvimento e Assistência Social, Família e Combate à Fome, que é o Dr. Luciano Márcio Freitas de Oliveira, que é o Coordenador-Geral de Proteção Social de Média Complexidade da Secretaria Nacional de Assistência Social.

Seja muito bem-vindo, Dr. Luciano!

Ele vai fazer sua participação por videoconferência.

O SR. LUCIANO MÁRCIO FREITAS DE OLIVEIRA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Boa tarde a todos e boa tarde a todas.

Meu muito obrigado pelo convite. É um prazer partilhar esta mesa aqui com a Senadora Damares – quero parabenizá-la por este momento. Na sua pessoa, quero cumprimentar os demais Senadores e Senadoras que estão presentes, os participantes da plenária, os colegas aqui que expuseram e exporão informações importantes neste momento. Aqui do Ministério do Desenvolvimento Social, queremos agradecer também em nome do nosso grande Ministro, Wellington Dias, que conduz essa pasta com muito afinco, com muita dedicação, dentro da política pública de assistência e demais políticas.

Eu queria trazer aqui, então, neste momento, partilhar com vocês, como a Senadora Damares apontou, sobre a presença do Ministério do Desenvolvimento e Assistência Social; como é que ele se faz presente neste debate tão importante? Aqui eu vou fazer um recorte da Política Nacional de Assistência Social, do Sistema Único de Assistência Social, mas entendendo que, no Ministério do Desenvolvimento e



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Assistência Social, temos outras secretarias, como a de Gestão da Informação (Sagicad); a Secretaria Nacional de Renda de Cidadania (Senarc), que cuida dos benefícios, principalmente do Bolsa Família; a Secretaria Nacional de Segurança Alimentar e Nutricional; a Secretaria Extraordinária de Combate à Pobreza e à Fome; a Secretaria de Cuidados e Família; e a Secretaria Nacional de Inclusão Socioeconômica.

Mas, representando o ministério, neste importante debate, quero falar sobre o Suas, sobre o lugar onde atuamos, sobre a importância da política de assistência social no Brasil como uma política pública de direito; e olhar para os desafios e a atenção. Pensando aqui nas estratégias de atenção e cuidado para pessoas com doenças raras, o Suas também é importante neste debate, porque a assistência social também é uma política de cuidados e possui responsabilidades específicas em relação ao cuidado. E, para isso se desenvolver no Suas, é preciso ter a perspectiva da integralidade, que é articulada com outras políticas públicas.

Por isso, então, neste primeiro momento, quero apresentar aqui para vocês e falar rapidamente do Sistema Único de Assistência Social, que é reconhecido enquanto uma política de direito a partir da Constituição Federal de 1988, regulamentada com a lei orgânica, de 1993, a Política Nacional de Assistência Social, de 2004, e todas as normas operacionais do Suas, a tipificação etc., que hoje compõem esse grande sistema público brasileiro.

A partir da organização do Suas, então, vocês já observaram, em quase todos os municípios brasileiros, a presença de uma unidade socioassistencial, que é o Cras. O Cras hoje está presente em 99,7% dos municípios brasileiros, compondo 8.580 unidades espalhadas no país; e na oferta dos serviços, como o Serviço de Convivência e Fortalecimento de Vínculos, o Serviço da Proteção Básica no Domicílio... Então, a oferta de serviços é também a porta de entrada para a política de assistência social, para as famílias e indivíduos que necessitem dessa política.

A partir da abrangência, então, dos Cras, na organização do Suas nós temos outras unidades socioassistenciais mais específicas; por exemplo, os Creas, que são os Centros de Referência Especializados de Assistência Social, que hoje estão em presente em 47,7% dos municípios brasileiros, compreendendo 2,8 mil unidades. Temos também os serviços essenciais à população brasileira, que são os Centros-Dia, para pessoas com deficiência. Hoje, no país, temos 2.041 serviços, que infelizmente ainda só estão presentes em 24% dos municípios brasileiros. Precisamos avançar muito ainda na oferta desse serviço de Centro-Dia.

E outra unidade importante dentro dos Suas é a unidade Centro POP, que é o atendimento aos adultos em situação de rua. Essas unidades estão presentes apenas em 3,8% dos municípios brasileiros, sendo 239 unidades. E, nas cidades que não têm a unidade Centro POP para atender o adulto em situação de rua, os Creas assumem esse atendimento.

E por último, no Suas, há o que chamamos de alta complexidade, que são os serviços de acolhimento – acolhimento aí para todos os públicos, entendendo criança, adolescente, mulher vítima de violência,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

pessoa idosa, pessoas em situação de rua –, que compreendem 7.547 unidades em todo o território brasileiro, compondo a 45,7% dos municípios brasileiros.

Então, esse é um panorama geral de como está a cobertura dos Suas no Brasil.

Em linhas gerais, pensando em todos os debates e o que atravessa essas diferenças e a especificidade dos serviços no Suas, o trabalho social que essa política deve ofertar aos seus usuários, que é o termo que utilizamos no Suas, principalmente é o que chamamos as seguranças, o que devemos assegurar às pessoas. Por exemplo, segurança de acolhida – ser acolhido e ter suas necessidades atendidas – e todos os serviços que eu citei. Também é importante a segurança de renda, a garantia do acesso ao Cadastro Único para viabilizar situações de auxílio, de forma contínua, e suprir suas necessidades, como, por exemplo o programa Bolsa Família e o BPC.

Há também uma ação importante que caracteriza o Suas, que é o convívio ou convivência familiar e comunitária, ou seja, ter acesso, ter o direito à convivência familiar e comunitária para fortalecer as redes de apoio e convívio na comunidade.

Há também o apoio e auxílio, que são os Benefícios Eventuais, realizados por municípios e estados para situações urgentes relacionadas a benefícios eventuais, natalidade, aluguel...

Nesse sentido, então, qual é a atuação do Suas que esperamos, a que o Suas busca? A escuta e acolhimento, a compreensão das trajetórias, orientações e encaminhamentos, todo um trabalho coletivo que caracteriza nossa política; a promoção de debates; protagonismo na defesa de direitos; apoio às situações de violência e violação de direito na escuta, na acolhida; construção de respostas e fortalecimento de vínculos, em que está caracterizada a unidade Crea, nesses espaços de que eu falei para vocês, presentes no território brasileiro; fortalecimento de vínculos familiares e comunitários; ações de combate à discriminação; apoio material; participação social.

A partir, então, dessas diretrizes mais gerais do Suas, atualmente, hoje, aqui dentro da Secretaria Nacional de Assistência, nosso trabalho é de fortalecimento do Suas, principalmente através da recomposição orçamentária para o Suas; o estreitamento, o diálogo entre a União, estados e municípios e, principalmente, com a sociedade civil, que faz uma grande diferença no processo de transformação; e a elaboração de estudos, orientações, atualização e aprimoramento do atendimento às especificidades populacionais; e, principalmente, a articulação com outras políticas públicas.

Por que eu falei tudo isso aqui nas diretrizes gerais do Suas? Para pensarmos como essa política pública é importante na proteção e atenção também às pessoas com doenças raras, porque um dos diagnósticos que vemos é superar dificuldades do Estado brasileiro em ofertar atenção especializada às pessoas com doenças raras e seus familiares nos municípios. No caso dos serviços da assistência social, a partir das situações identificadas nas famílias, é principalmente garantir e ampliar essa oferta da proteção básica e da proteção social especial, visando à garantia do fortalecimento das ações, da convivência familiar



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

e comunitária para, com isso, evitar situações de desproteção, fragilização dos vínculos e das situações e principalmente de violação de direitos.

E aqui, ao falar de pessoas com doenças raras, como foi apontado pelo colega da Anvisa – de 60% a 80% estão presentes em crianças e adolescentes –, observo a potência do Suas nesse debate, principalmente na proteção às famílias. Como também trazermos, buscarmos estratégias, Senadora, para pensar o Suas nesse fortalecimento das famílias com relação ao processo de cuidado, de uma linha de cuidado essencial e específico do Suas? Como potencializar a perspectiva também no cuidado e apoio às famílias? Nesse sentido, principalmente, devemos disseminar informações dos processos formativos do Suas, contidas nas perspectivas da educação permanente do Suas, como destacou a Senadora na sua fala na luta contra a discriminação, e buscar, dentro do Suas, dentro da potência que é esse sistema, essa participação e também a garantia de proteção articulada, entendendo que a assistência também é uma linha de cuidado.

Muito obrigado, uma ótima tarde a todos e, mais uma vez, grato por poder participar deste momento essencial para a proteção social brasileira.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Coordenador, obrigada por sua participação, mas eu vou lhe fazer uma pergunta. Nós estamos com uma audiência muito boa. O Brasil inteiro está acompanhando esta audiência.

Lá na ponta nós temos uma instituição que está cuidando de pessoas com doenças raras, uma instituição que está enfrentando todos os desafios e que às vezes não sabe que o Ministério do Desenvolvimento e Assistência Social tem um programa, tem uma ação que o município não está desenvolvendo. Então, de que forma essa instituição, Coordenador, pode procurar o ministério para saber?

O senhor disse, por exemplo, que nós temos um programa de assistência às pessoas em situação de rua, e apenas 3% dos municípios estão no programa. Eu sei, eu estive no Executivo, que existem programas cujo dinheiro volta do município para o ministério porque o programa não foi executado.

A pergunta é: como essa instituição, lá na ponta, pode buscar vocês para saber se o município dela está ou não executando, se está ou não dentro do critério, se está ou não devolvendo dinheiro que poderia estar sendo destinado às famílias com crianças com doenças raras?

O SR. LUCIANO MÁRCIO FREITAS DE OLIVEIRA (*Por videoconferência.*) – Perfeita a sua pergunta, Senadora. E você, como passou pelo Executivo, viu a dificuldade principalmente enfrentada pelos municípios.

Então, nós sabemos que muitos municípios, muitas vezes, recebem o dinheiro e o devolvem por uma perspectiva de gestão. Então, nós, do Ministério do Desenvolvimento Social, principalmente no Fundo Nacional de Assistência, informamos a relação dos municípios que têm os recursos, mas qualquer pessoa agora que está nos assistindo, se quiser entrar e digitar "Sagivad RI", aparecerá o dado para você colocar o



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

nome do seu município, o nome do estado e aparecerão todos os serviços, como o número de pessoas atendidas, o dinheiro que está em saldo nas contas – se não foi utilizado e não foi devolvido, então esse saldo estará lá. E a gente sabe que tem muitos municípios que, por uma questão burocrática, não conseguem gastar.

Então, o Ministério do Desenvolvimento Social, principalmente no Fundo Nacional de Assistência Social, desenvolveu canais de perguntas e respostas ou de atendimento direto para possibilitar que os gestores consigam executar os orçamentos, executar o recurso federal em relação à implantação de serviços, à continuidade e, principalmente, para evitar esta coisa que é muito ruim: devolver o recurso num momento em que a gente precisa de ampliação de proteção.

Então, temos esses canais. Posso aqui, depois, no *chat*, colocar os *e-mails* dos departamentos do Fundo Nacional, para que sejam divulgadas, e toda a população tenha acesso a elas, as informações relacionadas aos recursos, aos serviços existentes.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Coordenador! Obrigada por sua participação e por ter tido a coragem de dar essa resposta. Muito obrigada!

Nós aqui, no Parlamento, temos sido, o tempo todo, demandados por famílias, por conta de falta de políticas públicas lá no município, para as famílias com doenças raras. A gente, às vezes, observa que o município pode, sim, ir além; o município pode, sim, executar algumas políticas, e, lamentavelmente – eu já fiz cruzamento de famílias conversando comigo –, eu fico sabendo que o município acabou de devolver um dinheiro porque não conseguiu executá-lo.

Então, a sua resposta eu acho que também traz para nós um caminho para as instituições. Às pessoas que estão lá na ponta, nos assistindo agora, acompanhem a execução orçamentária do seu município na área da assistência social. Tem um conselho de assistência social no município. Procure o conselho, relacione-se com o conselho. E, se não conseguir as respostas, pode procurar o Luciano lá no ministério. Não é isso, Luciano?

O SR. LUCIANO MÁRCIO FREITAS DE OLIVEIRA (*Por videoconferência.*) – Podem procurar! Podem procurar, Senadora, sim, que o nosso papel é este aqui: aproximação, diálogo com os municípios e fazer de tudo para que os municípios consigam executar os serviços, executar os recursos. Por isso que o Fundo Nacional de Assistência Social hoje está com esse canal aberto para atender todos os municípios, tirar as dúvidas e fortalecer essa execução financeira para garantirmos e ampliarmos a proteção.

Então, muito obrigado pela pergunta, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada! Continue conosco até o final.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O SR. LUCIANO MÁRCIO FREITAS DE OLIVEIRA (*Por videoconferência.*) – Sim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Eu tenho certeza de que perguntas vão começar a surgir, direcionadas ao senhor e à sua coordenação.

