SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 64ª REUNIÃO, EXTRAORDINÁRIA, DA COMISSÃO DE DIREITOS HUMANOS E LEGISLAÇÃO PARTICIPATIVA DA 4ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 27 DE AGOSTO DE 2026, QUINTA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR NILO COELHO, PLENÁRIO Nº 6.

Às nove horas e treze minutos do dia vinte e sete de agosto de dois mil e vinte e seis, no Anexo II, Ala Senador Nilo Coelho, Plenário nº 6, sob a Presidência da Senadora Damares Alves, reúne-se a Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa. Deixam de comparecer os Senadores Ivete da Silveira, Eduardo Braga, Sergio Moro, Giordano, Marcos do Val, Plínio Valério, Cid Gomes, Jussara Lima, Mara Gabrilli, Lourdinha Pereira, Jaime Bagattoli, Magno Malta, Marcos Rogério, Astronauta Marcos Pontes, Fabiano Contarato, Rogério Carvalho, Humberto Costa e Dr. Hiran. Havendo número regimental, a reunião é aberta. Passa-se à apreciação da pauta: **Audiência Pública Interativa**, atendendo aos requerimentos REQ 108/2026 - CDH, de autoria Senador Hermes Klann (PL/SC), e REQ 118/2026 - CDH, de autoria Senador Hermes Klann (PL/SC), Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF). **Finalidade:** "Debater a situação regulatória do medicamento Elevidys (delandistrogene moxeparvovec), destinado ao tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), bem como as políticas públicas voltadas às doenças raras, especialmente no que se refere ao acesso a terapias avançadas, aos procedimentos regulatórios adotados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa e às ações do Ministério da Saúde". **Participantes:** Deputado Federal Max Lemos, Câmara dos Deputados; Daniela Marreco Cerqueira, Diretora da Segunda Diretoria da Agência Nacional de Vigilância Sanitária - ANVISA; Daniel Pereira, Diretor da 4ª Diretoria da Agência Nacional de Vigilância Sanitária - ANVISA; Deborah do Couto Nobre Rassele, Mãe do paciente Raul Rassele e representante do Deputado Estadual Napoleão Bernardes; Humberto Scherer, Pai do segundo paciente medicado com Elevidys; Viviane Guimarães, Advogada - Especializada em Direito da Medicina pela Universidade de Coimbra, Portugal; Ana Almeida, Médica - Representante da Roche Farmacêutica; Paulo Zattar Ribeiro, Médico Geneticista; e Luciene Fontes Schluckebier Bonan, Diretora do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde - DGITS/MS. **Resultado:** Audiência pública realizada. Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às treze horas e quarenta e três 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.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Senadora Damares Alves
Presidente da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa

Esta reunião está disponível em áudio e vídeo no link abaixo:
http://www12.senado.leg.br/multimidia/eventos/2026/08/27

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF. Fala da Presidência.) – Bom dia.

Declaro aberta a 64ª Reunião, Extraordinária, da Comissão Permanente de Direitos Humanos e Legislação Participativa da 4ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura, que se realiza nesta data, 27 de agosto de 2026.

A audiência pública será realizada nos termos dos Requerimentos 108 e 118, de 2026, de minha autoria e de autoria do Senador Hermes, para discutir situação regulatória do medicamento Elevidys, destinado ao tratamento da distrofia muscular de Duchenne, bem como as políticas públicas voltadas às doenças raras, especialmente no que se refere ao acesso a terapias avançadas, aos procedimentos regulatórios adotados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e às ações do Ministério da Saúde.

Comunico a todos que esta reunião será interativa, transmitida ao vivo e aberta à participação dos interessados por meio do Portal e-Cidadania, na internet, no endereço www.senado.leg.br/ecidadania, tudo junto, ou pelo telefone 0800 0612211.

Eu informo que nós estamos recebendo muitas perguntas pela internet desde que anunciamos a audiência, mas, como eu sei que nós estamos ao vivo, eu vou repetir o telefone.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Se você está em qualquer lugar do Brasil e quiser interagir com os nossos convidados, mandar pergunta, mandar sugestão, mandar inclusive uma reclamação ou um comentário, ou quem sabe uma sugestão, o telefone – não tem custo nenhum essa ligação – é 0800 0612211.

O relatório completo com todas as manifestações estará disponível no portal, assim como as apresentações que forem utilizadas pelos expositores.

Na exposição inicial, cada convidado poderá fazer uso da palavra por até dez minutos.

Para um melhor encaminhamento dos trabalhos, a palavra será concedida de modo alternado entre os convidados que participam presencialmente e de modo remoto. Por que a gente faz isso? Para a gente não perder a conexão. Nós já tivemos audiência em que deixamos quem estava de forma *online* por último e a conexão caiu. Então, nós vamos aproveitar a conexão.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF. Para discursar.) – Senhores, esta audiência foi pedida já faz algum tempo. Esta audiência não surgiu nesta semana. Ela é fruto de requerimentos, assinados por Senadores, nesta Comissão de Direitos Humanos.

As pessoas podem estar perguntando: por que na Comissão de Direitos Humanos e não na Comissão de Saúde? Porque hoje nós vamos falar sobre direitos; hoje nós vamos falar sobre sofrimento de famílias; hoje nós vamos falar de proteção à vida humana, o que é a atribuição desta Comissão.

Quando os requerimentos foram apresentados, os Senadores jamais imaginariam que aconteceria o que aconteceu nesta semana.

Então, depois do que aconteceu nesta semana, com a suspensão do remédio no Brasil, houve uma repercussão muito grande. Familiares do Brasil inteiro vieram para o Senado.

Estão andando nos corredores, batendo de porta em porta; batendo de porta em porta nos gabinetes dos Deputados Federais, estão indo às autoridades que eles encontram em Brasília, a ministério. Eles estão em desespero. E, por coincidência, a audiência está acontecendo hoje.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Diante do cancelamento do registro do remédio, anunciado pela Anvisa na segunda-feira, dia 24, a pedido do laboratório Roche, considero importante que essa discussão seja vista não apenas pelo aspecto regulatório, mas também pelo impacto que essa decisão representa para as famílias que convivem diariamente com a distrofia muscular de Duchenne.

O momento da decisão também merece ser registrado como um fato relevante. O anúncio ocorreu apenas três dias antes da audiência pública de hoje, que envolve justamente a discussão sobre acesso – nós íamos discutir mais acesso ao remédio –, tratamento e novas possibilidades terapêuticas para pacientes com Duchenne. A proximidade entre os acontecimentos, por si só, não permite atribuir qualquer relação de causa ou intenção, mas torna ainda mais importante que as famílias tenham clareza sobre o que muda a partir dessa decisão.

A Duchenne é uma doença rara, grave e progressiva. Para essas famílias, o tempo tem um peso diferente. A perda de força e de funções acontece de forma progressiva e, por isso, cada possibilidade terapêutica representa uma expectativa muito concreta de preservar qualidade de vida e autonomia pelo maior tempo possível. O remédio trouxe uma proposta diferente das terapias tradicionalmente utilizadas. Trata-se de uma terapia gênica de dose única que utiliza um vetor para levar material genético às células e possibilitar a produção de uma forma reduzida da distrofina, conhecida como microdistrofina. Não se trata de uma correção da mutação genética nem de uma cura comprovada para a Duchenne, mas de uma estratégia terapêutica desenvolvida com a proposta de modificar a evolução da doença.

Também é importante considerar que o remédio recebeu autorização regulatória em outros países, incluindo Estados Unidos, Japão, embora existam diferenças entre as avaliações das autoridades internacionais quanto aos dados de segurança e eficácia.

Uma das questões que há bastante tempo preocupa as famílias brasileiras é a dificuldade de acesso a dados nacionais. Até a suspensão do medicamento no Brasil, aproximadamente dez crianças haviam recebido o remédio. Esse número é pequeno e, justamente por isso, o acompanhamento individualizado desses pacientes e a produção de dados de vida real podem ser importantes para ampliar o conhecimento sobre a utilização da terapia no país. E como

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

ficam essas crianças agora? Na nota da Anvisa, todos que receberam o remédio continuarão sendo atendidos. Nós queremos essa certeza nesta audiência.

É importante, naturalmente, não confundir esses dados com uma comprovação de eficácia. Um número pequeno de pacientes não é suficiente para estabelecer conclusões científicas definitivas, mas cada paciente acompanhado pode contribuir para a farmacovigilância e para o conhecimento sobre segurança, resposta ao tratamento e evolução clínica.

Outro ponto muito sensível para as famílias é a possibilidade de escolha.

O remédio é uma terapia de altíssimo custo – a gente reconhece –, valor próximo de 20 milhões por dose. Isso foi amplamente noticiado, embora o valor efetivamente praticado possa variar conforme condições de aquisição, negociação e tributação.

E, por favor, senhores expositores, ninguém utilize o microfone aqui para dizer que essas crianças são caras. Cansei de, como assessora, ir a reuniões de Ministério da Saúde e, como assessora, não poder falar e de sentar atrás do Parlamentar e ouvir antigos Ministros dizerem que as crianças com doenças raras são caras. Elas não são caras; elas são raras. Eu vou repetir: elas não são caras; elas são raras.

Essa realidade coloca um enorme desafio para o sistema público de saúde. Ao mesmo tempo, muitas famílias questionam se, diante da impossibilidade de fornecimento pelo SUS, existiria algum caminho legal e sanitariamente seguro para se buscar o tratamento por meios próprios.

Esse questionamento precisa ser tratado com cuidado. O direito de escolha não se sobrepõe às exigências sanitárias e regulatórias. O cancelamento do registro não significa que a aquisição privada passe a ser automaticamente permitida. Mas a preocupação das famílias merece ser considerada dentro da discussão mais ampla sobre autonomia, acesso e possibilidades terapêuticas para doenças raras.

Para uma mãe ou um pai que acompanha a progressão da doença, a busca por uma terapia inovadora não significa necessariamente acreditar em uma cura, em um milagre ou ignorar os riscos. Muitas vezes significa apenas querer conhecer todas as possibilidades

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

existentes e junto à equipe médica compreender o que pode ou não fazer sentido para seu filho.

Por isso, talvez o mais importante neste momento seja compreender o que acontece depois do cancelamento do registro. Como ficará o acompanhamento dos pacientes que já receberam o remédio? Como serão acompanhados e utilizados os dados desses pacientes? Quais possibilidades terapêuticas permanecem disponíveis para as famílias? Como o Brasil continuará acompanhando as pesquisas e o desenvolvimento de novas terapias para a doença?

Acredito que essas questões precisam fazer parte desta conversa hoje. O objetivo não deve ser colocar segurança contra acesso, nem ciência contra esperança; nem uma casa, um Poder contra o outro, nem as famílias contra a Anvisa ou o laboratório. As coisas precisam caminhar juntas.

No centro dessa discussão estão famílias que convivem com uma doença progressiva e que, acima de tudo, querem informação clara, segurança, acompanhamento médico e a possibilidade de conhecer os caminhos que a ciência está oferecendo.

O caso do remédio também traz uma discussão maior para o Brasil. Como vamos lidar daqui para a frente com terapias inovadoras para doenças raras, muitas vezes de altíssimo custo, quando o número de pacientes é pequeno e o tempo tem um peso tão grande na evolução da doença?

Esta talvez seja uma das maiores contribuições que essa discussão possa deixar: não apenas falar sobre uma terapia específica para a qual o requerimento foi apresentado, mas pensar em como garantir que pacientes com doenças raras não sejam esquecidos enquanto a ciência avança e que nenhum dos que fizeram parte de experimento seja abandonado como cobaia, esquecido, como já vimos em outras ocasiões com outros remédios.

A legislação precisará – inclusive, Senador – ser atualizada, se preciso for, porque, para essas famílias, cada possibilidade importa e, principalmente, cada dia importa. Esse é o objetivo da reunião e essa é a minha fala inicial.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Temos como convidado, e eu chamo para compor a mesa como convidado, o Ilustríssimo Sr. Deputado Federal Max Lemos. É uma alegria, Deputado. Sente aqui do meu lado direito, que é o melhor lado do Brasil. (*Palmas.*)

Eu convido, para sentar aqui do outro lado, Daniela Marreco Cerqueira, Diretora da Segunda Diretoria da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Dra. Daniela, que prazer tê-la conosco. A Anvisa merece palmas. (*Palmas.*)

Sente aqui, Daniela.

Eu convido também para estar conosco, do lado direito, Daniel Pereira, Diretor da Quarta Diretoria da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Obrigada, Dr. Daniel. (*Palmas.*)

E eu quero, antes de citar os outros nomes, cumprimentar a Anvisa por ter vindo. Seria muito mais confortável para a Anvisa mandar um ofício dizendo: "Não queremos discutir agora porque a decisão foi muito recente". Mas o fato – eu quero chamar a atenção das famílias – de a Anvisa estar com dois representantes na mesa mostra o compromisso da agência com as famílias. Muito obrigada, Anvisa, por estar conosco nesta audiência.

Quero convidar, para sentar à mesa também, Deborah do Couto Nobre Rassele, mãe do paciente Raul Rassele, representante do Deputado Estadual Napoleão Bernardes. (*Palmas.*)

A mãe do Raul, quando chegou, já chorou muito, já me abraçou muito, e eu convido para estar... Nós já compomos a primeira mesa.

Nós vamos ter uma segunda mesa e vai estar conosco na mesa, Humberto Scherer, pai do segundo paciente medicado pelo remédio que foi suspenso. (*Palmas.*)

Teremos também, na segunda mesa, Viviane Guimarães, Advogada, especializada em direito da medicina pela Universidade de Coimbra, Portugal. Obrigada, Dra. Viviane. (*Palmas.*)

Estará conosco também a Dra. Luciene Fontes Bonan – o terceiro nome eu não sei falar –, Diretora do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde. Muito obrigada, Ministério da Saúde. Que coragem de vir a uma audiência dessas! E ela falará na segunda audiência.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

E, por videoconferência, nós temos Ana Almeida, Médica representante do laboratório Roche, da Roche Farmacêutica. Obrigada, Ana, por estar conosco.

Nós teremos também Paulo Zattar Ribeiro, Médico Geneticista, que também está de forma *online*.

E eu tenho a alegria de registrar a presença do Deputado Vitor Lippi. Deus do céu! Deputado Lippi, quando eu o vi aqui, eu disse: "Mas esse homem só entende de tributos, é o homem que mais entende de direito tributário no Brasil! O que o Deputado Lippi está fazendo aqui?". Obrigada, Deputado.

Olha, esqueci que o Deputado Lippi também é médico. Porque a reforma tributária aqui na Casa, gente, esse Parlamentar conduziu de forma tão brilhante! Não se fala de direito tributário nesta Casa, aqui no Senado, sem correr lá na Câmara para ouvir o Deputado Lippi. Que alegria o ter aqui! E além de tudo é médico. Coisa linda! (*Palmas.*)

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Senadora, mas ele tem prestado uma grande contribuição nessa luta pelo Elevidys, tem sido intenso.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Ok.

Agora eu vou perguntar uma coisa: Deputado Lippi e Deputado Max, vocês estão em campanha? Vocês estão indo à reeleição?

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Nesse momento, aqui, não.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP. *Fora do microfone.*) – Nesse momento, não

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Mas eu quero perguntar: estão?

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Sim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vocês sabem o que significa isso? Eles saírem de seus estados, faltando poucos dias para a eleição... Eles tiveram o deslocamento, vão participar desta audiência que eu acho que não

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

termina antes das 13 horas; no mínimo, dois dias de campanha eles deixaram de fazer para estarem sentados aqui conosco. Eles merecem o nosso aplauso. (*Palmas.*)

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Obrigado.

É prioridade máxima, né, Vitor? Prioridade máxima, né?

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP. *Fora do microfone.*) – Obrigado, Max.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – E registro com muita alegria que está no Plenário o Senador Hermes.

O Senador Hermes, para quem não conhece, é um Senador que chegou a esta Casa há pouco tempo, poucos meses, mas ele chegou caladinho. A minha primeira briga com ele foi porque ele subiu na tribuna e disse que Santa Catarina era o melhor estado do Brasil. Eu disse: "Não conhece Sergipe? Não. Nunca foi no Marajó? Não conhece o Pará? Não conhece as quebradas do Distrito Federal? Não. Vai dizer que é Santa Catarina?". E ele chegou, gente, tão comprometido com algumas pautas, e esta audiência está acontecendo por força e iniciativa do Senador Hermes. (*Palmas.*)

Ele é da área empresarial, ele tem outras grandes pautas, mas sempre esteve nesta Comissão de Direitos Humanos lidando com o cuidado da vida humana, a proteção da mulher, relatando o projeto de proteção da mulher, projeto de proteção da criança, proteção dos idosos. Fez uma parceria nesta Comissão... Ele vai deixar de ser Senador e nós vamos morrer de saudade, vamos lá buscá-lo de volta.

Senador Hermes, muito obrigado por ter provocado este debate. Acho que o senhor foi um profeta. O senhor provocou o debate e, justamente nessa semana, que a gente conseguiu organizar a audiência, o Brasil está diante dessa decisão que nos causou perplexidade.

O Senador Hermes tem a palavra. A gente vai começar a audiência com ele.

Eu só queria perguntar aqui à mesa: eu recebi uma ordem de fala, o Deputado Max vai ser o primeiro. Depois do Deputado Max, o Deputado Lippi também vai falar. Por quê? Se eles precisarem sair, nós vamos entender. E, para os demais, a gente vai passando a palavra depois, o.k.?

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Senador Hermes.

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, NOVO, AVANTE) - SC. Para discursar.) – Bom dia a todos.

Senadora Damares, eu me espelho sempre em você, pelo trabalho que presta por estas causas muito sensíveis e quero lhe agradecer.

Senadora Damares, especialistas, profissionais de saúde, pais, mães e famílias aqui presentes, como proponente desta audiência pública, quero dizer que estou profundamente sensibilizado com tudo o que temos acompanhado. Esta audiência nasceu para discutirmos a situação regulatória do Elevidys e as políticas públicas relacionadas à distrofia muscular de Duchenne, diante dos acontecimentos recentes. Porém, sabemos que essa discussão ganhou uma dimensão ainda maior porque, por trás de cada decisão, de cada medicamento, de cada dado técnico, existem vidas, existem crianças, existem pais e mães lutando diariamente pelo futuro dos seus filhos. Por isso, espero que tenhamos hoje uma discussão aberta, respeitosa, responsável e, acima de tudo, capaz de trazer respostas às famílias. Que possamos compreender os fatos e buscar caminhos concretos para garantir mais segurança, tratamento e esperança.

Agradeço a presença de todos e, especialmente, a coragem das famílias que estão aqui.

Muito obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Senador Hermes.

Eu quero lhe agradecer também por ter permitido que eu dirija esta audiência. É norma da Casa que o autor do requerimento conduza a audiência pública, e o Senador Hermes, de forma muito humilde, permitiu-me conduzir esta audiência pública. Eu não sei se ele foi tão humilde ou se ele sabe que eu sou muito brava e que vou ficar muito brava aqui hoje, não é, Anvisa? Não é, laboratório Roche? Senador Hermes, muito obrigada por me permitir, por me dar essa oportunidade de conduzir a sua audiência pública.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, NOVO, AVANTE) - SC) – Senadora Damares, eu tenho a plena certeza de que ela está nas melhores mãos do Senado, do Brasil.

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

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, NOVO, AVANTE) - SC) – Muito obrigado por aceitar.

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

E eu registro a presença aqui com muita alegria da esposa do Senador Hermes, que está acompanhando a audiência também, o que mostra o compromisso de toda a família com essa questão, com a causa dos raros. É uma alegria recebê-la na nossa audiência.