O SR. LUCIANO MÁRCIO FREITAS DE OLIVEIRA (*Por videoconferência.*) – Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Na sequência, na lista de nossos oradores, nós vamos receber agora um esperado representante do Ministério da Saúde. Obrigada por estar conosco!

Está conosco, nesta tarde, o Dr. Natan Monsores de Sá. É o Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde.

Dr. Natan, muito obrigada por sua presença. Nós estamos com muita expectativa para a sua fala.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ (Para expor.) – Boa tarde a todos e todas.

Será que o som está bom aí? Todo mundo está me ouvindo? Se não, eu uso o modo professor aqui, preciso nem do microfone.

Senadora Damares, eu queria agradecer o convite para estar aqui. É superimportante, porque a gente está numa data alusiva, numa data de memória da necessidade, da luta das pessoas com doenças raras.

É um dia muito especial para a gente, que há muito tempo trabalha com o campo, com as pessoas com doenças raras. Neste momento, ocupando esta posição de Coordenador-Geral, eu posso trazer algumas iniciativas que a gente no último ano desenvolveu enquanto coordenação e trazer algum alento, alguma expectativa para as pessoas. Eu já olhei aqui ao redor no nosso auditório, e há muitas carinhas conhecidas, conhecidas da luta, conhecidas da persistência que têm em cuidar dos seus filhos, dos seus familiares, em cuidar de si também. É importante que a gente reconheça essa luta, reconheça este momento.

Quero lembrar muito bem, como V. Exa. trouxe aqui, a questão de dez anos da portaria, de dez anos de política pública, política pública que é resultante do movimento e da organização dos pacientes aqui no Brasil. Então, num momento muito oportuno, no Governo Dilma, com a batuta do Ministro Padilha, foram unidas forças... E está a Regina aqui que foi partícipe desse processo, está a Simone... Enfim, eu posso citar tantos nomes aqui, porque eu conheço todos e todas. Mas esse momento foi um momento muito alvissareiro em que o Ministério da Saúde reconheceu essa necessidade e, junto com a comunidade de pacientes e a comunidade científica, estabeleceu uma política pública.

E, nessa política pública, a gente tem atribuições para o Ministério da Saúde. Dentro dessas atribuições, a gente tem a organização da rede de assistência à saúde. Eu já trago aqui um pouquinho do movimento que a gente tem feito enquanto Ministério da Saúde nesse sentido. No ano passado, nós conversamos com todos os serviços de referência, tivemos reuniões entre uma e duas horas, às vezes até



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

mais, conversando com os profissionais de referência que estão nos estados e municípios. Para este ano, a gente tem expectativa de mais 8 serviços habilitados; então, chegaremos a um número de 39 serviços. Ainda temos problemas, vazios assistenciais importantes, principalmente aqui na Região Centro-Oeste e no norte do Brasil. No Norte do Brasil, a gente tem Pará ainda como um bastião de serviços para área de genética dentro da Região Norte. Enfim, dentro da portaria, a gente tem também alguns trabalhos interessantes e importantes que o Ministério da Saúde tem que desempenhar. Há a participação, por exemplo, na elaboração de diretrizes e documentos voltados para o cuidado das pessoas com doenças raras.

É importante salientar que a Coordenação-Geral de Doenças Raras está dentro da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Então, o trabalho que a gente faz é orientado para os serviços de atendimento às pessoas com doenças raras. Obviamente, eu reconheço que parte desses serviços tem relação com os medicamentos, mas é importante esclarecer para a comunidade que nos assiste pela internet e que está presente aqui nesta audiência que todo o processo de definição de diretrizes para que medicamentos sejam incorporados ao SUS e todos os processos de compra, aquisição, logística de aquisição, estão fora da nossa coordenação. Eles acontecem dentro do Departamento de Assistência Farmacêutica, acontecem mediados por outro departamento, o departamento que cuida de logística de compras, aquisição e contratos, que é o Dlog.

Então, a gente tem recebido e feito a oitiva com muito carinho, com muito cuidado, com muita atenção – a Regina, aqui do meu lado, é testemunha disso, sempre nos demanda, a equipe da Febrararas também –, em relação à falta, enfim, aos problemas nos processos judiciais de aquisição desses medicamentos. E nós nos prontificamos a apoiar, mas essa responsabilidade é uma responsabilidade compartilhada com outros órgãos do ministério. Então, a nossa coordenação foi desenhada no sentido de promover linhas de cuidado dentro do Sistema Único de Saúde. E o que são linhas de cuidado? São esses documentos que o Ministério da Saúde produz, em pactuação com equipes técnicas, ouvindo as organizações de pacientes, para que essa tecnologia de cuidado, lá na ponta, ao município chegue, seja efetiva para a comunidade.

Obviamente, a gente não tem PCDTs ainda para todas as doenças raras, e é importante dizer que um protocolo clínico, uma diretriz são desenhados a partir do momento em que há um reconhecimento do ecossistema regulatório da Anvisa e do próprio ministério de que há uma tecnologia, há um medicamento disponível, há uma terapia avançada disponível que pode trazer algum ganho para a comunidade de pacientes ou para um grupo específico de pacientes, mas boa parte das doenças raras não conta com medicamentos específicos. Isso significa que o desenho de PCDTs não é possível. A gente tem medicamentos de apoio, medicamentos que vão dar suporte a esses pacientes, mas não são medicamentos que trazem uma promessa de cura ou tratamento direto para essas doenças – a gente ainda tem um percentual muito pequeno de doenças raras que são cobertas por desenvolvimento de tecnologia do tipo medicamento.

Mas, na ausência de medicamento, a gente pode dispensar cuidados. Então, eu posso trazer aqui, como informe, por exemplo: neste momento em que estou aqui com vocês conversando, a equipe técnica



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

da coordenação está discutindo com a comunidade de epidermólise bolhosa, os especialistas, a respeito de uma necessidade que não é medicamento, que é a questão dos curativos, das pomadas, das ataduras. Estão lá trabalhando na linha de cuidado, da mesma forma como a gente tem trabalhado por uma demanda dos grupos de pacientes na questão do suporte ventilatório às pessoas com doenças neuromusculares. Então, convidamos especialistas, estamos trabalhando, desenhando uma diretriz para tentar atender essa necessidade.

Enfim, não faltaram de nossa parte iniciativas no sentido de atender as demandas que nos chegam da população.

Obviamente, a partir do nosso diagnóstico situacional, a partir da conversa com os serviços de referência, nós, enfim, reforçamos, na verdade – porque isso já era uma constatação prévia –, alguns elementos em que a gente precisa avançar enquanto Ministério da Saúde. Então, precisamos de rede de laboratórios de referência e, para a gente ter rede de laboratórios de referência, a gente precisa de orçamento. Então, conseguimos uma pequena porção de recursos dentro do orçamento do Ministério da Saúde e vamos implementar um projeto piloto para fazer o sequenciamento de nova geração como exame de rotina dentro do SUS. Então, não é direcionado para pesquisa, é para rotina mesmo de atendimento. Então, isso já está sendo costurado com o Instituto Fernandes Figueira da Fiocruz, no Rio de Janeiro, que vai ser a nossa primeira experiência de ter um parque tecnológico à disposição do SUS para oferta de diagnóstico de exoma, de painéis genéticos baseados nessa tecnologia que é o NGS.

Por solicitação da Ministra Nísia, do Secretário Helvécio, enfim, dos meus superiores no ministério, nós, com base numa outra necessidade constatada, que é a questão da falta de precificação dos exames na tabela do SUS, estamos desenvolvendo um estudo, uma avaliação microeconômica, no sentido de apoiar os serviços de referência que precisam desses exames à sua disposição. E aí, a nossa expectativa é – obviamente, com a pactuação, com os comitês, com o Comitê Gestor, o Tripartite – que a gente consiga pactuar valores para a tabela do SUS para que esses exames estejam plenamente disponíveis.

E, aí, uma série de ações decorrentes também desse nosso diagnóstico aconteceram, por exemplo: amanhã estará acontecendo na Comissão Intergestores Tripartite (CIT) a discussão sobre uma nova portaria para a triagem neonatal, exatamente para tentar alcançar aquilo que está previsto na lei de expansão do avanço com as fases. Obviamente, existe uma proposta do Ministério da Saúde, mas essa proposta precisa do endosso dos gestores, dos secretários estaduais e municipais. Essas conversas foram feitas nos últimos meses, foi feito um alinhamento no sentido de a gente construir um documento que atendesse as necessidades, os anseios, as expectativas da comunidade que presta assistência e da população que precisa que o teste do pezinho seja disponibilizado. Mas encontramos um cenário muito complicado da triagem neonatal: enquanto alguns serviços, como foi citado aqui...

(Soa a campanha.)



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – Jô Clemente, por exemplo, tem serviços de ponta, mas a gente tem estados do Brasil que sequer conseguem ofertar com qualidade as primeiras etapas da triagem neonatal. Então, esse cenário de desigualdade de oferta de serviços nos levou, enquanto Ministério da Saúde, a propor modelos de reorganização.

Para concluir, que o meu tempo acabou, com base nesse diagnóstico, a gente tem disparado uma série de ações – ações de chamar a comunidade, chamar especialistas, rever políticas públicas, como é o caso da triagem neonatal – para tentar alcançar essas necessidades não atendidas das pessoas com doenças raras.

E novamente, para finalizar, eu queria reiterar que nós estamos abertos, enquanto coordenação, a receber, a ouvir. No último ano a gente recebeu muitas associações de pacientes, conversamos com o setor produtivo, recebemos Deputados e Senadores ali na coordenação, exatamente no sentido de manter os ouvidos abertos para as demandas da comunidade com doenças raras. Temos muito o que fazer. A coordenação é nova, muitos avanços precisam ser feitos, mas nós não permanecemos, enquanto Ministério da Saúde, parados ou estagnados, sem acompanhar ou sem compreender o sofrimento dessas famílias e dessas pessoas.

Novamente me coloco à disposição desta Comissão. Não é a primeira vez que venho aqui trazer notícias ou informes das ações que a gente tem feito. Enfim, me coloco à disposição de todos aqui também para o diálogo.

Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dr. Natan, muito obrigada pela sua participação, mas o senhor deve imaginar que, como também é uma sessão alusiva ao Dia Nacional e Internacional, nós estamos com uma audiência diferenciada hoje e as perguntas estão chegando.

Há uma dúvida que chegou aqui para nós, que é a seguinte: a coordenação do Ministério da Saúde seria a porta de entrada das demandas dos raros na Esplanada, mesmo os assuntos que não estão ligados à área da saúde? Ou somente os assuntos ligados à área da saúde?

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ (Para expor.) – Nós temos recebido essas demandas e as temos endereçado para as áreas da Esplanada que são responsáveis. Já recebemos demanda aqui que diziam respeito ao Ministério da Educação, a gente faz esse encaminhamento; questões de desenvolvimento social, de avaliação biopsicossocial, enfim. Então, com cada setor da Esplanada a gente tenta manter esse canal de comunicação aberto, fazendo essa interlocução. Na medida do possível, até pela compreensão que tenho, enquanto pesquisador do campo e por estar há muito – há 20 anos pelo menos – envolvido com essa área, a gente tenta orientar a comunidade a respeito de direitos, a respeito daquilo que elas podem alcançar



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

enquanto direitos previstos em lei, enfim, dos regulamentos que a gente tem dentro dos ministérios. Então, pode, sim, ser uma porta de entrada.

A gente tem um serviço de ouvidoria dentro do SUS que faz esse acolhimento, mas já é público e notório também o *e-mail* da coordenação, que repito aqui para todos, para quem está em casa ouvindo: "cg", de coordenação geral, cgraras@saude.gov.br.

Então, nós estamos lá abertos a ouvir e, sim, a receber essa demanda, qualificar e encaminhar para os setores aqui da Esplanada que são pertinentes.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O.k.

Doutor, a gente conhece o trabalho da ouvidoria. Mas e a pessoa que está lá na ponta? A coordenação faz o relacionamento com as demandas judiciais que estão dentro do ministério também? Porque eu acredito que o número de demandas tem crescido muito.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – Sim. Então, a gente trabalha... Nós temos o Departamento de Demandas em Judicialização (Djud), que fica dentro da Secretaria Executiva do Ministério da Saúde, mas, diuturnamente, nós somos acionados pelo Djud no sentido de sentarmos, elaborarmos os pareceres, avaliarmos a situação que é trazida no litígio, em juízo. E não só Djud; nós temos uma outra instância, que é a Conjur, que é um órgão maior, também dentro do Ministério da Saúde, que cuida dessas questões de judicialização no aspecto de interface mais macro, mais para fora do Ministério da Saúde. Então, nós estamos, sim, trabalhando em coordenação, em cocoordenação com esses departamentos ou essas estruturas dentro do ministério.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Doutor, tem duas perguntas aqui que já chegaram via internet.

Lucas, de São Paulo, pergunta: "Como [...] [estão sendo conduzidos os] investimentos do governo brasileiro na área de doenças raras? E qual a frequência desses investimentos?".