Vamos para os nossos expositores. Ouviremos, por dez minutos, o Deputado Max Lemos. É uma alegria, Deputado, recebê-lo em nossa Casa. Que Deus o abençoe. V. Exa. tem dez minutos, mas, se precisar passar um pouquinho para terminar uma exposição, fique à vontade.

E eu quero informar para o Brasil que todas as exposições aqui – se tiverem eslaides, qualquer apresentação – ficarão à disposição do Brasil. Uma audiência como esta, Deputado, depois vira tese de doutorado, tese de mestrado. O conteúdo apresentado aqui é assistido diversas e diversas vezes depois. Então, a contribuição de uma audiência como esta, inclusive para pesquisa – médicos vão ouvi-la, estudantes de Medicina. Então, todo o material apresentado aqui ficará à disposição do Brasil no portal da Comissão de Direitos Humanos.

Deputado Max.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ. Para expor.) – Bom dia, Senadora Damares. É um prazer estar aqui do seu lado, da Senadora que é um ícone no debate aqui no Parlamento, no Senado.

Quero cumprimentar aqui o Senador Hermes. Parabéns pela iniciativa. Isso mostra que este debate, a cada dia, ganha mais corpo aqui na discussão do Congresso Nacional. É

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

fundamental, Senador, a gente debater de forma clara e transparente. Com todo o respeito que a gente tem aos técnicos da Anvisa, existem questões que a gente precisa, de verdade, tornar públicas, até porque nós não somos técnicos da área, não somos da área científica, e a gente precisa, de verdade, sempre estar com mais clareza.

Quero cumprimentar o meu querido Deputado e amigo Vitor Lippi, companheiro nosso nessa luta, e cumprimentar a todos na mesa.

Senadora Damares, eu fico feliz de ver V. Exa. presidir esta audiência pública porque chega um momento na vida pública, em determinados temas, em que é preciso às vezes ter uma voz que tenha uns decibéis maior, alguém que tenha, de verdade, disposição de enfrentar um debate um pouco mais intenso, vamos dizer assim, Senador Hermes.

Essa questão do Elevidys já se arrasta há dois anos e meio na Câmara. E nós, que já tínhamos feito uma primeira audiência pública na Câmara um ano atrás, aproximadamente, sentimos a necessidade de fazer uma segunda, com uma mobilização grande dos pais aqui, em Brasília, com o Plenário da Comissão efetivamente lotado e muita gente nos corredores. É porque, independentemente da questão técnica, que é obviamente norteadora da autorização da Anvisa, existe todo um aspecto humanitário a ser tratado. Então, não dá para você sair decidindo as coisas de forma aritmética: 2 + 2 é 4. Não dá para ser assim. A não ser que tivesse algum risco, algum altíssimo risco para essas crianças. E eu acho que esse deve ser, talvez, o principal caminho para a gente trazer aqui à tona.

Os próprios técnicos da Anvisa e os médicos que nos acompanham não deixaram nunca de relatar que a principal questão é saber se há risco para aquela criança ao receber a aplicação da terapia. E, na última audiência, mais que ficou claro que não existe um altíssimo risco de efeito colateral que possa atingir a criança e levá-la a óbito. Tanto é que, das crianças hoje que estão sendo acompanhadas após a aplicação da terapia, houve um óbito, e esse óbito não foi por causa da aplicação do Elevidys. Ele aconteceu porque a criança teve gripe. Isso comprovadamente, dito inclusive pelos técnicos da Anvisa, do laboratório, dos médicos que acompanham essas crianças no dia a dia. Ela não veio a óbito por conta da aplicação do Elevidys. Ela veio a óbito porque ela ficou gripada.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Então, eu acho que a primeira coisa de que a gente precisa ter clareza é: faz mal para a criança receber o Elevidys?

Na minha opinião... Eu não sou médico, não sou cientista, eu tenho um grande respeito pelos técnicos da Anvisa. Não é fácil você fazer o trabalho que a Anvisa faz no Brasil ao longo do ano, com um número pequeno ainda de servidores, mas o grande questionamento nosso é: se não faz mal, por que interromper a esperança? Essa é a questão. Está comprovado que ela não faz mal.

Inclusive, houve uma determinação da Anvisa de que se fizesse uma aplicação até x idade, justamente para aumentar a margem de segurança após a aplicação do Elevidys. Vamos aplicar até seis anos? Houve toda uma movimentação no Brasil dos pais que tinham crianças acima de seis anos e que ficaram se sentindo meio que excluídos. Mas, naquele momento, era uma decisão que garantia o debate sobre a aplicação do Elevidys nas crianças que tivessem uma idade superior a seis anos. Até isso foi feito.

Os depoimentos, Senadora Damares, a respeito da aplicação da terapia, de quem recebeu a terapia, são emocionantes ao contrário, de forma positiva.

Nós assistimos ao vídeo, que deve estar aí, do menino lá de Varginha. Se vocês virem o vídeo dele, como ele estava quando descobriu a distrofia muscular e como ele está agora depois da aplicação do Elevidys, é de emocionar; de forma negativa, o sofrimento com que ele estava e como ele está correndo agora. É disso que nós estamos tratando.

Nunca, em nenhuma audiência, nós tratamos de eficácia completa, 100%, vai ter cura, é um milagre o que aconteceu. Nós nunca tratamos disso. O que nós precisamos tratar aqui é se tem uma saída para manter uma criança viva. E manteve essas crianças vivas! E a aplicação lá fora está provada que deu certo. "Ah, morreram algumas pessoas". Na sua maioria, quase totalidade, numa idade muito superior àquela que nós estamos debatendo.

Eu, de verdade, não quero me alongar, porque eu gostaria de verdade de ouvir a Roche, o laboratório, para entender dela por que suspendeu, e a Anvisa.

Com todo o respeito que eu tenho aos técnicos, mas se nós não tivemos nenhum grande fator negativo, nesse período, no que foi aplicado aqui no Brasil... Nós não tivemos, Deputado

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Vitor Lippi, não tivemos. Está parecendo que aplicou a terapia nas crianças e morreram todos. Vocês me desculpem, o que está parecendo é isso. Nós tivemos um falecimento, infelizmente, porque pegou essa gripe. Não teve outro.

Eu, de verdade... Eu vim ontem, no último voo, consultando as pessoas: "Venha cá, teve mais alguma coisa? Aconteceu mais alguma coisa?" – agora, de manhã –, para saber se nós tivemos uma grande catástrofe; não que a morte de uma criança não seja uma catástrofe, mas nós estamos falando de uma relação de custo-benefício importante.

E uma outra coisa, Senador Hermes, não dá para a gente tratar de dinheiro agora. Não dá para tratar de dinheiro. Isso é um outro assunto. Tem gente que pesa a mão para condenar a única terapia que está comprovada que pode suspender a doença, interromper o crescimento da doença: é o Elevidys. Então, esse é o tema que se tem que tratar. Agora, tem gente que, infelizmente, está tratando a questão como questão financeira. Tem que deixar essa questão para um segundo momento.

É bem verdade que nós requeremos para incluir no SUS. É claro! É lógico que 99% dos pais não conseguem pagar o medicamento, o custo. Mas vamos deixar essa discussão para um segundo momento: se você tem orçamento, se não tem, como vai fazer. O que está acontecendo... Eu não estou nem falando isso da Anvisa, não. A Anvisa está ocupando a margem técnica dela. O que eu estou dizendo é que, na grande verdade, está impedindo que os pais possam até se virar – fazer grandes campanhas, todo mundo se envolver.

Eu e o Deputado Lippi já temos uma proposta. Não quiseram legalizar as *bets* no Brasil? Não fizeram toda uma alavanca para legalizar as *bets*? Vai lá no que faturam com as *bets* e tira um percentual para pagar! Agora, não dá para você interromper a esperança. Não dá para você achar normal uma criança... A mãe está olhando para a criança e está contando cada dia até o período em que ela possa receber a aplicação. É disso que nós estamos tratando aqui.

Então, de verdade, o que eu quero ouvir dos técnicos: primeiro, por que interromperam a discussão; porque a discussão estava madura. Da última audiência para cá, a discussão sobre a liberação estava madura. Faltava apenas uma correção de eixo, de protocolo, porque o laboratório "comeu mosca", como diz a gíria, e realinhou isso. Mas nós não tivemos nenhuma morte. Desculpem-me os pais e as mães hoje... Quem me conhece nessa luta sabe que eu não

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

uso esse tipo de argumento, porque eu sei o quanto é sofrido para vocês. Mas acontece que hoje nós vamos ter que tratar de morte ou de vida. Entendeu, Senadora Damares?

Eu sei das suas ocupações, da sua liderança hoje no Brasil, e sei do quanto a senhora está ocupada, mas nós estamos tratando de viver ou de morrer. É disso que nós estamos tratando! A discussão de como é que vai pagar essa conta, deixe-a para discutir isso no momento seguinte. É no momento seguinte que vai se discutir, porque aí tem muitas discussões: é baixar esse valor; é saber por que chega tão caro; são as campanhas que são possíveis de acontecer, sim; é uma ideia que nós tivemos – eu e o Deputado Lippi –, que pode, sim, financiar as doenças raras através de um percentual do que é tributado nas *bets*, no jogo, já que botaram o jogo para fora, no momento em que todo mundo questionava se legalizar *bets* era um grande negócio ou se iria viciar o povo brasileiro mais pobre.

Então, de verdade, eu queria deixar as minhas perguntas e considerações, depois que eu ouvi o laboratório e ouvi a própria Anvisa, porque qual informação falta ainda? Houve aplicação nas crianças. As crianças estão bem; infelizmente a que faleceu, faleceu motivada pela gripe. Essa gripe aí, que tem que vacinar...

(*Manifestação da plateia.*)

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – A H1N1, essa.

Então, nós temos a esperança, estamos falando de vida. Eu lamento muito... Eu não vou falar aqui dele ainda, porque eu não o encontrei, mas, no dia em que eu me encontrar com o Ministro Padilha, eu faço questão de perguntar a ele qual é o dado técnico que ele tem para afirmar que não existe comprovação da eficácia do medicamento. Gosto muito dele, dos anos que o conheço; agora, não dá para jogar a toalha assim, não, meu irmão. Desculpa...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – O Ministro encontra a gente e fala que ele não vai ajudar...

(*Soa a campainha.*)

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Então, já encerrando essa primeira participação, Senadora, eu queria deixar essa manifestação.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

(*Soa a campainha.*)

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Gostaria de ouvir dele qual é o dado técnico. Qual é o dado técnico? Nós somos x crianças com falecimento, é isso que importa!

Obrigado, e me desculpem a minha nova forma de reagir a todo este momento.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O senhor colocou o coração, colocou a alma na sua fala.

Vamos ouvir o Deputado Federal Vitor Lippi... (*Pausa.*)

Quer falar depois?

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP. *Fora do microfone.*) – É, eu prefiro.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Prefere depois? Então, a gente vai continuar. Quando o senhor precisar falar, o senhor fala.

Aqui na Casa funciona assim, senhores convidados: os senhores vão estar falando; se chegar um Parlamentar, ele pode pedir a palavra para falar em um momento diferente, o.k.?

Vamos ouvir então a Dra. Daniela Marreco Cerqueira, Diretora da Segunda Diretoria da Agência Nacional de Vigilância Sanitária.

Eu só vou pedir às nossas convidadas de plenário que não se manifestem durante a fala dos expositores, porque, para eles estarem aqui, eles vieram mesmo com o compromisso de vir. Inclusive, o representante do Padilha está aqui. Depois, eu também vou me encontrar com o Padilha a sós, dentro de uma sala, mas aí é eu e ele. Agora a gente vai respeitar os convidados que estão aqui hoje.

Dra. Daniela, muito obrigada. Tem que ter nome Daniel e Daniela para trabalhar na Anvisa? Olha a coincidência! (*Risos.*)

Bem-vinda, Dra. Daniela, nós estamos com uma expectativa muito grande para ouvi-los.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA (Para expor.) – Muito obrigada, Senadora. Bom dia. Cumprimento a Senadora Damares, agradecendo pela condução dessa audiência pública; o

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Senador Hermes, pelo requerimento; o Deputado Vitor Lippi, agradeço também por estar aqui; o Deputado Max Lemos, pelas palavras e considerações acerca do trabalho da Anvisa; cumprimento todas as famílias, os pais e as mães que estão aqui, na pessoa da Deborah, que está aqui do meu lado.

Eu vou apresentar a situação regulatória e as últimas decisões relacionadas a esse medicamento que nós viemos tratar hoje na audiência pública.

Próximo, por favor. (*Pausa.*)

Então, rapidamente, para explicar como é que funciona o ciclo de vida de um medicamento de terapia avançada, o produto...

Próximo, por favor.

O produto de terapia avançada é classificado como um tipo especial de medicamento e passa por diversas etapas de pesquisa e desenvolvimento; estudos não clínicos; estudos clínicos; o registro sanitário, que também depende de uma certificação de boas práticas de fabricação da planta produtiva; e, após o registro, nós temos a etapa de monitoramento, fiscalização e farmacovigilância, que é uma etapa essencial para a nossa discussão de hoje.

Nessa etapa do registro excepcional do medicamento, a Anvisa avalia os riscos e os benefícios desse produto, sempre registrando os medicamentos cujos benefícios superam os riscos. Nós não avaliamos benefícios e custos, essa é uma avaliação realizada em outra instância após a etapa de precificação do medicamento, realizada pela Cmed, a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos, em que a Conitec, do Ministério da Saúde e a ANS, no âmbito dos planos de saúde, vão avaliar os benefícios em relação aos custos daquela medicação para decidir em relação à incorporação ou não do medicamento.

Próximo, por favor.

No caso dos produtos de terapias avançadas, a norma da Anvisa que trata esse assunto é a Resolução 505, de 2021, que traz que o registro excepcional do medicamento pode ser concedido mesmo na ausência de dados comprobatórios da eficácia clínica a longo prazo, em algumas situações: desde que aquele medicamento seja utilizado para uma doença grave, uma

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

doença debilitante, uma doença rara, que é o caso do medicamento Elevidys; se não houver outra terapia disponível no Brasil para aquela patologia, que também é o caso do medicamento Elevidys, no momento em que ele foi registrado; e se o balanço benefício-risco daquela alternativa terapêutica for favorável para justificar o registro excepcional daquele produto. E, nesses termos, foi concedido, no final de 2004, o registro do medicamento Elevidys no Brasil.

Próximo, por favor.

De acordo com a Lei 14.874, que é a lei que trata das pesquisas clínicas com seres humanos no Brasil, o produto de terapia avançada é classificado como um tipo especial de medicamento complexo, que inclui, entre outros, a terapia gênica, que é o caso, como foi exposto aqui pela Senadora Damares, na fala de abertura, do Elevidys, que foi registrado nesses termos.

O próximo.

Então, o Elevidys foi registrado no Brasil tendo como empresa detentora desse registro a Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos, mas o medicamento é desenvolvido lá fora e, lá fora, é de detenção de outra empresa, a Sarepta Therapeutics, sendo uma terapia gênica à base de vetor viral, como também foi exposto aqui, e um medicamento de dose única; uma única injeção é a forma de tratamento com o Elevidys.

Próximo, por favor.

No Brasil, o registro sanitário foi concedido em dezembro de 2024 e, como eu já coloquei, um registro excepcional, vinculado a um termo de compromisso, que foi firmado entre a empresa Roche e a Anvisa para justificar o registro diante dos dados que ainda estavam faltantes naquele momento em que o registro foi concedido.

A indicação aprovada pela agência foi para pacientes deambuladores, de 4 a 7 anos, com distrofia muscular de Duchenne, sem deleção dos éxons 8 e/ou 9.

Próximo, por favor.

Esse registro sanitário significa que, naquele momento, o medicamento tinha benefícios em determinados desfechos, apesar de que o estudo pivotal apresentado para o registro do

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

medicamento no Brasil não atingiu o seu desfecho primário de eficácia, mas foram demonstrados benefícios em outros desfechos, e, por isso, o registro foi concedido de forma excepcional, com um termo de compromisso, em que tinha algumas obrigações estabelecidas entre a Anvisa e a empresa.

Essas obrigações eram a condução de um estudo brasileiro, trazendo evidências de vida real, a partir do uso desse produto nas crianças do Brasil; um estudo internacional de vida real, em conjunto com a Agência Europeia de Medicamentos; e um seguimento de longo prazo dos pacientes avaliados nos estudos clínicos, que seria a continuidade do Estudo 305, que apresentaria anualmente à Anvisa dados de segurança e eficácia. Isso foi estabelecido no termo de compromisso.

O próximo, por favor.

Trazendo um pouco da situação internacional desse medicamento, como já foi apresentado aqui também, ele está registrado nos Estados Unidos pela agência norte-americana, o FDA. Foram avaliações diferentes realizadas pela agência norte-americana, em que, inicialmente, fez uma aprovação excepcional e, posteriormente, uma aprovação tradicional, apesar de que houve um parecer técnico de negativa pelo registro desse medicamento nos Estados Unidos, mas uma decisão da instância superior da agência norte-americana decidiu pela concessão do registro do medicamento.

Na Anvisa, no final de 2024, foi concedido o registro excepcional com o termo de compromisso; no Japão também o produto se encontra registrado de forma condicional, com um tempo de vigência de três anos para esse registro; e a Agência Europeia de Medicamentos recusou o registro do produto, por entender que os dados de eficácia e segurança não eram suficientes para respaldar o registro do produto na Europa.

O próximo, por favor.

Em 2025, como também já foi relatado, a Anvisa suspendeu o uso do Elevidys no Brasil, devido a alguns eventos adversos fatais ocorridos nos Estados Unidos com pacientes de 15 e 16 anos, que, sim, são pacientes fora da faixa etária aprovada para o uso do produto aqui no Brasil. Aqui no Brasil, também tivemos o caso de um óbito, mas, como foi colocado pelo Deputado, um

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

óbito relacionado à infecção por influenza do paciente. Após a investigação desse sinal de segurança, foram estabelecidas algumas medidas cautelares para viabilizar o uso do produto, relacionadas à tentativa de mitigação dos eventos adversos, principalmente hepáticos, que foram relacionados ao uso do vetor viral que é utilizado nesse produto.

O próximo, por favor.

O termo de compromisso não pôde ser cumprido pela empresa da forma como ele foi firmado com a Anvisa, porque houve uma alteração unilateral do protocolo do estudo clínico. Essa alteração no protocolo foi promovida pela empresa responsável internacionalmente pelo medicamento, a Sarepta, e, com essa mudança no protocolo do estudo clínico, a empresa não mais consegue apresentar anualmente os dados de eficácia e segurança que foram pactuados no termo de compromisso.

A Sarepta mudou o protocolo do estudo, que previa a entrega anual de resultados de eficácia e segurança, para fazer uma nova avaliação de eficácia do medicamento somente em 2031. E, além disso, os dados que foram apresentados como tentativa de cumprimento do termo de compromisso são dados de acompanhamento de vida real desses pacientes, e eles mostram que os resultados não reduzem de forma significativa as incertezas que existiam no momento do registro e que ainda existem. E essas incertezas são relacionadas principalmente a riscos cardíacos e a riscos hepáticos.

O que a gente observou no seguimento de três anos dos pacientes é que foi necessário um aumento importante na dose de corticoide utilizado nesses pacientes. Também foi necessária a utilização do sirolimo, um imunossupressor, como tentativa de mitigar esses efeitos adversos, principalmente hepáticos e cardíacos, efeitos importantes que foram observados nesses dados de três anos de acompanhamento dos pacientes que utilizaram o medicamento.

Próximo, por favor.

Além disso, os dados de três anos apresentados mostram que os pacientes acompanhados após três anos estão com os mesmos desfechos de eficácia no momento da entrada do estudo ou com resultados piorados em relação ao resultado basal, mostrando que a eficácia do medicamento não foi sustentada após esse período de três anos a partir do

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

acompanhamento realizado, que não é um acompanhamento dentro do protocolo do estudo, porque, como eu mencionei, houve uma mudança desse protocolo pela Sarepta, e a gente não consegue ter os resultados até 2031, quando a empresa internacionalmente vai obter o resultado de acompanhamento desses pacientes.