E aí, no mesmo sentido, Leandro Dembosk, do Rio Grande do Sul, pergunta: "Existem verbas específicas no âmbito do Sistema Único de Saúde para o tratamento de doenças raras?".

E aí, eu os acompanho, fazendo a seguinte pergunta – e eu tenho certeza de que todas as instituições aqui vão querer saber essa resposta –: qual é o seu orçamento na sua Coordenação de Doenças Raras? Eu sei que é uma coordenação nova. Vocês entram, têm que obedecer um PPA antigo, um orçamento feito no outro Governo, mas, agora, para 2024, qual é o seu orçamento e o que você tem capacidade de executar?

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – Vamos lá.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, em relação ao recebimento de recursos, o Ministério da Saúde segue uma lógica de planejamento, com algumas etapas. E, nessa lógica de planejamento, de orçamento anual, dentro da Secretaria de Atenção Especializada, é feita a divisão de acordo com projetos, demandas, expectativa de habilitação de serviços, enfim, tem um montante de recursos que vai para dentro da secretaria. Parte desses recursos é destinada à execução de projetos considerados estratégicos para a coordenação, para o Departamento de Atenção Especializada e Temática, onde está a Coordenação-Geral de Doenças Raras.

Então, nós fomos uma coordenação criada na transição de governo. No ano passado, o nosso orçamento era zero. A gente contava com o orçamento solidário do nosso departamento para executar as ações. Para este ano, nós previmos, enquanto ações executáveis diretamente pela coordenação, um conjunto de ações educativas e o estabelecimento desse projeto piloto para parque tecnológico. Então, para esses projetos internos, de educação, de capacitação de equipes, de orientação para sinais de alerta para doenças raras, a gente tem um montante aí na ordem de R\$15 milhões, R\$17 milhões. Estamos trabalhando aí para recompor parte desse orçamento perdido, mas, para projetos de parque tecnológico, que é esse piloto, a gente está prevendo alguma coisa na ordem de R\$4 milhões, que é o suficiente, pelo desenho que foi feito com a equipe do Fernandes Figueira, para compor equipe, para adquirir os equipamentos, ter os insumos para a gente começar, iniciar esse processo de realização de sequenciamento para exoma, que já tem uma portaria do Ministério da Saúde, enfim, que traz para dentro do SUS a expectativa de realização desse exame para deficiência intelectual. Mas a nossa ideia é tentar avaliar a viabilidade econômica, a viabilidade orçamentária de esse exame ser correntemente oferecido dentro do Sistema Único de Saúde. Então, de forma responsável, a gente está com o orçamento pequeno, mas com a previsão de executá-lo todo para este ano.

É mister, é necessário salientar aqui que o nosso orçamento não contempla a questão de aquisição de medicamentos ou outros insumos previstos dentro das tabelas do SUS. Então, o mecanismo de pagamento ou de financiamento que a atenção especializada traz para os serviços de saúde é o que a gente chama aí de Teto MAC, Faec. Enfim, são siglas que vão representar o quê? Então, à medida que um exame é feito, um atendimento é feito, o gestor local noticia isso dentro do sistema de informação, isso vai compor o valor, e o Ministério da Saúde repassa esse valor. Então, uma consulta, por exemplo, que algum paciente, alguma família com doença rara faz entra dentro desse montante. Além disso, para exames laboratoriais do tipo hemograma, bioquímicos, algum medicamento, enfim – tem questões que são cobertas por um outro tipo de teto, que é baseado num boletim de produção ambulatorial –, o gestor informa o quanto ele gastou naquele período, para o Ministério da Saúde, o Ministério da Saúde faz o repasse. Então, é um modelo baseado em produção dos serviços. Compra de medicamentos é um orçamento que está dentro de uma outra secretaria, que é a Sectics, e lá tem um departamento de assistência farmacêutica, que vai ter os recursos estimados para isso. Então, o montante de recursos da coordenação de raras é para essa questão da coordenação do cuidado e da rede, não para aquisição de insumos, não para pagamento direto de consultas e nem para compra de medicamentos.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O.k.

Doutor, para a gente finalizar – caneta na mão todo mundo –, divulga aí o *e-mail* da coordenação porque nós vamos demandar muito a coordenação.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – Claro, vamos lá. Posso repetir, Senadora?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Pode repetir.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – Então é, "c" de casa, "g" de gato: cgraras@saude.gov.br, tudo junto, minúsculo. Vou repetir aqui, em consideração aos nossos pacientes aí que têm doenças neuromusculares, quem tem também questão aí de acuidade visual, vou falar mais lentinho aqui para vocês poderem anotar: cgraras@saude.gov.br. A equipe está lá aberta para receber as demandas.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Dr. Natan.

Na sequência, nós vamos ouvir também uma expositora que estava muito esperada, com depoimento muito aguardado aqui, apresentação muito aguardada. É a nossa Regina Próspero, ela é CEO da Aliança Brasileira de Associações e Grupos de Apoio a Pessoas com Doenças Raras.

Regina, seja muito bem-vinda. É uma alegria recebê-la. Esta audiência fica mais rica com a sua participação. Muito obrigada.

A SRA. REGINA PRÓSPERO (Para expor.) – Obrigada, Senadora. Obrigada pelo convite.

Eu estou aqui representando a Aliança Rara, que é uma entidade que compõe 96 instituições de doenças raras. A nossa rede...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Repita o número, para todo mundo ouvir.

A SRA. REGINA PRÓSPERO – São 96 instituições e grupos de pacientes de doenças raras. É o que faz a diferença.

Quando alguém procura uma doença rara, ela está desesperada. Geralmente ela vem ao encontro das redes sociais do Instituto Vidas Raras e de outras instituições que também têm redes sociais muito fortes. Eu digo isso porque o Google está aí. O Google é o demônio de muita gente, mas ele é o alento de tantos. E para isso, quando uma pessoa nos procura, perguntando sobre uma doença rara, a nossa rede vai rapidamente atender essa pessoa, com as suas necessidades. O nosso WhatsApp não para, porque ele está



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

constantemente recebendo pedidos de informações sobre determinada doença rara, que a cada dia aparece para nós, e a gente não sabe que existe.

Vou contar um pouquinho da história de como tudo vem nascendo. Geralmente uma associação de pacientes vem pela dor e pelo amor de uma família que teve um filho com doença rara. O meu filho mais velho teria 35 anos. Ele faleceu aos 6, quando nada podia ser feito por ele. Mas eu fiquei com outro filho também, que começou a desenvolver os sinais da mucopolissacaridose, e a gente precisava fazer alguma coisa por ele. Um grupo de pais se reuniu, descobriu que estavam sendo fabricados medicamentos nos Estados Unidos em forma de pesquisa, e conseguimos, juntamente com pesquisadores interessados, trazer essas pesquisas para o Brasil. Isso foi lá em 2001, 2002.

Quem falava de doenças raras aqui no Parlamento? Ninguém. Ninguém. E aí veio o problema. Tá, a pesquisa vai terminar e quem vai amparar essas pessoas? Quem vai seguir com isso? A Anvisa sempre nos ajudou. Eu sou fã da Anvisa, gente. Coraçõzinho para vocês. Porque, na época, o Dr. Dirceu nos acolhia e nos mostrava os caminhos que a gente tinha que seguir para que aquilo acontecesse de forma correta e não tivesse quebra lá na frente de qualquer protocolo que, de repente, não tivesse seguido as normativas – para que aquilo não acontecesse.

E conseguimos. Conseguimos que se registrassem todos os medicamentos. Conseguimos que eles fossem para registro. Conseguimos que eles fossem incorporados. Não foi fácil, não. Mas eu tive a graça, Senadora, de que no bater dos últimos dias do Governo, a gente conseguisse incorporar os medicamentos de mucopolissacaridose. E o secretário me chamou, sabendo do nosso trabalho, para estar lá, na hora da assinatura. Isso para mim foi a glória.

Eu disse que ia parar de trabalhar, tá? Mentira, gente, não parei nada. Tinha, lá atrás, um pezinho no futuro. A gente precisa disso. A gente precisa. E, durante dez anos, a única coisa que eu escutei era, "o Estado não tem condições de acolher. O sistema vai falir, o sistema vai explodir". Eu até entendo e concordo com o escalonamento, concordo com toda a previsão, com que tem que existir o Plano Nacional da Triagem Neonatal. Tudo tem que ser corretamente feito, para que não caia no descrédito. Mas eu também não entendo como que, em 10 anos, ninguém se preparou, ninguém melhorou.

A gente sabe como funcionam as coisas, mas é preciso entender que algumas doenças não têm remédio, mas têm condições de serem manuseadas de forma que aquela criança não vá ter uma complexidade de comorbidades.

Quando eu vejo uma criança que não teve condições de ter a sua doença triada no exame do pezinho porque a família não sabia ou não podia pagar, para mim isso é uma facada, porque ali estava tudo que ela podia ter, e não teve. Estou falando de pais, muitas vezes, que podem pagar, mas que não sabiam que existia.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, essa rede tem que trabalhar de forma muito efetiva. Se a política 199 nasceu, foi por briga e força daqueles que... Eu digo que o meu nome é, o primeiro, persistência; o segundo, impaciência. Porque se eu e mais algumas tantas outras associações não fizéssemos acampamento aqui, a gente não teria nada do que a gente tem. Se hoje o caminho está sendo trilhado por muitos novatos, e eu digo novatos porque sempre chega gente nova, é porque tem um pavimento muito bem feito ali atrás, porque a gente o deixou, nós demos a cara para bater quando muita gente falava assim: "Eu não vou expor meu filho, eu não vou mostrar meu filho".

Meu filho tem mucopolissacaridose, gente, que é a doença mais cruel – a gente sabe que tem outras –, que tira tanta coisa do paciente, inclusive a formosura, mas a gente estava lá, para mostrar que, apesar disso, tudo vale a pena e a gente tem que brigar por eles. Hoje eu estou passando por um câncer raro, porque lá em casa é assim – não é, gente? –: eu acho que é para-raio. Eu tive dois filhos com mucopolissacaridose, eu estou com um câncer que acomete uma mulher a cada 500 mil mulheres que têm mioma, é um leiomiossarcoma, eu já estou não sei em qual fármaco que estão tentando conter os bichinhos, mas, se os monstrinhos são maus, eu também sou, ou pior.

O que eu quero, Senadora, é voltar aqui o ano que vem e dizer que a Anvisa está cumprindo seu papel, como sempre cumpre. Apesar de todos os problemas que vocês têm por falta de pessoal, vocês se esforçam. E eu quero estar aqui comemorando mais e mais doenças incorporadas, para que ninguém precise mendigar por uma ação judicial. Quanto mais tratamentos estiverem à disposição das pessoas, melhor, porque nem todo mundo é sujeito à administração de uma novalgina, de uma dipirona – não vou nem falar novalgina, mas de uma dipirona – ou de um paracetamol. Então, a diversidade de tratamentos é o que vai fazer a diferença na vida dessas pessoas.

Alto custo, eu sinto muito; nós custamos caro, mas a gente tem muito e nós podemos devolver para a sociedade se a sociedade acreditar em todos nós. Cada um tem a sua capacidade e a gente tem que investir naquilo que tem e que pode dar.

Acredito que o Rômulo, aqui também, teve uma vida não tão fácil. Os espinhos estão para todos. Mas, independentemente da bandeira que se usa, da bandeira que se traz, no final do dia a gente só quer uma coisa: o benefício do nosso assistido dentro daquilo que ele precisa ter, que é qualidade de vida e produtividade.

Para quem não sabe, o Dudu é cego, ele ficou surdo, mas hoje ele tem uma boa audição; ele é formado em Direito, Administração de Empresas, ele é concursado público pela Secretaria Municipal de Saúde de Guarulhos, um dos únicos municípios que traz a Secretaria de Direitos Humanos, e ele trabalha na Subsecretaria de Acessibilidade e Inclusão, ajudando outras pessoas a aprender uma linguagem que eles perderam, que eles não têm mais: ele ensina braile, ele ensina sorobã, e leva a vida dele como uma pessoa produtiva.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, fechando, vou lhe dar dois minutos mais, Rômulo. A Aliança Rara está aqui para, assim como a Febrararas, lutar por aqueles que precisam dela. Gostaria muito, Senadora, que nos envolvessem mais em assuntos direcionados às doenças raras. Isso é necessário, todos temos a oferecer – todos. E é importante que cada voz seja ouvida dentro do seu tamanho, dentro da sua veracidade e daquilo que pode dar. Eu não costumo chegar a uma audiência com um problema: eu costumo chegar com um problema e uma solução, do lado, porque vocês podem nos ajudar, mas somente se vocês souberem como ajudar. E a nossa voz pode chegar a tanto.

Agradeço a todos vocês, e quero estar aqui o ano que vem comemorando o 28 (ou o 29) de Fevereiro. E, para quem não sabe, hoje eu faço 37 anos de casada. Então escolheram o dia 28 de fevereiro por causa da minha data de casamento, tá? (*Risos.*)

A SRA. REGINA PRÓSPERO – Obrigada. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Regina, eu sabia que a sua contribuição deixaria a nossa sessão, a nossa audiência pública mais rica. Todo louvor, toda honra à Aliança Rara, a todos vocês que compõem a Aliança Rara.