Nesse sentido, a empresa responsável no Brasil, a Roche, solicitou, agora, em agosto, o cancelamento do registro do medicamento, entendendo que a totalidade dos dados disponíveis não era suficiente para cumprir o compromisso pactuado com a Anvisa.

O próximo, por favor.

É importante colocar o que acontece com os pacientes que já receberam a medicação. São cerca de 15 pacientes no Brasil, todos seguirão sendo acompanhados pela Roche. Nós estamos em contato direto com a empresa para estruturar o plano de acompanhamento desses pacientes, e a empresa manterá esse acompanhamento de todos os pacientes que utilizaram o medicamento no Brasil, inclusive para gerar dados que permitam à Anvisa continuar avaliando o perfil de benefício do uso desse produto.

Próximo, por favor.

Sobre as perspectivas, a empresa nos informou acerca da realização de um estudo clínico global que vai incluir pacientes brasileiros, para que ela possa gerar dados da própria Roche que permitam uma nova tentativa de registro desse medicamento no Brasil, um estudo clínico de Fase III, que é uma oportunidade importantíssima de acesso dos pacientes brasileiros a esse medicamento. E nós, como Anvisa, daremos prioridade à avaliação desse protocolo do estudo clínico, a uma nova avaliação de registro, se submetida pela empresa, e a qualquer outra medicação para doença rara ou para distrofia muscular de Duchenne – sempre todas são avaliadas com prioridade pela Anvisa.

Próximo, por favor.

Bem, era isso.

Eu trouxe aqui o contato da Segunda Diretoria exatamente para que a gente possa seguir dialogando com as famílias e com todos os atores que queiram entender melhor a suspensão

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

ou o cancelamento do registro do Elevidys no Brasil. Quero me colocar totalmente à disposição de todos que quiserem ou que precisarem de mais informações, assim como para responder a todos os questionamentos que surgirem durante esta audiência pública.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF. Para interpelar.) – Dra. Daniela, obrigada.

Dra. Daniela, meu celular não para – não para. Eu vou me conter muito aqui.

O que as famílias estão perguntando para mim aqui no celular: o que é esse acompanhamento do laboratório? O laboratório vai lá na casa dizer: "Oi, como está você? Você está bem? Você tomou meu remedinho? Você está bem?", e vai embora? O que é esse acompanhamento? Vai continuar dando para os 15 que já recebem o remédio? Ou ela realmente vai suspender o remédio, só vai acompanhar e ver o que vai acontecer depois? Eu não entendi. Ficou claro para vocês? O que é este acompanhamento do laboratório? Qual é o compromisso deles com os 15 que já recebiam?

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA (Para expor.) – Obrigada, Senadora. (*Fora do microfone.*)

O medicamento é de dose única, então não tem a questão de continuar recebendo a medicação...

A SRA. DAMARES ALVES (Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Sim.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – ... porque esses pacientes já receberam o medicamento. O que a empresa vai fazer – e nós estamos estruturando junto com ela para esse acompanhamento – é continuar coletando os dados de eficácia e segurança. Nós precisamos ter dados de eficácia de longo prazo. Como é uma medicação cuja proposta é a cura da distrofia muscular de Duchenne, foi para isso que a medicação...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – Não é, não. Ela para estabilização, Doutora, me desculpa.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – A indicação dela aprovada no Brasil... A gente tem outros medicamentos aprovados que reduzem a progressão da doença...

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Não, não substitui o Elevidys.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – ... mas, quando isso foi submetido à agência, a empresa...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Ele atenua o que os meninos vão ter, que são as dores deles, mas isso não vai parar...

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – Exato. E mesmo essa progressão...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Ele não faz o que precisa.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos deixar a Dra. Daniela falar.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – A progressão precisa ser acompanhada...

A SRA. DAMARES ALVES (Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Depois a gente faz as perguntas.

Sim, Doutora. Então, vai lá, pergunta "Tomou meu remedinho? Como é que está?", tira uma fotinho e vai embora. É só esse o acompanhamento?

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – A empresa avalia todos os desfechos...

A SRA. DAMARES ALVES (Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vai avaliar tudo?

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – ... de segurança e de eficácia, principalmente os de longo prazo, para que a gente possa saber se os resultados apresentados até agora realmente são os resultados que se observam na vida real desses pacientes.

Estão surgindo preocupações cardíacas e hepáticas nos pacientes brasileiros que utilizaram esses medicamentos? Os desfechos de eficácia que foram demonstrados no momento basal, um ano após o uso – que foi quando a gente registrou esse medicamento, com dados de um ano –, se sustentam dois anos após o acompanhamento do paciente, três anos? São esses dados que a empresa vai continuar coletando até mesmo para subsidiar os próximos passos em relação ao medicamento no Brasil.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. DAMARES ALVES (Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O.k.

Dr. Daniel, Diretor da Quarta Diretoria da Anvisa.

Obrigada, Dr. Daniel, por estar conosco nesta manhã.

Tem dez minutos; se precisar ultrapassar um pouquinho, fique à vontade.

O SR. DANIEL PEREIRA (Para expor.) – Muito bom dia a todos e todas.

Eu cumprimento todos os Parlamentares presentes: Deputado Federal Max Lemos, meu conterrâneo do Rio de Janeiro; Deputado Federal Vitor Lippi; Senador Hermes, autor do requerimento desta audiência; Senadora Damares. É um grande prazer estar nesta audiência, Senadora, sob a sua condução, sob a sua Presidência.

Na pessoa de todas as mães e pais de crianças com Duchenne, eu cumprimento a Deborah, que aqui está também, à mesa. E queria já dizer, Senadora Damares, que a nossa presença aqui – a presença de dois diretores da Anvisa – já demonstra a importância e o compromisso da agência em relação a esse tema.

Eu, durante muito tempo, conduzi... fui responsável pela Segunda Diretoria da Anvisa, que é a diretoria responsável por registro de medicamentos, e acompanhei, lá no início, a suspensão do registro desse medicamento e o anseio das famílias de terem informação, terem algum tipo de projeção de quando a gente ia solucionar esse problema. Eu, pessoalmente, recebia praticamente todo mês algum pai, alguma mãe, com uma informação; a gente fazia um esforço grande de municiá-los com cada passo que a agência estava dando em relação a esse tipo de suspensão.

Mas, de fato, como a Diretora Daniela disse, a gente tem na agência um processo muito técnico de acompanhamento desses produtos. Nós somos hoje, na agência, cinco diretores – cinco diretores servidores públicos concursados, então aqui a gente não tem nenhum viés. O nosso único viés é o viés da agência, é o viés da proteção à população.

A agência tem só um objetivo e só uma missão, que é oferecer produtos seguros, de qualidade e eficazes à população, é isso que nós fazemos 24 horas por dia, sete dias por semana. Todas as análises técnicas são feitas nesse sentido, mas a gente atua sob demanda. A

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

gente atua sob demanda da indústria, que nos protocola um pedido de registro, nos municia de informação e, assim, a gente faz uma análise para garantir o acesso da população a esse tipo de produto.

A agência tem uma sensibilidade muito grande a qualquer terapia relacionada a doença rara. A gente tem uma normatização específica sobre isso, que garante priorização desses produtos na análise da casa, então, independentemente de quanto esteja o nosso tamanho de fila de registro de medicamento, quando esses produtos para doenças raras entram sob registro da agência, eles seguem um caminho prioritário.

O próprio registro do Elevidys é um exemplo disso: a gente, em menos de um ano, conseguiu completar todas as fases do processo desse registro, o que é muito atípico. A gente tem outros produtos, por exemplo, medicamentos que chegam a demorar três anos, três anos e pouco para serem aprovados na agência. Mas, como a Diretora Daniela disse e detalhou muito bem, esse processo, até pela importância que ele tomou, foi feito sob a égide de um termo de compromisso – sob a égide de um termo de compromisso em que a empresa se comprometia a não só complementar as informações para fins de registro, mas também a monitorar a utilização desses produtos aqui em território nacional.

Em julho do ano passado, aproximadamente, a gente recebeu alguns sinais de alerta de outras agências internacionais. A Anvisa, é importante dizer, participa de igual para igual com as principais agências regulatórias do mundo – seja dos Estados Unidos, do Canadá, da Austrália, do Japão –, e a gente monitora de forma conjunta todos os sinais de segurança em relação a esse tipo de produto. Então, devido aos óbitos que a gente teve nos Estados Unidos de pacientes que utilizaram esse produto, essas informações foram compartilhadas entre agências e a Anvisa, então, instaurou, de forma imediata, um comitê de especialistas reunindo os principais especialistas do Brasil no tema, para que a gente pudesse dar a melhor solução para esse tipo de produto.

Os especialistas se reuniram em várias reuniões, e o primeiro encaminhamento, até por uma questão de segurança, foi o encaminhamento da suspensão do uso futuro desses produtos. A gente deixou muito claro, Deputado, que os tratamentos em andamento não deveriam ser prejudicados e que não deveria haver nenhum tipo de interrupção, mas que novos

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

tratamentos deveriam acontecer somente após essa discussão interna, que se deu junto com esse grupo de especialistas – a Anvisa, o Ministério da Saúde e a empresa, obviamente. Ao final dessa discussão dos especialistas, foram levantadas algumas informações – que foram relatadas aqui pela Diretora Daniela – imprescindíveis para a segurança.

Aqui eu quero destacar a fala da Diretora Daniela de que a agência atua sempre sob uma égide de benefício-risco. Então, sempre que houver um risco maior do que um benefício para esse tratamento, a agência vai intervir, porque esta é a função da agência, a de oferecer um tratamento seguro – ainda que um paciente tenha tido um caso mais positivo, uma evolução mais positiva; mas isso, numa escala maior, quando a gente tem uma análise de risco maior, tende a gerar mais problemas do que benefícios. Então, sob essa égide, foi feita essa análise – muito bem detalhada pela Diretora Daniela – e houve esse desfecho da agência em relação à falta dessas informações dadas pelo laboratório Roche para garantir a segurança, por parte da agência, de que esse tratamento poderia, de fato, continuar sendo registrado e continuar sendo utilizado no Brasil.

Deixo muito claro aqui também que a agência não vê preço de produto, não vê cifra – inclusive, quando esses dossiês de registro chegam à agência, a gente nem sequer tem uma precificação desse produto ainda –, então a análise da agência é totalmente focada nos aspectos de segurança, de qualidade e de eficácia, visando sempre a um melhor acesso à população brasileira em relação a esse tipo de produto. Toda a parte de precificação desse produto, custo, compra e incorporação é feita num momento posterior à aprovação da Anvisa – esses processos nem sequer correm na Anvisa –, mas a agência é muito diligente em relação a esse tipo de tratamento, porque a gente sabe a sensibilidade que esse tratamento tem no país, a gente sabe a sensibilidade que é você dar uma opção terapêutica a quem não teve opção terapêutica anterior e, por isso, todos esses registros seguem um caminho mais célere por parte da agência.

Enfim, esse é um breve histórico do registro da agência. Eu pessoalmente quis comparecer a esta audiência, por ter acompanhado esse tema desde o início, com todas as famílias que nos procuravam na Anvisa. A gente ainda está tratando desse tema, a gente tem que deixar muito claro que esse tema é um tema em que não há decisão imutável por parte da agência; as decisões da agência são feitas conforme os dados que a gente tem no momento, conforme os

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

dados que a gente recebe, conforme os dados que a gente consegue avaliar. Mas eu acho que é muito importante destacar, Senadora, que hoje estão aqui dois diretores da casa – o Diretor que conduziu isso mais no começo e a Diretora atual, que está com a responsabilidade da área técnica e de registro –, e isso já demonstra sempre a abertura da agência em relação a esse tema e a sensibilidade que a gente tem em relação a todas as famílias de pacientes que precisam desse tipo de medicação.

No mais me coloco também aqui à disposição para responder a qualquer tipo de pergunta e a qualquer tipo de dúvida. E, reforçando aqui, eu acho que a apresentação que a Diretora Daniela fez foi de forma muito completa, com todos os passos técnicos e com todas as questões que serão respondidas. Além disso, quero registrar também aqui a presença dos técnicos da Anvisa, o João e o Anderson – Gerente de Terapias Avançadas da Anvisa e Gerente-Geral de Produtos Biológicos da Anvisa, de forma correspondente –, que aqui estão também para responder a qualquer tipo de informação mais técnica que vocês tenham, a que eu e a Diretora Daniela não consigamos responder.

(*Manifestação da plateia.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – No final, tá? Anota sua pergunta; no final, a gente...

(*Manifestação da plateia.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O.k., vou abrir uma exceção para você.

Pode fazer.

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – Dr. Daniel, o que nos causa estranheza – e deve estar causando também ao Deputado Max – é que na última audiência pública...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Fala seu nome e inicia.

A SRA. NATALIA JORDÃO – Natalia Jordão, sou mãe do Arthur Sorocaba.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Doutor, o que nos causa estranheza – e deve estar causando também ao Deputado Max – é que na última audiência pública a Anvisa declarou, em alto e bom tom, que a segurança estava comprovada, que a eficácia a longo prazo é que deveria ser comprovada pela Roche. Por que o discurso mudou do dia 16 de junho para agora?

Outra coisa que nos causa estranheza é que foi publicado que o pedido de cancelamento do registro veio por parte da Roche, mas não é isso que a fala indica. E vocês estão demonstrando aqui que quem decidiu isso foram vocês, foi a Anvisa, e não a Roche, como foi publicado.

Eu queria saber como se explica essa mudança de discurso do dia 16 de junho para agora, e vocês estão falando que foram vocês, e não a Roche.

O SR. DANIEL PEREIRA (Para expor.) – Vamos lá. Deixe-me responder de trás para a frente. Primeiro, a Anvisa analisa os dados que a empresa nos manda. Então obviamente a decisão da Anvisa é um reflexo da ausência ou da complementariedade de dados que a empresa nos manda. Então, ainda que a decisão tenha sido nossa, pela suspensão, e não foi só nossa, da Anvisa, repito aqui, ela foi corroborada por todos os especialistas que estavam no comitê de especialistas, tanto os indicados pela Anvisa, quanto do Ministério da Saúde, ela se deu exclusivamente por falta de dados seguros para que a gente pudesse manter o registro no âmbito do acompanhamento do termo de compromisso. Então obviamente a decisão é da agência em relação a solicitar uma medida cautelar, mas a complementariedade dessas informações e quem deve municiar a agência dessas informações é a empresa detentora do registro, como assim foi feito.

Em relação à primeira pergunta, a agência se comunica com a sociedade através das suas análises técnicas e das suas aprovações de registro ou suspensões de registro. Eu não estava presente aqui nessa audiência pública do dia 16, salvo engano, eu não sei quem da agência veio.

A SRA. NATALIA JORDÃO – O Dr. João.

O SR. DANIEL PEREIRA – Mas essas informações da agência, todas essas análises que são feitas são feitas conforme os dados que nós temos no momento. Elas são feitas conforme os

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

dados que a agência pede, a troca de informações entre a agência e a empresa. Então eu não sei se naquele momento especialmente, havia algum tipo de segurança em relação a algum elemento, e isso foi alterado depois, mas o fato é que a agência sempre vai se exteriorizar para a sociedade através das suas resoluções, tanto de registro de medicamento, quanto de suspensão. E todos os relatórios e todas as decisões que a agência toma são muito bem fundamentadas, com todos esses elementos.

Então, hoje o que nós temos, de fato, como a Diretora Daniela disse, de forma muito clara, houve o próprio pedido da empresa de cancelamento desse registro. Então, independentemente do que a gente entende aqui, da evolução da análise, enfim, há um pedido na mesa, da detentora do registro, pela suspensão desse tipo de produto. Então não há outra ação para a agência fazer. A agência não pode simplesmente negar um pedido da própria detentora do registro, que faça.

A SRA. NATALIA JORDÃO – Até porque foi mais de um ano de suspensão, e as decisões sem serem cumpridas, e os meninos perdendo músculo. A gente entende. Em momento algum, a gente duvida da ciência ou da seriedade de vocês, mas a gente também não duvida da consequência que os nossos filhos têm.

E na audiência, ficou dez dias para ser resolvido e falar o que ia acontecer. E a Roche diz e disse ao Ministério Público da minha cidade que eles entregaram o que precisava. Então fica estranho. Só causa estranheza.

Obrigada, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O.k. A gente agora vai manter a ordem, porque os convidados têm hora também, têm horário. No final, a gente abre para as demais mães que queiram falar. Nem que eu fique sozinha aqui, eu abro para vocês falarem.

Ouviremos agora Deborah do Couto Nobre Rassele, mãe do paciente Raul Rassele e representante do Deputado Estadual Napoleão Bernardes. Bem-vinda, Deborah.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. DEBORAH DO COUTO NOBRE RASSELE (Para expor.) – Autoridades presentes, senhoras e senhores, estou aqui pelo meu filho Raul e por todos os meninos que lutam diariamente contra a Duchenne no Brasil. (*Manifestação de emoção.*)

Hoje nos reunimos novamente aqui, implorando pela vida dos nossos filhos. Esta é a quinta audiência no Congresso. Eu estive presente em todas. É a quinta audiência em que continuamos debatendo, e a morosidade do sistema está condenando nossos filhos a uma morte precoce.

Eles estão perdendo a chance real de estabilizar o avanço dessa doença.

Um ano após a suspensão temporária, iniciamos a semana com a Anvisa cancelando o registro do Elevidys, e é impossível eu não trazer isso à minha fala. Optaram por negar aos nossos filhos a chance de parar o avanço dessa doença.

Nós, pais, já nos disponibilizamos inúmeras vezes, em todas as audiências, que nos responsabilizamos a assinar qualquer termo de responsabilidade após o uso do medicamento. Nós apenas queremos que os nossos filhos tenham a chance, tenham a chance de crescer com qualidade de vida. (*Manifestação de emoção.*)

Eu estou falando de crianças que sonham em jogar bola, em andar de bicicleta, em brincar no parquinho com os amigos e não chorar depois de dor, por cansaço.

A perda muscular é irreversível. Nós estamos desde 2024 debatendo e, desde 2024, os nossos filhos perdem, a cada dia, a cada movimento, a força muscular.

Não temos mais tempo. Respeitamos a ciência, respeitamos as autoridades competentes, mas não temos mais tempo. A lentidão dos processos... Por mais que sejam urgentes e que sejam priorizados, estão sendo lentos. A Duchenne não para, ela continua progredindo e roubando a chance do meu Raul e de todos os meninos de viverem.

Em fevereiro de 2025, meu filho Raul tinha cinco anos. Nós tivemos uma decisão pela Ministra Carmen Lúcia, deferindo a ele o direito de receber o Elevidys. O Elevidys estava aprovado – o Elevidys estava aprovado, ele estava na faixa etária aprovada, elegível, com prescrição, com exames, apto a ser medicado. O Ministério da Saúde não cumpriu a decisão.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Meu filho esperou por cinco meses – cinco meses – para que chegasse a vez dele, assim como desses 15 meninos que foram medicados, e entrou a suspensão temporária da Anvisa, entrou a suspensão de todas as decisões judiciais.

Meu filho, Raul, vai completar 7 anos agora em novembro. A bula pré-aprovada é até 7 anos, 11 meses e 29 dias. A julgar pela lentidão que estamos acompanhando, será que o Raul vai ser medicado se retomar a aprovação?

Assim como meu filho Raul, eu falo também do Carlos Eduardo, que teve decisão favorável aos 5 anos de idade, e agora, em outubro, vai completar 8 anos. São três anos que o Carlos Eduardo esperou pela chance de não morrer precocemente, de parar o avanço da Duchenne.