Regina, quando você falou de quem falava de doenças raras no passado, nós optamos por conduzir esta sessão hoje que poderia ser uma sessão de muita briga: "Aí, Natan, o que você está fazendo? Aí, Anvisa!". A gente optou por conduzir esta audiência pública porque, em respeito ao dia, é um dia de a gente celebrar vitórias, é um dia de a gente falar de conscientização. Então, a gente optou por conduzir esta audiência desta forma, muito com o coração, muito mostrando para o Brasil, porque o diferencial desta audiência hoje, por ser próxima do dia, por ser um dia antes do nosso grande dia, é que a audiência cresceu muito. E é levar mais uma palavra de esperança do que mais briga lá para a ponta. Então é dessa forma que a gente está conduzindo.

Mas é bom que quem está lá saiba que, alguns anos atrás, nem um espaço deste a gente tinha: a política de 2014 por conta da luta de vocês. Nós temos precursores, não é, Sr. Rômulo? Quantos anos eu vejo o Sr. Rômulo nos corredores? E eu estava lá, numa posição de família rara e de assessora. E quantas vezes eu acompanhei um ou outro Parlamentar a um ou outro ministério no passado, em governos anteriores? – eu estou desde 1998. E aqui, gente, não é nenhuma crítica a nenhum Governo, mas o que o técnico nos dizia? Eles são muito caros.

Tivemos que ouvir muito isso, Natan, por muito tempo. Sabe, Dr. João Batista, ouvimos muito isso: eles são muito caros.

Hoje a gente vê já uma forma de ver que não são caros, são raros. Então, é um avanço na luta de pessoas como você, Regina, da Aliança Rara, da Federação e de todas as outras instituições.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Hoje a gente tem até uma rádio, Ame os Raros, que está ao vivo nos acompanhando. Um abraço, Ítalo, que Deus abençoe você e o seu trabalho pioneiro.

Mas quero dizer que nós respeitamos e reconhecemos o trabalho da Aliança Rara, reconhecemos.

E, agora, aqui, temos esta Subcomissão que é a casa de vocês. A gente vai realmente estreitar esse relacionamento com todas as instituições. A Mara é mestra nisso! Nós temos uma Presidente, gente, que eu não canso de tecer elogios, a Mara, ela é mestra nisso.

Então, a Subcomissão é o cantinho de vocês, é o fórum de vocês, é o espaço de vocês aqui no Senado Federal. A gente tem as frentes parlamentares na Câmara e a gente tem muito Parlamentar envolvido com o tema hoje.

Muito obrigada por sua participação, mas você não ficou fora das perguntas, não. São duas perguntas muito rápidas, sei que você tem que sair.

Tatiana, lá do Rio de Janeiro, pergunta o seguinte: "Existe alguma idade – aí já é para você falar com a família diretamente lá na ponta – específica para que se possa observar o surgimento de alguma doença rara?"

E a outra fala: Diante do alto custo do tratamento das doenças raras... Essa é Bruna Fernanda, do Acre – olha só, gente, Rio de Janeiro, Rio Grande do Sul, Acre: Diante do alto custo do tratamento das doenças raras, quais as medidas possíveis para garantir assistência aos pacientes?

A SRA. REGINA PRÓSPERO (Para expor.) – Para a primeira pergunta, não existe uma idade específica para a gente detectar que a criança tenha uma anomalia.

O que a mãe precisa ficar alerta e entender é que ela vai ser a primeira que vai ter o sinal de que alguma coisa está errada. Mesmo que ela seja chamada de louca 800 vezes, que foi o meu caso e o caso de muitos pais e mães, insista, porque a mãe tem aquela percepção sobre a evolução do filho e precisa insistir mesmo que ela escute: "Não, não, ele está com um desenvolvimento normal". Mas a gente precisa se atentar ao tamanho do crânio, ao tamanho do corpo, se ela tem problemas de repetição como renite, pneumonia, aquelas coisas que criança tem, mas tem muitas, muitas vezes, isso é um alerta. Isso é um alerta muito grande, porque não pode ter de repetição tantas vezes. Ela vai ao médico, o médico manda para casa, ela vai ao pronto socorro, o pronto socorro manda para casa, mas a criança não consegue evoluir de uma forma melhor; então, são sinais de alerta.

E ouvir também a professora. A professora é uma das pessoas que detecta uma anomalia na criança, no desenvolvimento da criança, muitas vezes até no andar, no sentar, a professora sabe. Só que às vezes a professora chega para a família e a família nega, com medo até.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, o que eu sempre falo para as mães, acredite no seu *feeling*, naquele sentimento que você tem e acredite na professora. São os dois, a mãe e o professor, que vão ajudar.

A outra pergunta eu já esqueci porque eu já falei tanto...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – A outra, Regina, foi: diante do alto custo de tratamento das doenças raras, quais as medidas possíveis para garantir assistência aos pacientes?

A SRA. REGINA PRÓSPERO – Existem, em todos os municípios e nos seus estados, diretrizes que podem ajudar e devem ajudar o paciente, seja ele raro, crônico ou grave. O que você precisa fazer é ir atrás dos seus direitos, no seu domicílio. Caso o seu domicílio não tenha condições de lhe fornecer o tratamento adequado, ele tem que te fornecer o TFD, que é o Tratamento Fora do Domicílio. Então, isso é uma regra. Ele não pode lhe dar; ele tem obrigação de lhe mandar, procurar, no lugar mais próximo, o local onde ele vai poder ser atendido de forma adequada.

No caso da doença rara, provavelmente ele vai ter que procurar um centro de referência que seja próximo da cidade dela. Nós temos bastantes pacientes no Acre, tem médicos excelentes no Acre que podem tratar a família. A gente só precisa saber o que é. Se ela quiser, ela pode ligar no Linha Rara, que é o 0800 0067868, que é uma plataforma de atendimento que ajuda famílias, profissionais da área de saúde, educação, jurídica, sociedade no geral quando o tema é doença rara.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O.k. Muito obrigada, Regina.

A SRA. REGINA PRÓSPERO – Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Nós queremos encontrá-la, no próximo ano aqui, também celebrando a sua saúde.

A SRA. REGINA PRÓSPERO – Obrigada! Obrigada!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Lava, da Subcomissão, um abraço para o Edu.

A SRA. REGINA PRÓSPERO – Pode deixar. Obrigada!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O Edu é uma inspiração para todos nós. Obrigada igualmente.

A SRA. REGINA PRÓSPERO – Obrigada, gente. Eu vou dar uma saidinha, mas eu já volto.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – O.k. Está bom.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu queria consultar os dois últimos oradores, que são o Sr. Rômulo e a Priscila.

Foi pedido para a Subcomissão um pedido que veio e tocou o coração da Senadora Mara e dos demais membros, a participação de Mauri dos Santos Silva Júnior. Ele está presente aqui, *online*, desde o início, e a gente observa, na imagem, que a esposa está com uma criança no colo. Eu gostaria de perguntar aos dois últimos expositores... A participação do Sr. Mauri não vai ser grande. Como ele não estava previsto, não vai ser uma participação de muitos minutos, mas eu queria consultar o Sr. Rômulo e a Priscila se a gente poderia já passar a palavra para eles. Eu acho que, inclusive, eles vão dar elementos para fazer a fala de vocês. Tudo bem, Priscila? (*Pausa.*)

O.k.

Então, o Sr. Mauri dos Santos Silva Júnior é de uma família rara, pai de uma criança com doença rara. Seja bem-vindo! Com certeza, pela sua insistência em participar desta audiência, nós temos certeza de que vai contribuir muito com os debates. Seja bem-vindo, e nós estamos ansiosos para ouvi-lo.

O SR. MAURI DOS SANTOS SILVA JÚNIOR (Para expor. *Por videoconferência.*) – Boa tarde! Boa tarde a todos os presentes, aos Senadores, aos nobres representantes dos setores públicos, aos participantes desta audiência.

Primeiramente, nós gostaríamos de agradecer à Senadora Mara Gabrielli e à Senadora Damares Alves pela oportunidade de nós participarmos desta audiência, como membros de uma família rara. Ser a voz das famílias raras, que convivem com uma doença rara, em especial a leucodistrofia metacromática, me orgulha muito.

O meu filho, Francisco Henrique, foi diagnosticado com a leucodistrofia aos seis anos; hoje ele tem 17 anos, nos dá, todos os dias, muito orgulho, muita felicidade. Cada dia que ele me lembra, cada manhã que ele me lembra sorrindo é uma alegria que transborda dentro de casa.

E conviver com a doença rara é um desafio diário, desde a surpresa do diagnóstico, a busca por informações, a progressão da patologia, o prognóstico, às recorrentes consultas médicas, aos exames, às limitações, entre outras, diversas coisas que, antes do diagnóstico, nós famílias nem imaginávamos que poderíamos existir.

A possibilidade do tratamento, na grande maioria das vezes, é escassa ou, às vezes, nem existe.

A dor quando nós recebemos a notícia é uma dor que palavras não têm como... É muito difícil! Dói muito, muito mesmo ver a pessoa que a gente ama passando por dificuldades, limitações, muitas vezes limitações irreversíveis.

Todos os dias é uma luta; todos os dias é uma vitória.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O tempo, para nós raros, é diferente. Cada momento é muito precioso, é uma oportunidade que a gente vê que é concedida por Deus. E viver se tornou uma dádiva.

Eu queria fazer uma pergunta no que se refere à Portaria 199/2014, que hoje está completando dez anos. Aliás, não é uma pergunta, são duas perguntas. Vocês até me desculpem pelo impacto que essas duas perguntas podem causar, mas eu preciso fazer. Quanto vale uma cobaia humana? E se o raro cobaia fosse seu filho? É com muita tristeza, muita tristeza que eu abordo uma questão de extrema importância no cenário da saúde brasileira, especialmente no contexto de doenças raras. E é o nosso caso hoje, que estamos festejando termos a oportunidade de ter um raro dentro de casa, de ser uma família rara. É para poucos. Poucos têm essa oportunidade, poucos. Eu venho destacar os desafios enfrentados pelos pacientes após a conclusão de estudos clínicos, em que a omissão dos laboratórios e o desrespeito à legislação têm gerado impactos significativos para nós. Eu pontuo inicialmente casos preocupantes de laboratórios que, após a conclusão dos estudos clínicos, têm negligenciado o fornecimento das medicações essenciais para administração da vida desses pacientes – não só crianças, adultos também. Essa omissão tem resultado não apenas na falta da transparência, mas também em consequências devastadoras para os pacientes, muitas vezes desamparados diante da abrupta interrupção do tratamento. Além disso, eu destaco a presença de exemplos alarmantes de desrespeito à legislação do nosso país por parte de alguns laboratórios farmacêuticos. Tais práticas, além de violarem os direitos dos pacientes, questionam a ética envolvida nas relações entre os setores de pesquisa clínica, os beneficiários finais e nós pacientes.

Os relatos emocionantes de como a ausência da medicação pós-estudo afeta diretamente a vida dos participantes não podem ser ignorados – eles não podem ser ignorados. É muito triste. Nós estamos diante de uma situação em que a responsabilidade ética dos laboratórios no cuidado contínuo dos pacientes é colocada à prova. Urge a necessidade de maior transparência nas relações entre laboratório, pacientes, autoridades regulatórias. Além disso, é crucial estabelecer mecanismos eficazes para responsabilização em caso de descumprimento da nossa legislação, garantindo que os pacientes não sejam abandonados após a conclusão dos estudos clínicos.

Nesse contexto – e já estou encerrando –, eu faço um apelo para uma revisão e fortalecimento das regulamentações que tratam da continuidade do tratamento pós-estudos. Eu sugiro também a criação de mecanismos que assegurem a responsabilidade dos laboratórios no fornecimento contínuo das medicações essenciais.

Eu agradeço muito a atenção de todos e eu concluo com o apelo pela urgência em nós corrigirmos essas lacunas na legislação que garantem aos pacientes que são abandonados pelo estudo uma proteção. Que esses laboratórios sejam, de alguma forma, responsabilizados.

Nós, da família do Francisco Henrique... Num caso muito específico – e vocês me desculpem o desabafo –, é com o Francisco Henrique e mais seis crianças que nós estamos passando por algo nesse sentido. Participamos, há onze anos, de uma pesquisa e, por uma decisão irônica – eu vou usar a palavra



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

irônica –, nessa semana, nós recebemos um contrato que diz que nós tínhamos que assinar, porque foi encerrado o estudo e eles não vão nos fornecer essa medicação, sabendo que a leucodistrofia metacromática é uma patologia muito severa, em que as crianças, depois do diagnóstico, têm um período de três a cinco anos. O Francisco Henrique é a prova viva de que a medicação em específico deu certo, ele tem 17 anos.