Pela primeira vez, temos um tratamento capaz de estabilizar o avanço da doença. E nunca falamos em cura. Sempre falamos em estabilização, porque um mês que estabilize é um mês de vida.

O Paulo, o Paulinho da Manu, que está aqui presente, o Paulo teve o processo em trânsito em julgado em todas as esferas jurídicas. Ele tinha cinco anos e não recebeu o Elevidys. O Ministério da Saúde não cumpriu.

Em contrapartida, diferentemente do descaso e negligência do Ministro da Saúde, do Ministério da Saúde, para com os nossos filhos com Duchenne, estamos acompanhando manifestações públicas do Sr. Ministro Padilha e de pessoas influentes, políticos sobre a doença ultrarrara do influenciador Lito. E isso também eu não poderia deixar de falar.

É claro, e eu deixo isso claro, que nos solidarizamos com a família, com o Lito, com todos. Mas por que essa mesma urgência não existe quando falamos dos nossos filhos com Duchenne?

Eu trouxe uma apresentação que mostra uma linha de tempo de todas as vezes em que nós estivemos aqui no Plenário debatendo sobre isso. Nossos filhos também têm uma doença grave, progressiva, que não espera. Nós também batemos de porta em porta, e eu Deborah estive, nessas cinco audiências em que eu estive em Brasília, batendo de porta em porta, no Senado, na Câmara dos Deputados.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Procuramos também tratamentos, estudos clínicos e alternativas no Brasil e em qualquer país, qualquer país, em qualquer lugar. Todos nós buscamos, diariamente, incansavelmente, a chance de os nossos filhos terem a possibilidade de crescer com qualidade de vida, de eles terem a chance de tentar mudar o que a gente já conhece.

Retrocedemos no tempo, quando não tínhamos a terapia gênica. Hoje ela existe e está sendo negada aos nossos filhos. Estamos vendo um Brasil do retrocesso. Ontem eu estive, de porta em porta, no Senado, pedindo apoio, convidando Senadores para estarem presentes. E eu ouvi... (*Manifestação de emoção.*)

Eu ouvi, dentro de um gabinete de um Senador: "O que vocês querem que a gente faça? Nos digam. O que vocês querem que a gente faça? Não temos o que fazer. A Anvisa manifestou o cancelamento".

Agora eu lhe pergunto... E aí eu respondi: "O que vamos fazer? Vamos enterrar os nossos filhos"?

E a resposta... A resposta foi "sim". (*Manifestação de emoção.*)

Agora...

Agora eu pergunto... Eu Deborah... Eu sou enfermeira. Eu sou profissional de saúde. Eu sou profissional do SUS. Eu sou mãe do Raul, que não escolheu ter uma doença rara. (*Manifestação de emoção.*)

Se o Senado Federal me diz para enterrar o meu filho, para nós enterrarmos os nossos filhos, quem... Como é que a gente vai aceitar isso do nosso país?

A Constituição Federal garante a essas crianças o direito à vida, garante o direito à saúde. Os nossos filhos não escolheram ter uma doença rara, mas eles existem. (*Manifestação de emoção.*)

Aproximadamente, no Brasil, temos 15 meninos medicados, como já foi falado.

Mil e duzentos meninos no mundo receberam o tratamento por meio de estudos e por via comercial. Eles estão bem, eles estão crescendo, eles estão vivendo, eles estão indo para a escola, eles estão indo brincar. Podem não ter os melhores ganhos no gráfico, mas a doença

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

parou, a doença estabilizou, a doença está dando um respiro para que eles sejam crianças. (*Manifestação de emoção.*)

Nós não podemos aceitar essa realidade. Nossos filhos existem, eles têm direito à vida, à saúde; a nossa Constituição Federal existe. Ela não pode simplesmente ser ignorada. Estamos há mais de dois anos implorando pela chance de os nossos filhos para que eles sejam vistos e respeitados.

Novamente, eu reafirmo, meu filho Raul não pode mais esperar! Nossos meninos não podem mais esperar! Nossos filhos não escolheram ter Duchenne. A vida deles é urgente. (*Manifestação de emoção.*)

Nós precisamos de que o Congresso faça alguma coisa. Se os representantes que elegemos não, quem...? Como é que a gente vai simplesmente cruzar os braços e ver a doença avançar? Ver a doença roubar a vida dessas crianças a cada dia? (*Manifestação de emoção.*)

Pedimos à Anvisa, ao Ministério da Saúde, ao Congresso Nacional e a todas as autoridades competentes: acelerem os processos. A medicina nunca esteve tão avançada como está hoje no cenário das doenças raras. Pela primeira vez temos uma terapia gênica, temos novos medicamentos surgindo e, sim, o Raul vai precisar da terapia gênica, vai precisar do givinostat e daquele medicamento que está lá na fase um, em análise com ratos, porque cada um age por um mecanismo diferente para que controle o avanço de Duchenne.

Devolvam às nossas crianças a chance de a gente poder lutar e mudar o cenário; mudar a história natural dessa doença que todos nós, infelizmente, já conhecemos e que assombra os nossos dias a cada minuto. Eu não posso mais olhar para o meu filho e imaginar que, daqui a poucos anos, ele não vai conseguir se movimentar e não vai nem chegar à vida adulta, porque ele pode morrer com 14, 15 ou 16 anos, como estão morrendo, sem tratamento. O corticoide não para o avanço da doença. (*Manifestação de emoção.*)

Nós precisamos de que os nossos meninos com Duchenne sejam vistos no Brasil, respeitados. Eles têm direitos e temos que ter isso urgentemente; não há mais tempo para esperar. Obrigada. (*Manifestação de emoção.*) (*Palmas.*)

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Deborah...

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES (*Fora do microfone*.) – Posso falar?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Você vai falar.

... Deborah, em nome do Senado Federal, eu peço perdão a você, a todas as mães aqui e a todas as famílias que estão nos assistindo por uma fala infeliz de uma servidora desta Casa. Eu tenho certeza de que a fala dela não reflete o que o Senador ou a Senadora dela pensa. Nós vamos localizar essa servidora, mas eu lhe peço perdão. O Senado Federal não pensa como essa interlocutora.

Nós estamos no meio de um recesso branco, e o Senado Federal está aqui com a TV Senado ao vivo, com todas as redes sociais do Senado ao vivo, dois Senadores e os demais... O meu telefone não para. Os Senadores estão acompanhando, acompanhando de forma *online*. Foi uma fala infeliz.

Este Senado vai acompanhar vocês. Deixe-me dizer uma coisa: tem uma Comissão de Direitos Humanos nesta Casa, presidida por uma Senadora "maluca" – porque é assim que a imprensa me chama –, e que tem um Senador "maluco" agora junto com ela. Nós não vamos soltar a mão de vocês. Possivelmente, talvez, a gente não consiga dar a resposta que vocês querem agora, mas vocês não serão abandonados por esta Casa.

Estou falando com a Senadora Mara aqui também agora; Senadora Mara, Senador Paim, Senador Romário, os Senadores da causa, Senador Flávio Arns, todos. Estou conversando com todos aqui agora. Vocês não ficarão para trás. Não sei a resposta que nós vamos encontrar, talvez não seja a que vocês vieram buscar aqui hoje, mas esta Casa os recebe, os acolhe, os abraça. E nós vamos juntos – Deputado Max, Deputado Lippi e Senador Hermes – tentar, como Legislativo, encontrar uma resposta.

E os dois servidores da Anvisa que estão aqui não têm culpa. Eles estão representando uma instituição e vieram, deram a cara. Isso, para mim, é muita coragem, muita coragem.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Mas, Deborah, em nome do Senado, do Presidente do Senado, do Presidente Davi Alcolumbre: eu peço perdão a você pelo que você ouviu nos corredores desta Casa ontem. Não reflete o sentimento dos homens e mulheres que estão nesta legislatura, neste mandato. Receba o nosso pedido de perdão e o nosso abraço.

Nós vamos fazer agora uma mudança de mesa.

A SRA. DEBORAH DO COUTO NOBRE RASSELE – Só quero finalizar...

Eu finalizo a minha fala: quem vai se responsabilizar pela vida dos meninos que não terão acesso à terapia gênica? É o tempo agora, eles não podem mais esperar. E se fosse seu filho? Coloquem-se no lugar. Que nossos filhos sejam vistos e respeitados.

Eu agradeço mais uma vez o seu apoio. (*Palmas.*)

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

Nós vamos fazer uma mudança na mesa. Eu pediria que os nossos dois representantes da Anvisa fossem para a bancada e viessem para a mesa o Deputado Lippi, o Humberto Scherer – a Deborah também pode ir para a bancada – e a Dra. Viviane. O Deputado Lippi vem para a mesa, o pai do segundo paciente medicado, o Sr. Humberto Scherer, e a Dra. Viviane Guimarães. Nós vamos fazer uma outra mesa e eu vou permanecer com o Deputado Max aqui na mesa.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Senadora Damares, eu queria fazer uma sugestão, na verdade uma solicitação: se nós poderíamos ouvir o laboratório.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Antes deles?

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – É, para que a gente pudesse ter uma ilustração melhor do que levou a essa decisão.

E eu queria, com a devida vênia também, já deixar aqui para o laboratório nos responder – se V. Exa. permitir que eles possam já apresentar as razões –, porque as coisas estão muito nebulosas.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

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

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Ao laboratório que estiver nos ouvindo, se pode nos informar quais são as condições, hoje, de saúde das crianças que receberam a terapia.

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

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Porque são eles que fazem o acompanhamento técnico junto com a empresa.

Então, assim: primeiramente, se V. Exa. defere o pedido de ouvir o laboratório, para que a gente possa ter a ilustração.

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

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – E já quero deixar, já que ele vai fazer as apresentações – o laboratório –, se ele pode nos dizer como estão as crianças que já receberam a terapia.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Deputado, é exatamente essa ordem de fala. Nós falamos que alguns falariam de forma presencial e eu já passaria para quem está *online*, inclusive para a gente não perder a conexão – vai que cai a conexão.