Eu agradeço muito, muito, muito a oportunidade que a Senadora Damares e a Senadora Mara Gabrielli têm nos dado. Vocês nos deram voz. Eu agradeço muito, muito, muito, muito. E nós estamos nos comprometendo a ajudar as autoridades, os laboratórios, os comitês de ética com que nós estamos conversando e os outros pacientes também que estiverem passando por alguma situação nesse sentido, para dialogarmos e chegarmos a um denominador comum, que fique bom para todos, principalmente o que a gente quer: administração da vida e não perder nossos filhos por uma decisão unicamente financeira.

Muito obrigado mesmo. Agradeço a todos.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Sr. Mauri, na verdade, somos nós, a Comissão, que agradecemos a sua participação. Somos nós que agradecemos. O senhor trouxe uma outra abordagem para essa sessão, uma outra abordagem para nossa audiência pública, e nós agradecemos ao senhor. O senhor trouxe à evidência um assunto que muita gente não quer tocar. A Subcomissão já tem conversado com o senhor, nós temos ouvido o seu apelo, e trazê-lo para esta audiência foi para dizer que nós respeitamos a sua dor e nós entendemos o tamanho dela, mas, como nós estamos numa audiência pública com a presença do Ministério da Saúde, a sua pergunta quem vai responder é o Dr. Natan, Coordenador-Geral de Doenças Raras, que é um pesquisador, que é alguém que está dedicando a sua vida ao assunto também. Então, com muita sensibilidade, com muito respeito à sua dor, a gente está conduzindo essa audiência para não ser uma audiência de embates, mas eu conversei com o Dr. Natan, e ele se sentiu à vontade para responder à sua pergunta.

O SR. MAURI DOS SANTOS SILVA JÚNIOR (*Por videoconferência.*) – Muito obrigado.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ (Para expor.) – Senadora, eu até pediria vênias aqui para compartilhar, talvez, também com o colega da Anvisa essa questão. Nós temos um sistema, que é o sistema de avaliação ética, hoje, no Brasil, que é o sistema CEP-Conep, e alguns regulamentos sanitários também, que estabelecem a forma como os medicamentos vão ser dispensados pós-estudo. A gente sabe que muitas pessoas com doenças raras acabam se voluntariando para serem participantes de pesquisas. Algumas dessas pesquisas resultam em frutos positivos, em desenvolvimento de medicamentos que de fato trazem benefícios para esses pacientes, mas, enfim, grande parte da pesquisa clínica às vezes tem resultados negativos também. Então, a primeira coisa que é importante esclarecer é se de fato o medicamento de cujo estudo o seu filho foi participante alçou resultados positivos, se ele traz algum ganho, traz algum benefício.

Então, tendo dito isso, é importante também esclarecer que hoje há resoluções... Até aqui, para não me equivocar a respeito do número... A gente tem uma resolução do sistema CEP-Conep, que imagino que você conheça, que é a Resolução nº 563, que estabelece um prazo de cinco anos pós-encerramento de



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

estudo para fornecimento de medicamentos para condições ultrarraras. E também, enfim, tem decisões anteriores do próprio Conselho Nacional de Saúde, resoluções do sistema CEP-Conep, que vão estabelecer parâmetros um pouquinho diferentes de fornecimento de medicamento para participantes de pesquisa.

Enfim, concluindo, a gente tem algumas diretrizes – se o João aqui quiser complementar –, algumas diretrizes que vão organizar a forma de fornecimento pós-pesquisa.

Eu sou solidário à sua demanda enquanto pesquisador do campo e enquanto Ministério da Saúde, entendendo que o elemento econômico não pode prevalecer frente à vida, à qualidade de vida, ao direito à saúde do seu filho, da sua família, mas esse é um sistema complexo. O sistema de trazer pesquisas clínicas para o Brasil não é um sistema simples. Então, essa questão da obrigatoriedade de fornecimento também tem um viés importante que, às vezes, afugenta a indústria farmacêutica no sentido de que ela traga para cá as inovações farmacêuticas, as novas terapias.

Há duas faces nesse processo. Há a face do nosso interesse, enquanto cidadãos brasileiros, em que essas pesquisas venham, que elas tragam qualidade de vida, alguma esperança para as famílias. Por outro lado, essas questões financeiras também sopesam essa tomada de decisão da indústria. Não estou aqui, de maneira nenhuma, fazendo uma defesa do econômico *versus* a vida. Eu entendo e sou solidário à sua demanda, mas eu não consigo, sozinho, aqui, enquanto representante do Ministério da Saúde, sem um diálogo com a Anvisa, sem um diálogo com o Sistema CEP-Conep, com o Parlamento mesmo, prover uma solução para essa questão. A única indicação que eu posso fazer é que, nesse caso do descumprimento da legislação por empresas que arrolaram, que convidaram a sua família a fazer parte do estudo, você comunique isso às autoridades sanitárias. Comunique isso à Anvisa, comunique isso ao Ministério da Saúde – eu dei, há pouco, o *e-mail* –, para que, na medida em que haja materialidade na sua denúncia, a gente prossiga, a gente dê seguimento à sua queixa e, enfim, inste a empresa a nos responder, inste a empresa a apresentar alguma justificativa para essa interrupção, caso, de fato, haja um descumprimento da legislação.

Espero ter respondido, Senadora.

Não sei se o colega João Batista também quer complementar.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dr. João Batista...

(Intervenção fora do microfone.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Nós temos uma participação – ela está sem microfone – de uma pessoa que está no plenário que também destaca a necessidade da presença do Ministério Público nesse tipo de demanda. É isso, não é?

E o Dr. João está dizendo que não quer se manifestar, o.k.?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

(Intervenção fora do microfone.)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Pode.

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR (Para expor.) – Eu concordo com o Natan. Inclusive, o Natan é especializado na ética, e nós estamos tratando aqui de uma questão ética.

É óbvio que o caso precisa ser analisado especificamente, porque, se tiver alguma infração do ponto de vista da condução da pesquisa... O Natan colocou bem: se o produto trouxe benefícios e hoje, por exemplo, está registrado, então existe uma questão toda para se ver do ponto de vista de eficácia, porque realmente, se tiver prejuízo, não pode fornecer, para não trazer prejuízo ao participante. No entanto, isso tem que ser analisado caso a caso. É uma questão muito ética e importante.

Inclusive, o Parlamento está discutindo hoje um projeto de lei especificamente sobre essas questões éticas em pesquisa. Então, eu acho que é um caso importante para ser discutido e a participação do senhor é importante nesse caso.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada.

Sr. Mauri, muito obrigada por sua participação na nossa audiência. O senhor enriqueceu o nosso debate. E vamos continuar no diálogo com o senhor, direto com o senhor, com a sua família. Dê um abraço na sua esposa, dê um abraço no seu filho. Muito obrigada pela participação nessa importante audiência pública para nós aqui, no Senado Federal.

Nós temos mais dois oradores e já vamos encerrar – eu já fiz as perguntas de todos os Senadores da Casa; você viu que eu perguntei por todo mundo, não é? –, já vamos encerrar, rapidamente, mas nós estamos ansiosos para ouvi-los.

Priscila, você vai ser a última na lista de inscrição aqui.

Nós temos a honra de receber hoje o Rômulo Bezerra Marques, Diretor da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (Febrararas), companheiro, amigo. Eu tenho muito carinho por ele e pelo trabalho que ele faz – ele, a família, todo mundo.

Sr. Rômulo, estávamos ansiosos para ouvi-lo.

Seja bem-vindo e muito, muito obrigada por aceitar o convite.

O SR. RÔMULO BEZERRA MARQUES (Para expor.) – Muito obrigado, Senadora. Eu a cumprimento e, na sua pessoa, cumprimento todos aqueles nossos painelistas ilustres que já nos antecederam, todos aqui presentes e aqueles que estão também em modo remoto.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu quero aproveitar também, além de cumprimentos, para fazer os agradecimentos à Senadora Mara Gabrilli e a todos aqueles que subscreveram o requerimento que deram origem a esta audiência em uma Comissão, e sob ela uma Subcomissão tão relevante para nós, que é a de Raras, da qual a senhora também faz parte, e sabemos também que é muito engajada.

E uma saudação à nossa diretoria, Antoine Daher e Lauda Santos, nossos Presidente e Vice respectivamente, que, na impossibilidade de comparecerem a esta audiência, nos fizeram estar aqui presentes com muita dignidade e honra.

Aproveito também e mando um alô para as nossas comissões regionais, as nossas associadas, pois, graças a elas, Senadora, em diversos estados do Brasil a federação chegou aonde chegou em um curto espaço de tempo.

Diga-se de passagem, algo pitoresco, após uma reunião aqui na Livraria Sebinho, a três, seguimos para a Universidade de Brasília para fundar a Febrararas. A Febrararas nasceu no meio acadêmico, na sala do Prof. Natan. Algo que precisa ser registrado.

Uma saudação especial também aos nossos pacientes, aos pacientes raros que nos escutam.

Senadora, ouvintes, aludir ao Dia Mundial das Doenças Raras e ao Dia Nacional das Doenças Raras em relevante audiência como esta, por anos a fio, põe em definitivo o tema doenças raras na agenda nacional, isso é reconhecido e já foi dito aqui mais de uma vez.

Se algo conforta o paciente raro e as associações que os representam é saber que a sociedade abraçou a causa e que luta por ela. Chegamos até aqui com esforço, mas, com certeza, precisamos ter esforço para nos permanecer aonde chegamos.

Por sua vez, discutir os dez anos da Portaria 199, o tema central do recolhimento que deu origem a esta audiência, é fazer uma revisão, é refletir sobre avanços e desafios do aprimoramento das políticas para o setor a partir deste marco regulatório de peso. Debater a 199, Dr. João Batista, necessita de muito foco e, por esta razão, pautamos em uma leitura a fala no tema, ecoando as demandas mais recorrentes das associadas e dos pacientes.

Diga-se de passagem, isso já ficou bem notório aqui, uma política pública efetiva ocorre somente com a participação do assistido e, em nosso caso, essa premissa se acentua e fica complexa pelas inúmeras doenças raras existentes, já catalogadas, reconhecidas pelo poder público e pela sociedade em geral e, na sua esteira, aquelas ainda a identificar. Mas, quando o assunto é participação do assistido pela política pública, a linguagem adequada a este plenário, já dito aqui mais de uma vez, "avanços e desafios" – aspas –, é traduzido pelo paciente raro como o que deu certo e o que não deu certo, ou ainda a medicação que chegou em tempo e a que não chegou, ou o protocolo clínico aprovado e o rejeitado, ou ainda o tratamento que proporciona melhor qualidade de vida e o que resulta em agruras, por fim, o diagnóstico que antecipa o atendimento ou a falta dele que abrevia a vida.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Houve progresso no setor das raras ao longo desses dez anos? Sim, reconhecemos isso. Já foi dito aqui, por mais de um ator deste cenário. Mas é importante que a gente comente as lacunas existentes. Pois, afinal, uma falta de regulamentação, por pequena que seja; uma atualização, por simples que pareça; uma decisão de aquisição adiada; um recurso orçamentário não alocado pode representar a diferença entre a vida e a morte para o paciente.

Desse modo, Senadora, ouvintes, urge resolver o que nos aflige. E aproveitando a presença de ilustres representantes do Executivo e tendo a Comissão um jeitão de Executivo, vamos pontuar, vamos aos encaminhamentos.

A começar pelo texto da 199, que cita a pesquisa com ênfase, mais de uma vez. Carecemos de flexibilização da legislação para trazer a pesquisa clínica para o Brasil, assunto já antecipado aqui. Eu refiro-me, Dr. João Batista, ao uso compassivo, ao acesso expandido e ao fornecimento pós-estudo, aspas, "enquanto houver benefício", capitulados na Regulamentação RDC 38, de 2013, da Anvisa, que precisa ter seu debate continuado pós-consulta pública, pós-validação e triagem de dados, para chegarmos a uma solução nacional – considerando que países e continentes têm as suas soluções –, a uma realidade nacional, e trazermos a pesquisa clínica para o Brasil.

Esse assunto remete ao que o Mauri ali, que nos tocou, testemunhou lá com a sua família. Quero aproveitar e avisar aí ao Mauri que na nossa federação existe uma associada – associada à nossa Febrararas –, que é a Associação LDM Brasil, e o nosso contato é a Claudiane Oliveira.

Prosseguindo na nossa pontuação, urge encontrar uma solução para esse tema da RDC 38, sobre o que acabamos de comentar. Na lavra da pesquisa, senhores que nos escutam, senhoras e senhores, é bom destacar o Projeto de Lei 3.262, da Câmara – e lamentamos a presença do Deputado Diego Garcia. Esse projeto de lei cria o Fundo Nacional para Custeio e Fornecimento de Medicamentos e Terapias destinadas ao Tratamento de Doenças Raras ou Negligenciadas. Esse PL prevê um aporte de recursos para o desenvolvimento tecnológico. Talvez isso seja extremamente interessante para o Executivo.

E no momento, o PL 3.262, aquele que, na nossa triagem, é o que mais impacta quando o assunto é pesquisa, está apensado a outro projeto de lei – e ele urge tramitar naquela Casa para vir para cá. Fomentar a pesquisa clínica do Brasil, ser detentor de tecnologia, a partir dos nossos cérebros, é fundamental. É fundamental. O paciente não vê a dependência tecnológica estrangeira. Precisamos e temos condição de desenvolvimento tecnológico.

A 199 também se refere ao atendimento multiprofissional, mas isso entoa no paciente vazio enquanto não existir um número suficiente de geneticistas no país para os diagnósticos precisos. Como já foi dito pela nossa primeira palestrante, são cerca de 400, até onde sabemos, em todo o Brasil. O Rio Grande do Norte tem um geneticista, segundo uma associada nossa da federação. Outras categorias profissionais, para fecharem a equipe multiprofissional, também precisam de uma revisão para essa garantia plena.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E ecoando, reverberando o que diz a 199, no contexto social, em nome de uma vida digna ou de uma melhor qualidade possível, nós precisamos nos lembrar dos pacientes raros carentes do serviço *home care*. Identificar e diagnosticar para desenvolver um bom programa é o mínimo desejável, e nós sabemos da complexidade...

(Soa a campanha.)

O SR. RÔMULO BEZERRA MARQUES – Nós sabemos da complexidade de tudo isso que precisamos fazer para o *home care*.

Não custa lembrar também que, ao lado do paciente raro, é comum encontrar um cuidador ou uma cuidadora que abre mão de sua vida, de sua vocação profissional e até de remuneração para viver pelo bem-estar do paciente. E não me refiro ao familiar, não me refiro à mãe, não me refiro ao pai, mas me refiro àquele ser humano difícil de ser encontrado. Esse cuidador está desemparrado sob o ponto de vista previdenciário, desprovido de incentivos e benefícios que minorem os efeitos da renúncia, de sua renúncia.

Indo para o final, no contexto das incorporações, é bom destacar as etapas de aprovação da pactuação e da incorporação por conta da Conitec que não excedam os 180 dias previsto em legislação ou que se reveja, mas existem demandas reprimidas e pacientes à espera de protocolos clínicos.

Cabe lembrar ainda que algumas ou mais doenças raras provocam sequelas irreversíveis nos pacientes e os põem na condição de pessoas com deficiência. Ou seja, existe um público de pacientes comuns inseridos no contexto das raras e das pessoas com deficiência e disso resulta a necessidade de um trabalho tripartite para a garantia da mobilidade e da acessibilidade. Está lá na 199.

E, quando o assunto é diagnóstico precoce, nada mais oportuno do que falar sobre a implantação do programa de triagem neonatal em todos os estados e Distrito Federal. Alcançar 50 identificações e ir mais além, e além de forma homogênea em todo o território nacional, é garantir a inclusão da identificação de mais doenças raras, identificação precoce, tratamento preventivo, vida mais adequada. Há uma defasagem nos entes da Federação sobre a questão da triagem neonatal já bem explorada aqui por aqueles que nos antecederam.

O diagnóstico precoce reduz, anula ou minora os efeitos de doenças raras em sua maioria. Respeitadas as diferenças regionais, e isto é um outro tópico relevante, e as estruturas públicas, é importante a implementação de serviços de atenção especializada e serviços de referência, algo que já foi dito aqui, preferencialmente em unidades hospitalares. Sem o padrão mínimo de exigência e sem uma estrutura, não será possível garantir um atendimento de qualidade. Urge implantar centros de referências, Dr. João, em hospitais, em todo o território, reforçar os existentes, alcançar as regiões mais distantes ainda carentes de um serviço.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Por fim, sobre a 199, acredito que eu tenha apresentado as demandas mais prementes em complexo assunto, mas sabemos a necessidade de outras discussões. E, sobre isso – a federação representando suas associadas e representando seus pacientes, numa governança capilarizada –, ficamos ao dispor.

Lembrem-se de que 2024 é um ano bissexto, amanhã é o dia 29 – mas por ser 2024. Caros associados, toda a comunidade de pacientes, associações, permaneçamos nas campanhas de conscientização, demandando audiências públicas como esta, tão significativa, durante todo o ano. Amanhã não é o último dia, amanhã posso dizer que é o primeiro dia.

Aos nossos associados os nossos agradecimentos, às associadas e aos pacientes os nossos agradecimentos, e também a todos aqueles que nos escutam.

Ilustre Senadora Damares, muito obrigado. Estamos felizes com a escolha do tema, e mais felizes estaremos com o aprimoramento da 199.

Pela atenção de todos, eu agradeço.

Muito obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada.

A Febrararas tem sido parceira da Comissão, da Subcomissão. Quanto termina aqui, que a gente desliga os microfones, a gente briga lá na Comissão, e tudo isso que ele traz, ele traz em forma de reivindicação o tempo todo, de pedido. E aí, Sr. Rômulo, a gente continua à sua inteira disposição.

Chegaram-me duas perguntas aqui, e eu só vou comentar sobre elas.

Primeiro quero falar sobre a sua fala. O senhor trouxe mais um elemento para esta sessão: o cuidador, a gente cuidar de quem cuida, e o senhor trouxe aqui o cuidador, porque realmente é tão difícil encontrá-lo – e os que a gente encontra estão abandonados pela garantia de seus direitos. Eu agradeço o senhor ter trazido a figura do cuidador e essa sua reivindicação, para que a Subcomissão também se debruce com relação ao cuidador, porque as famílias precisam tanto deles e as crianças que estão em *home care* também. Que delicado da sua parte trazer isso, e necessário! É necessário a gente se debruchar sobre o tema.

Mas tem duas perguntas, uma do Rio de Janeiro e outra acho que de São Paulo, que falam sobre o seguinte: trazer o conteúdo doenças raras para o currículo escolar, para as escolas, para que as próximas gerações falem sobre o tema. A Febrararas entende que isso seria importante, seria necessário? Essa é uma pergunta de Célia Maria, de São Paulo, e ela repete duas vezes a pergunta.

O SR. RÔMULO BEZERRA MARQUES (Para expor.) – Extremamente relevante. Obrigado, Célia, pela pergunta e pela oportunidade de esclarecer mais um tópico.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

É importante, sim, levar para as escolas. O primeiro contexto que a gente vê como prioritário – e aí os senhores profissionais médicos aqui podem corroborar – é levar para o mundo acadêmico, para as faculdades de Medicina, para dar os primeiros contatos dentro de uma grade curricular e – quem sabe até? – enriquecendo com a participação de pacientes, para que os médicos, já no mundo acadêmico, antes de fazerem a escolha de suas especialidades, tenham uma noção maior e melhor sobre as doenças raras. Inclusive, isso é um dos nossos propósitos estratégicos da federação.

Secundariamente, não menos importante, no meio escolar do primeiro e segundo nível a primeira informação, as primeiras notícias, as campanhas de conscientização – como isso já é feito em muitas ocasiões, por muitas das nossas associações, até de uma forma lúdica, como na prática de esportes, como nas atividades lúdicas coletivas.

É isso.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Sr. Rômulo! Obrigada, Febrararas!

Na sequência, a nossa última oradora é a Priscila.

Obrigada por ter ficado até o final, Priscila.

Priscila é Coordenadora da Biored Brasil. É isso, Priscila? (*Pausa.*)

Priscila Torres.

Seja bem-vinda à nossa audiência! Com muita alegria lhe recebemos.

Você tem dez minutos para a sua fala, e, ao final, todos vão fazer os agradecimentos e você poderá fazer as suas considerações finais.

Bem-vinda, Priscila!

A SRA. PRISCILA TORRES (Para expor. *Por videoconferência.*) – Olá a todos.

Muito obrigada, Senadora Damares, pela oportunidade.

Parabenizamos a Senadora Mara Gabrilli e toda a Comissão por abordar um tema de tamanha relevância social.

Eu vou fazer uma apresentação trazendo uma perspectiva que já foi citada, porém não tão abordada.

Eu acho que cada um dos oradores aqui presente teve falas complementares de temas essenciais para o acesso à qualidade de vida e à oportunidade de tratamento, no tempo adequado, dos pacientes com doenças raras em nosso país.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu vou falar um pouquinho sobre a importância do componente especializado da assistência farmacêutica e a garantia da integralidade da atenção aos portadores de doenças raras, das pessoas que convivem com doenças raras, perante a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras.

Eu fiz parte também da militância que compôs essa política. Estava em Brasília no dia em que fizemos o último relatório da política, em 2014.

Eu sou paciente, convivo com artrite reumatoide há 17 anos.

Estou como Conselheira Nacional de Saúde, representando os usuários pela Biored Brasil no Conselho Nacional de Saúde. Também represento o Conselho Nacional de Saúde em algumas instâncias de grande importância para os pacientes brasileiros, usuários do SUS. Estou representando o CNS na Conitec, no Comitê de PCDT, no Cosaúde e na Camss, da Agência Nacional de Saúde Suplementar, e, atualmente, também represento o Conselho Nacional de Saúde na comissão especial do Supremo Tribunal Federal que debate sobre o tema da judicialização de medicamentos, na qual, neste momento inclusive, nas reuniões dos meses de fevereiro e março estamos discutindo medicamentos não incorporados, medicamentos não registrados e de uso *off-label*. Essa é uma discussão em que nós trazemos a perspectiva do paciente à luz da ótica das discussões, para que a gente possa ter normativas administrativas que venham trazer maior tomada de decisão assertiva e igualdade de acesso aos pacientes em nosso país.

Eu represento aqui a Biored Brasil. A Biored Brasil é um movimento pan-americano de organizações não governamentais. A Biored Brasil, no Brasil, é composta por 45 entidades e nós temos a missão de praticar o controle social para que o acesso a medicamentos do componente especializado da assistência farmacêutica seja ampliado, o custo reduzido, e a qualidade, a eficácia e a segurança dos pacientes sejam mantidas. A gente tem o trabalho de apoiar a navegação do paciente para o acesso a medicamentos do componente especializado da assistência farmacêutica e de todo o sistema de saúde.

Eu iria falar um pouquinho, mas dei uma reduzida aqui em minha apresentação – a cada vez que alguém citava algum tema e fui retirando.

Aqui é um breve resumo da política nacional de doenças raras e eu vou pular direto para os PCDTs.

O Natan nos trouxe muito a perspectiva do quanto é difícil chegar ao ponto de ter um PCDT para cada doença, porque sabemos que temos diversas doenças no SUS, essas doenças são distintas e a gente não vai conseguir definir um PCDT para cada uma delas, mas eu trouxe aqui um resumo dos PCDTs que a gente tem atualmente no SUS, e a gente vê quantas doenças raras existem.

Recentemente, nós discutimos uma questão na Conitec. Eu vou citá-la aqui porque é um exemplo do quanto nós, representantes do controle social em instâncias importantes do sistema de saúde, precisamos dialogar com o nosso coletivo e precisamos ter representatividade legítima.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A doença de Wilson teve o seu PCDT atualizado na Conitec recentemente

A doença de Wilson teve o seu PCDT atualizado na Conitec recentemente, e o relatório que a gente recebeu do Nats para avaliação como parecerista não trazia uma informação que eu só consegui porque eu conversei com os pais e familiares de pessoas com doença de Wilson através de uma comunidade no Facebook.

Um das mães comentou: "A minha filha tem qualidade de vida, utiliza a tecnologia x, que devolveu a ela a oportunidade de trabalhar, de ir ao mercado de trabalho, de estudar. Porém, o medicamento precisa ser guardado na geladeira". Ela toma a medicação oral, mas ele fica na geladeira. E essa era uma informação que não tinha no PCDT.

Então, quando nós estamos pensando em formular diretrizes, normativas para o acesso dos pacientes, precisamos considerar todos os pequenos detalhes. Esse detalhe só veio à discussão porque uma família me contou.

Nós trouxemos esse debate na atualização do PCDT de doença de Wilson. Por isso, nós estamos, como Bioered Brasil, como Conselho Nacional de Saúde, sempre atentos e disponíveis a ouvir, tendo o controle social nos apoiando nos nossos debates.

Bom, a gente tem aqui uma lista também de medicamentos que estão incorporados para o tratamento de doenças raras. São medicamentos dispostos em diversas linhas de financiamento.

Quando a gente fala em linha de financiamento para um componente especializado da assistência farmacêutica, a gente tem o Grupo 1-A, o Grupo 1-B, que recebem um financiamento direto da União. Depois, a gente tem a responsabilidade dos estados, dos municípios.

Mas a gente sabe que o grande desafio das doenças raras é que, muitas vezes, a gente não tem o medicamento elencado no sistema, e o paciente fica à mercê da oportunidade de acesso, de ele ter, primeiro, a prescrição, de ter uma medicação para que seja prescrita e de ele fazer a navegação do acesso.

Eu trago muito esta discussão do quanto a gente precisa olhar para a RENAME nacional, do quanto a gente precisa que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras tenha um olhar diferenciado para o acesso a medicamentos e medicamento com acesso no tempo certo. Se eles serão por meio de PCDTs, não sabemos. Se eles serão por meio de linhas de cuidado, categorizados por linhas de doenças, por tipos de doenças, isso também é uma coisa que a gente tem que avançar.

E nós do controle social temos muita esperança no grupo de trabalho, na câmara que foi instituída agora no Ministério da Saúde. Que essa câmara esteja atenta e tenha a participação...

Aqui eu trago até uma das questões: o Conselho Nacional de Saúde não está dentro dessa câmara que o Ministério da Saúde acabou de implementar. E penso que nós, como controle social, defendemos que



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

precisamos participar de todos os processos, incluindo o momento de elaboração, e não lá no momento final.

Aqui, a gente traz a importância também da integralidade do cuidado da pessoa com doença rara dentro da linha de atendimento da equipe multidisciplinar. Nós precisamos que a política contemple aquilo que a diretriz está nos orientando.

E contamos muito com esta Casa, com o Ministério da Saúde presente, para que nós do controle social possamos apoiar o desenho da estruturação dessa política, porque a política é linda. Ela está bem estruturada. Ela só não está adequadamente implementada em todos os itens das suas diretrizes.

A gente vai falar um pouquinho aqui de acesso.

A gente sabe que o acesso a medicamento está garantido. A gente tem uma grande dificuldade no país relacionada a preço. Aí a gente vai para outra esfera.

A gente sabe que é dever do Estado incluir direito a acesso a serviço de saúde e assistência farmacêutica para todos os brasileiros do nosso país. A nossa Constituição diz que a saúde é direito de todos e dever do Estado.

Nós, como controle social, estamos disponíveis para ajudar o Estado, em diferentes instâncias, a promover um acesso com equidade e universalidade em todo o nosso país.

Aí a gente vai falar um pouquinho – eu volto para outro lado – da questão do uso racional de medicamentos. A gente sabe o quanto a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras legitimou a importância de abordar os temas de doenças raras e toda a infraestrutura de regulação do acesso a serviços.

Aí a gente tem aqui a ampliação da demanda por incorporação. Hoje, a gente tem diversas demandas que são por incorporações, com submissão internas, a atualização do PCDT, a habilitação de novos centros, que o Natan já nos apresentou aqui.

E a gente tem uma grande barreira para o diagnóstico. Nós temos uma dificuldade enorme de conscientização da população, a gente tem um reduzido número de médicos, longo tempo de espera para a obtenção de consultas e exames, também abordado aqui. Então a gente tem a questão da limitação dos números de profissionais. Nós trouxemos aqui um mapinha da demografia de acesso ao médico especialista aqui no Brasil, e a gente vê o quanto a gente tem grandes regiões com uma quantidade muito pequena de especialistas. Isso é um desafio muito grande da política, e nós temos que trabalhar para melhorar em todo o país, porque o meu SUS no Sudeste precisa ser igual ao seu SUS no Norte e no Nordeste. A gente tem que ter um SUS igual, com total equidade, universalidade e integralidade em todo o país.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O cuidado farmacêutico vem também com uma deficiência nesses últimos dez anos. A gente tem aqui diversas dificuldades de acesso a medicamentos que já estão incorporados e fornecidos no sistema de saúde, além da questão do custo de aquisição para o ministério e para os entes. A gente tem uma grande dificuldade de que o cuidado farmacêutico não está integrado dentro dessa rede, e muitas vezes o paciente recebe o medicamento, mas não recebe o cuidado. E aí o cenário que a gente tem hoje é que pacientes que recebem medicamentos do centro, do componente especializado da assistência farmacêutica para doenças raras e para doenças imunomediadas, não estão tendo acesso aos cuidados essenciais para a aplicação do medicamento. São medicamentos injetáveis, ou subcutâneos ou infusionais.

A gente tem aqui uma pesquisa da Bioered Brasil recente, em que a gente mostra que 46% hoje dos pacientes que recebem medicamentos de alto custo nas farmácias de alto custo não têm centros de infusão no SUS para realizar medicamento; 22% dizem que tem centro de infusão onde ele mora, mas é particular e ele não pode pagar; 17% desses pacientes eram atendidos por centros de infusão com pagamentos prévios pela indústria farmacêutica produtora de medicamentos originadores, e, com a chegada dos biossimilares e com a produção nacional de diversas moléculas do nosso país, que são as PDPs, esses medicamentos hoje fornecidos pelo SUS, 17% são aqueles que não têm mais suporte da indústria farmacêutica; e 16% não terão mais suporte, já foram comunicados. Esses pacientes estão sem poder realizar o seu medicamento.

A gente também perguntou aos pacientes, àqueles que não têm centros de infusão no SUS, como eles estão fazendo para pagar, quanto que tem sido a aplicação, o custo da aplicação: 55% declaram que pagam até R\$200 para aplicar; 10% de R\$200 a R\$300; 5% de R\$300 a R\$400; e 30% dos usuários que recebem medicamentos hoje do Ceaf e do SUS estão pagando mais que R\$400 para aplicar uma medicação que o SUS fornece, e isso corresponde a 30% do salário mínimo brasileiro no nosso país.

Então a gente tem aqui algumas conversas que já foram realizadas, tanto com o Ceaf, do ministério, do Departamento de Assistência Farmacêutica e do Departamento de Atenção Temática à Saúde da Secretaria de Assistência Especializada à Saúde

E a gente também tem um tema que transcende o SUS e vai até a saúde suplementar. Hoje a gente tem diversas doenças raras e doenças imunomediadas com tratamentos previstos, orais, medicamentos orais, alvos específicos de alta tecnologia, que não estão sendo fornecidos no plano de saúde, porque a gente tem a legislação do plano de saúde para não fornecer medicamentos orais, e nós sabemos que diversas doenças precisam e têm alta tecnologia já comparada a medicamentos injetáveis, que alguns já estão fornecidos na saúde suplementar, e hoje a gente tem o SUS fornecendo alguns medicamentos para pacientes de saúde suplementar que não podem ter ressarcimento ao SUS.

Então a gente precisa de um equilíbrio na lei da saúde suplementar no nosso país para o tratamento adequado dos pacientes com doenças raras, dos pacientes com doenças imunomediadas. E a gente deixa este pedido à Comissão, aos Senadores da Casa, para que possam apoiar o controle social, para que a gente possa ter um olhar também às doenças raras, às doenças imunomediadas dentro da saúde suplementar,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

porque, se existe uma saúde suplementar no nosso país, ela não pode fechar os olhos para as pessoas com doenças raras no país, porque nós existimos, estamos contemplados dentro de contrato de saúde suplementar, e a gente continua direcionando todo o custo do tratamento das doenças raras apenas para o SUS, e muitas das vezes o ressarcimento não é feito ao SUS.

E eu termino aqui a minha apresentação com uma frase muito importante para todos nós do movimento, de que pessoas com doenças crônicas, com doenças raras, precisam que o SUS, além de fornecer medicamentos, tenha garantia integral de cuidados integrais a todos e disponível com igualdade em todo o nosso país.

Muito obrigada pela oportunidade. Parabéns a Comissão e os Senadores por abrir a Casa ao controle social para que os pacientes, os usuários, possam ter alguém para nos ouvir e nos ajudar a levar as necessidades daqueles que muitas vezes não terão oportunidade de serem ouvidos.

Muito obrigada, Senadora Damares.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Priscila, muito obrigada! Você enriqueceu muito.

Eu quero informar a todos que estão acompanhando que a apresentação da Priscila estará disponível depois no *site* da Comissão.

E você trouxe informações muito preciosas, Priscila.

Muito obrigada por ter ficado conosco até esta hora e por ter participado. Se surgir alguma pergunta para você, nós vamos encaminhar por *e-mail*, o.k.?

Nós estamos indo para o encerramento da nossa audiência pública, e nós vamos fazer o seguinte para encerrar.

O Vereador de Maceió pediu três minutos. Depois da fala dele – é bom a gente ter um Legislativo lá da ponta, lá no município, participando –, cada orador, cada expositor terá mais três minutos para agradecimentos. Pode ser?

Vereador.

O SR. LEONARDO DIAS (Para expor.) – Obrigado, Damares, por ter cedido a fala, para a gente trazer um pouquinho a realidade da ponta.

Naturalmente, a gente teve ganhos dentro do tratamento de doenças raras, avançamos na pauta, muito pela sensibilidade de Parlamentares que ouviram as associações e federações, com as suas demandas. Porém, na ponta, a gente ainda vive uma realidade muito difícil. Um cidadão comum tem muita dificuldade de ter diagnóstico até mesmo de doenças comuns, com a demora para marcação de consultas, de realização



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

de exames. E, quando é uma doença rara, ainda é muito mais difícil fechar o diagnóstico. Não há interdisciplinariedade entre as especialidades – não se falam –, os médicos não têm informações sobre os outros exames realizados, e isso, naturalmente, prorroga e posterga durante muito tempo o fechamento de um diagnóstico para uma pessoa que depende hoje do Sistema Único de Saúde. E, quando se depara com esse diagnóstico, começa uma verdadeira peregrinação, não somente em hospitais que, muitas vezes, não sabem como tratar essa doença, mas, sobretudo, nos órgãos judiciais, na Defensoria Pública do Estado, para ter acesso básico ao tratamento da sua enfermidade.

Esse foi o caso, por exemplo, de Luiz Felipe, um amigo meu, que foi o meu primeiro contato com a doença rara. Ele era portador de esclerose lateral amiotrófica, passou pela Defensoria, faleceu. É o caso, por exemplo, da família do Pedro Guilherme, que está agora com a ajuda até do Deputado Diego Garcia, no Paraná, sendo tratado, mas é de Maceió, por falta, justamente, de centros de especialidades. Teve que ir à Defensoria. É o caso, agora, de uma pequena que tem pouco mais de 30 dias para ter a sua vida garantida, a Maria Helena, em Maceió.

E aqui eu faço um apelo. Eu não poderia pecar por omissão, de estar aqui diante da Anvisa, do Ministério da Saúde e dos nossos Senadores...

(Soa a campanha.)

... para pedir pela vida da Maria Helena. Ela tem pouco mais de 30 dias para tomar a medicação Zolgensma – desculpem-me por não saber o nome da medicação, não sou da área de saúde, sou um legislador –, tem pouco mais de 30 dias e vem numa batalha judicial tentando ter acesso a essa medicação, sem sucesso. E hoje Maceió inteira está com toda a imprensa, toda a mídia, tentando ajudar de alguma forma essa criança. Assim como ela, nós temos inúmeras no Brasil inteiro esperando decisões judiciais para conseguir ter acesso básico e garantia de vida. Nós estamos falando de uma criança de um ano e onze meses. Então peço aos senhores, às autoridades aqui, à Senadora Damares, que tem um coração gigante, o seu empenho também pela Maria Helena, e aos nobres do Executivo, que possam também, de repente, nos ajudar a conseguir essa medicação para ela.

Muito obrigado, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Vereador.

Na sequência, nós vamos passar a palavra para o Natan. Eu vou seguir a sequência da ordem que foi publicada: Natan Monsores de Sá, Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde, para os agradecimentos finais.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ (Para expor.) – Senadora Damares, queria agradecer o convite, o convite também da equipe da Senadora Mara Gabrilli para estar aqui.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu vou começar respondendo ao apelo. Enfim, a gente se sensibiliza, eu trabalhei na ponta, trabalhei no SUS durante muitos anos. Tem várias pessoas aqui que me conhecem e sabem do nosso compromisso enquanto pesquisador, enquanto profissional do campo, com as pessoas com doenças raras. Mas veja, a Zolgensma é um medicamento "recém-incorporado", entre aspas, e ele foi incorporado num regime diferenciado, que é o de compartilhamento de risco. O que esse regime de compartilhamento de risco pressupõe? Pressupõe que a empresa e o Ministério da Saúde vão, num contrato, fazer um acordo, fazer um acerto para as condições para as quais esse medicamento será dispensado e como vai acontecer o pagamento, em função dos resultados apresentados no tratamento da pessoa, do paciente.

Enfim, neste momento esse diálogo está acontecendo entre o Ministério da Saúde e a empresa. Nós já temos um PCDT que estabelece critérios, há uma janela de oportunidade, que eu sei que é pequena, mas é em razão da indicação de bula desse medicamento. Mas esse passo precisa ser dado. É um medicamento de altíssimo custo. A gente sabe que vida de ninguém tem valor e, de novo, eu não estou aqui colocando valor sobre a vida de nenhuma criança ou de nenhuma pessoa, mas é um acordo que envolve uma série de complexidades, inclusive a apresentação por parte da empresa de um contrato, uma minuta de contrato que envolve os critérios estabelecidos pelo próprio Ministério da Saúde. Então isso está em negociação neste momento. Mas existem outros medicamentos incorporados para a AME...

(Soa a campainha.)

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – ... que podem ser utilizados em apoio a essa criança.

Mas a gente está atento. Estamos aguardando essa negociação acontecer para que a oferta da tecnologia, quer dizer o acesso ao tratamento, aconteça lá na ponta.

Senadora, me encaminharam aqui também da plateia uma pergunta, não sei se a senhora quer que eu responda ou encerro a minha fala. Então está bom.

Só encerrar agradecendo novamente e colocando o Ministério da Saúde à disposição para esta Casa, para o diálogo e para o apoio, a gente precisa de apoio do ponto de vista de orçamento, apoio para que as ações consigam chegar na ponta.

Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Responda por e-mail.

O SR. NATAN MONSORES DE SÁ – Então está bom.

Só quero encerrar agradecendo novamente e colocando o Ministério da Saúde à disposição para esta Casa, para o diálogo e para o apoio, a gente precisa de apoio do ponto de vista de orçamento, apoio para que as ações consigam chegar à ponta.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada.

Na sequência, vamos ouvir João Batista Silva Júnior, Gerente de Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, a Anvisa.

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR (Para expor.) – Obrigado, Senadora.

Em nome da Anvisa, quero agradecer esta audiência, agradecer a oportunidade de conversar com vocês, de estar aqui presente a agência como representante dos pacientes.

O Rômulo levantou esta questão: a agência está cada vez mais tentando atualizar suas normativas, inclusive uma das normativas que ele levantou, que é a de uso compassivo. É muito importante essa normativa. Ela é uma normativa procedimental para que a Anvisa possa orientar como é que vai ser a disponibilização de medicamentos durante um ensaio clínico. Isso é importante porque muitos pacientes não se enquadram nos critérios de ensaio clínico, mas podem se beneficiar daquele tipo de tecnologia, a depender das circunstâncias. A gente está atualizando essa normativa para ter um posicionamento público e para o Rômulo.

E, no mais, quero agradecer à Comissão. A Anvisa está à disposição, inclusive, para discutir soluções com vocês do que nos compete, porque eu acho que o mais importante é isto, ouvir a sociedade, discutir soluções. E a agência como um todo está empenhada.

Doenças raras e as legislações, os procedimentos de doenças raras são prioridade para a agência. E isso, como eu falei no início da minha fala, tem nos proporcionado nos elevar como agência reguladora. Quando a gente se senta para discutir mecanismos regulatórios adaptados a esse tipo de tecnologia para doenças raras, faz com que a Anvisa inclusive possa ser uma agência reguladora respeitada e possa desenvolver técnicas regulatórias aqui dentro.

Um grande exemplo disso, pessoal, vocês não sabem, mas é uma discussão que a gente faz internamente. Nós conseguimos responder à emergencialidade da pandemia da covid-19 com grande avidez e com rapidez porque nós tínhamos experiências discutidas na época da discussão da RDC 2017-205 sobre doenças raras.

Foi possível lá dentro da agência um amadurecimento sobre como lidar...

(Soa a campanha.)

O SR. JOÃO BATISTA SILVA JÚNIOR – ... com situações de emergencialidade. Então, isso nos amadureceu para responder também à sociedade naquele momento que foi importante para a sociedade brasileira.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, quero agradecer a vocês também pelo empenho de vocês em fazer com que a agência possa crescer – e vocês são parte disso.

Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Dr. João.

Agora, nós vamos ver as considerações finais do Luciano Márcio Freitas, do Ministério de Desenvolvimento e Assistência Social.

O SR. LUCIANO MÁRCIO FREITAS DE OLIVEIRA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Mais uma vez, quero agradecer por participar deste momento importante.

E quero já colocar a discussão, por exemplo, de pensarmos identificação das pessoas com doenças raras, os instrumentos do Suas. E aqui, neste momento, estávamos debatendo sobre como, no registro do Censo Suas, Creas, Centro-Dia, etc., podermos identificar para pensar também uma linha de cuidado em relação ao Suas. Nesse momento, a gente, revisando essas normativas aqui, já se coloca e então vamos fazer esta pergunta: vamos ver aqui, nos serviços, como está essa relação, essa identificação aqui das pessoas com doenças raras, para tentarmos ampliar e principalmente fortalecer o processo do cuidado e do trabalho, a proteção às famílias e aos cuidadores, como foi relatado aqui durante esta tarde.

Meu muito obrigado, e coloco aqui o ministério e a Secretaria Nacional de Assistência Social à disposição desse debate essencial na proteção social brasileira.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Rômulo, muito obrigada... Aliás, Luciano. Muito obrigada!

Na sequência, vamos ouvir as considerações finais do Rômulo Bezerra, da Febrararas.

O SR. RÔMULO BEZERRA MARQUES (Para expor.) – Se estivéssemos numa sala de aula e eu tivesse essa possibilidade de ser professor, eu gostaria que os alunos retivessem 10%. Senadora, ouvintes, permitam que eu seja assertivo para sair com essas mensagens da nossa comunidade.

Pesquisa clínica no Brasil. O Brasil na lista das grandes pesquisas e seus residentes brasileiros. Isso é extremamente relevante. E é associado à RDC 38, que precisa ter um desfecho favorável para a gente.

O Projeto de Lei 3.262, de 2020, que está na Câmara, precisa tramitar, Senadora – precisa tramitar. A nosso ver, pode ser que tenha escapado outro projeto de lei, mas esse é bem impactante para aquilo que nós estamos discutindo.

Revisão e estímulo à especialização dos geneticistas, são 400 geneticistas. Eu até tinha um número maior, mas a nossa médica da Sociedade Brasileira já citou que eram apenas 400 geneticistas. Outros



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

profissionais de saúde também precisam e as sociedades de classe, os conselhos de classe, o conselho federal, os conselhos específicos precisam atuar nesse setor.

Home care. A Federação está terminando ali um levantamento por amostragem das necessidades do *home care*, para que a gente possa chegar aos pacientes.

Caros ouvintes, cuidadores e cuidadoras, essas boas almas precisam de um sistema, de um atendimento previdenciário, de um suporte social, porque isso até pode ser visto como uma política pública adequada. Se você tem, lá na ponta, assistidos e amparados o cuidador e a cuidadora, seguramente aquele paciente vai estar em melhores condições.

O nosso pedido é alerta à Conitec e aos seus prazos, aos seus protocolos clínicos. Não me refiro nem a se eles foram ou não rejeitados, mas aos protocolos clínicos aprovados e às suas entregas nos prazos definidos pela legislação.

(Soa a campanha.)

O SR. RÔMULO BEZERRA MARQUES – Paciente físico, deficiente físico, quando se juntam no universo, mobilidade e acessibilidade extremamente relevantes.

A triagem neonatal e a sua ampliação, estruturação, torná-la robusta e homogênea em todo o território nacional. Isso é muito significativo para a gente.

Serviços de referência em hospitais. Não há como atender o paciente raro fora de hospital, senão não tenho uma equipe multiprofissional que não vai criar uma sinergia de equipe multiprofissional, geneticista, hematologista, ortopedista etc. Tem que estar no hospital. Não conseguimos ver como pode ser diferente.

Por fim, como um fecho, o final, a boa vontade não pode ser monopolizada. Sentimos a boa vontade de todos aqui convergindo para um propósito maior e melhor para as pessoas com doenças raras.

Agradecemos, em nome da Febrararas, da nossa diretoria, essa participação. Meus parabéns, Senadora Mara e Senadora Damares, que muito bem conduziu esse processo!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Sr. Rômulo, muito obrigada.

Na sequência, para agradecimentos e considerações finais, a nossa querida Regina Próspero.

A SRA. REGINA PRÓSPERO (Para expor.) – Obrigada, Senadora, mais uma vez. Acho que é chover no molhado. Então, vamos chover no molhado. Obrigada.

Sempre quando acontece um debate como este, quem sai ganhando são os pacientes, sempre. A gente não vê outro final.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Aqui são trazidas as demandas, geralmente são demandas que estão em comum com as associações no geral. E eu espero, realmente, que a gente consiga ter um ano melhor.

Hoje de manhã nós estivemos com o Presidente, levamos algumas demandas lá para que ele pudesse nos ajudar. Ele foi muito receptivo. Eu espero que em breve a gente colha os frutos daquilo que foi plantado hoje de manhã.

Eu esqueci de dizer também, porque estava preocupada com o horário, que, no dia 11 de março, a Casa de Saúde Nossa Senhora dos Raros, em Taubaté, vai começar a funcionar, a acolher as pessoas com doenças raras. Existe um local onde o paciente, a família pode se inscrever para que ela seja triada e, realmente, se ela tiver alguma doença rara, ela vai dar continuidade ali na demanda dela.

Hoje nós sabemos que existe uma demanda muito reprimida em questão de diagnósticos e é isso que a gente quer melhorar. A princípio nós tínhamos pensado em atender somente o Vale do Paraíba, porque ali é um local onde tem muita carência e as pessoas precisam ir até o Rio de Janeiro ou São Paulo para poder buscar o seu atendimento, mas nós decidimos que toda e qualquer pessoa que queira participar da conclusão do seu diagnóstico é bem-vinda, para, assim, a gente tentar diminuir e desafogar todo esse aparato.

E, por final, também, nós estamos já mirando no Nordeste...

(Soa a campainha.)

A SRA. REGINA PRÓSPERO – ... e logo, logo nós teremos surpresas por lá também, porque a gente gosta, não é, Fátima? A gente gosta e, se não for para causar, a gente nem sai de casa, não é? *(Risos.)*

Brinquei muito com o Padre hoje, dizendo que a gente sozinho já é um perigo; junto é um atentado. *(Risos.)*

Então, que seja um atentado bom para todo mundo.

Obrigada, obrigada e obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada. Muito obrigada.

E agora, para encerrar, Priscila Torres.

Seus três minutos para agradecimentos e considerações finais.

A SRA. PRISCILA TORRES *(Por videoconferência.)* – Muito obrigada, Senadora Damares, pela oportunidade.

Estão me ouvindo?



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Sim, estamos ouvindo.

A SRA. PRISCILA TORRES (Para expor. *Por videoconferência.*) – Eu gostaria de agradecer a oportunidade. Gostaria de parabenizar todos os expositores, também agradecer a presença da Anvisa, do Ministério da Saúde.

A oportunidade de ter um diálogo aberto e colaborativo é extremamente importante para todos nós do controle social.

Gostaria também de deixar disponível aqui o Conselho Nacional de Saúde através das comissões. Nós temos comissões de patologias; de ciência, tecnologia e assistência farmacêutica; de ciclos de atenção básica. São comissões em que podemos receber, enquanto Conselho Nacional de Saúde, contribuições à sociedade civil de pautas e trabalhos.

É muito importante que a gente também tenha esse olhar da importância dos conselhos, tanto o Conselho Nacional de Saúde, quanto os conselhos estaduais e municipais de saúde, para apoiar os modelos de construção de políticas e também estar atuando ali, ajudando o Sistema Único de Saúde a melhorar a sua qualidade de assistência.

O SUS é nosso e é nossa obrigação enquanto controle social contribuir para que nos processos de política sejam contempladas todas as necessidades da população a qual representamos.

Eu gostaria de poder também ter a oportunidade de contribuir com esta Comissão e de que este tema não seja apenas abordado neste momento. Nós precisamos de continuidade para que a gente possa ter o olhar para que todas as necessidades das pessoas com doenças raras sejam contempladas nas políticas de saúde do nosso país.

Muito obrigada a todos.

Esperamos que a gente possa ter dia 28 de fevereiro, como sempre, um marco de conscientização, um marco de sensibilização e um marco de que as pessoas com doenças raras precisam de serem lembradas todos os dias e em todos os momentos – e não somente no Dia Mundial de conscientização das Doenças Raras. Que nós possamos ter integralidade, universalidade e equidade no acesso e nas políticas públicas...

(Soa a campanha.)

A SRA. PRISCILA TORRES – ... para as pessoas com doenças raras em todo o país.

Muito obrigada a todos.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Priscila. A gente chega ao final desta sessão, desta audiência pública. Agradeço a presença de



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

todos que vieram, os que estão *online* nos acompanhando, e eu acho que a gente cumpre a nossa missão hoje.

Que Deus abençoe todas as famílias raras. Que Deus abençoe todos os raros do meu país!

Há muitos encaminhamentos, a Secretaria trabalhou todos os encaminhamentos que foram sugeridos, e nós vamos dar as respostas. Esta Subcomissão e esta Comissão continuam à disposição de todos vocês, e a gente vai continuar para que a política seja eficiente e eficaz, inclusive pensando: que mais a gente vai ter que transformar em lei? A minha preocupação é com políticas públicas que podem ser mudadas; vem um governo, vem outro... O que tem, o que está acontecendo no Executivo que a gente pode transformar em lei para garantir a sustentabilidade e a continuidade?

Muito obrigada a todos vocês.

Nada mais havendo a tratar, declaro encerrada a presente reunião. (*Palmas.*)

(*Iniciada às 14 horas e 20 minutos, a reunião é encerrada às 17 horas e 30 minutos.*)