Então, neste exato momento, enquanto a mesa aqui se organiza, vai falar a representante da Roche Farmacêutica, a Dra. Ana Almeida, que também é médica; na sequência, falará o Médico Geneticista Paulo Zattar Ribeiro; e, depois, falará a que não pôde vir de forma presencial, a representante do Ministério da Saúde.

Enquanto a mesa se organiza, eu vou passar a palavra agora só para mais uma mãe – eu não posso interromper a fala dos expositores. Então, como ela está chorando muito ali, pedindo muito: fale aí, aperte o microfone.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Três minutos, enquanto a mesa se organiza, o.k.?

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES (Para expor.) – Bom dia, Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Fale o seu nome.

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES – O meu nome é Roseane, eu sou mãe do Lorenzo, sou de São Paulo, e eu preciso falar. Eu não durmo desde segunda-feira.

Meu filho recebeu a decisão liminar em 2024, antes do registro da Anvisa. O meu filho fez tudo o que precisava fazer: o exame AAV74 – deu tudo certinho –; geraram o *invoice*; entrou o registro no Brasil. Tiraram a oportunidade de ele receber e falaram – deram esperança para ele – : "os mais velhos primeiro, depois, você".

Meu filho está esperando este tempo todo: dois anos e dois meses. O meu filho não tinha nada. O meu filho recebeu com 4 anos e meio, mas não cumpriram liminar, decisão, nada. O Sr. Ministro Gilmar Mendes deferiu a decisão e deram prazo de até 90 dias. A gente ficou esperançoso, eu chegava para o meu filho toda vez e falava: "filho, não é sua vez".

Eu vim de São Paulo, 16 horas num ônibus, sentada, e meu filho olhou para mim e falou: "mamãe, a senhora vai me ajudar – e os meus amigos?". O que eu vou falar para o meu filho? Desde 2024! Foi antes do registro da Anvisa. E o que podem falar para nossas crianças? O que eu vou falar para o meu filho?

Era para isso que eu queria a palavra, só para todo mundo entender que não tem só crianças depois do registro da Anvisa, tem outras crianças – tem o Lorenzo, tem o Arthur – que são de antes do registro, e não cumpriram.

E o que a gente vai poder falar? Meu filho sonha em ser piloto, meu filho desenha, meu filho é louco por carro. O que eu vou falar para o meu filho? Ele fala: "mãe, eu vou crescer?", o meu coração aperta e eu falo: "com certeza você vai crescer, você vai dirigir".

Eu peço aos Senadores, a todos os Senadores que estiverem me ouvindo, que não tirem essa oportunidade de nenhuma de nossas crianças. Nossas crianças querem viver, elas merecem, elas não pediram para ter isso.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Obrigada pela palavra, a todos.

Olhem por todos os nossos meninos, eles precisam de todos, todos que estiverem *online*, todos que ajudem, porque eles merecem a chance de viver, de serem felizes e de serem crianças.

Obrigada pela palavra.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Roseane, obrigada por ter falado. Que bom que eu te dei a palavra.

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES – Muito obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Leve meu abraço para o Lorenzo. Diga para o Lorenzo que tem um time aqui que vai lutar muito por ele.

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES – Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Ouviremos agora o Laboratório Roche.

Por favor, vamos ouvir – como é conexão – com o máximo de silêncio possível. E depois a gente fará perguntas, caso a exposição dela não esclareça todas as nossas dúvidas.

Dra. Ana Almeida, Médica, bem-vinda. Obrigada por ter aceitado o convite para estar conosco. Espero que a senhora esteja entendendo o nível de sensibilidade desta audiência. Está todo mundo chorando aqui.

Então, nós estamos aguardando as respostas do laboratório.

Dra. Ana, a senhora tem dez minutos. Se precisar, pode passar um pouco.

A SRA. ANA ALMEIDA (Para expor. *Por videoconferência*.) – Obrigada, Senadora.

Com certeza, nós nos solidarizamos com o sofrimento dessas famílias, dessas crianças que aguardam há tanto tempo por um tratamento.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Bom, sou Ana Carolina de Almeida, Farmacêutica, Gerente-Executiva de Estratégia Médica em Neurociências e Doenças Raras da Roche Farma Brasil.

Eu agradeço a presença de todos e cumprimento a Mesa e os Senadores que participam desta atividade.

Eu começo esta minha fala trazendo uma mensagem de solidariedade e acolhimento, como eu mencionei logo no início, a todos os pacientes de distrofia muscular de Duchenne e seus familiares, que seguem em busca de alternativas de acesso e tratamento para essa jornada tão desafiadora.

E eu quero reafirmar o compromisso da Roche com a transparência e o diálogo constante com as autoridades brasileiras, incluindo esta Corte e a Anvisa.

Desde a suspensão da comercialização de Elevidys, em julho de 2025, nós trabalhamos diariamente com o intuito de providenciar e compartilhar as informações e os dados solicitados pela Anvisa sobre essa terapia gênica inovadora e modificadora do curso da doença. Nosso foco total, especialmente nos últimos 12 meses, foi construir uma ponte de diálogo técnico com a agência para que os pacientes com DMD no Brasil não ficassem desassistidos.

O pedido de retirada do registro de Elevidys, feito pela Roche, resultou da conclusão de que, até este momento, os dados disponíveis não foram suficientes para atender aos requisitos da Anvisa, conforme trazido nesta audiência pelos representantes da agência. Nesse sentido, essa decisão evita prolongar um processo em que não há convergência técnica.

A Roche permanece totalmente confiante no benefício clínico de Elevidys, e nossa convicção é amparada e reforçada pela experiência com mais de 1,2 mil pacientes tratados no mundo. A decisão de solicitar a retirada de registro de Elevidys aconteceu após seguidas tratativas técnicas em que identificamos que as exigências regulatórias e os dados de longo prazo atingiram um estado de impasse.

Vale relembrar que o Elevidys foi aprovado no Brasil em dezembro de 2024, também como foi trazido já nesta audiência, para pacientes deambuladores de quatro a sete anos de idade. E a comercialização estava suspensa pela Anvisa desde julho de 2025 para avaliações adicionais de segurança, como também já foi mencionado. Desde então, desde a suspensão da

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

comercialização, a Roche manteve um diálogo contínuo com a Anvisa e submeteu todos os dados e documentos disponíveis sempre que solicitados.

A Roche reafirma seu compromisso com a ciência, com a saúde da população e com decisões regulatórias fundamentadas na ciência. E mais importante: nós continuamos dedicados ao programa clínico do Elevidys e à disposição para colaborar, sempre com foco no que é melhor para o paciente, para o paciente brasileiro e para a saúde pública.

Muito obrigada a todos.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Dra. Ana, obrigada pela sua participação. O Deputado Max quer fazer diretamente uma pergunta à senhora, e o Deputado Lippi também.

Então, a gente vai fazer essa dinâmica porque, se a senhora não puder ficar até o final, ao menos essas respostas a gente já tem garantidas.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Dra. Ana, o acompanhamento dos pacientes que receberam o medicamento tem a participação direta do laboratório Roche. Qual é o estado das crianças que receberam o medicamento? Nós tivemos a infelicidade de um falecimento. Agora, as demais que receberam medicamento, e as notícias que nós temos é que estão todas bem. Uma questão ou outra já foi solucionada – de uma rejeição hepática –, isso foi equilibrado. Como é que está hoje a situação das crianças que receberam a terapia?

A SRA. ANA ALMEIDA (Para expor. *Por videoconferência*.) – Obrigada pela pergunta, Deputado.

O nosso conhecimento sobre o estado, o seguimento, como está a evolução das crianças que receberam a terapia gênica no Brasil – infelizmente, com exceção daquele paciente que faleceu devido ao quadro de influenza agudo –, essa informação vem principalmente de publicação, de um acompanhamento feito de forma independente.

Nesse caso, estou mencionando um estudo feito pela Unicamp, que acompanhou esses pacientes de seis meses a um ano. Isso foi apresentado num congresso no início do ano, um congresso da MDA, e a informação que a gente tem é que esses pacientes estão caminhando

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

de forma bem, do ponto de vista funcional, do ponto de vista da evolução motora. Eventos adversos que foram observados foram com intensidade leve a moderada e foram manejados ao longo do tratamento.

Eles têm recebido esse acompanhamento independente, de novo reafirmo, por parte da Roche, e vamos dar esse seguimento, a coleta de desfechos importantes para avaliação da evolução das crianças com a publicação desses dados.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Objetivamente: as crianças estão bem, é isso?

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência*.) – O nosso entendimento, pelo seguimento desses pacientes, pela conversa que nós temos com alguns desses *stakeholders*, desses médicos que trataram as crianças, é de que a maioria delas está bem.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – A senhora tem informação sobre quando vai fechar a informação técnica total de tudo o que a Anvisa precisa? E aí, eu queria só fazer um parêntese: não é que a exigência da Anvisa esteja errada, não é isso. Até porque quem sou eu, que não sou da área científica e não sou médico, para tratar? Mas a informação que a gente tem, para poder clarear um pouco a sua resposta, é que nós só vamos ter, verdadeiramente, a informação técnica fechada sobre a eficácia total do Elevidys em 2031 – em 2031! É por isso que, no início da minha fala, Senadora Damares, eu fiz questão de dizer que é uma questão de opção de vida ou morte, porque nós não teremos fechado... Eu vou chamar de laudo por não conhecer realmente sobre o tema. Só vamos ter um laudo fechado e definitivo sobre a eficácia do Elevidys em 2031! Se nós aguardarmos 2031, nós estamos condenando várias crianças à morte. Então, a pergunta que eu lhe faço, como técnica da área: é só em 2031 que fecha o laudo definitivo, é isso?

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência*.) – Deputado, eu entendo que vocês se referem à divulgação ou à análise final do Estudo 305, que é de seguimento de longo prazo, que foi mencionado aqui pelos representantes da Anvisa, certo?

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Não, exatamente... Nós não vamos conseguir... Veja bem, isso é prático: a criança recebe a terapia, a aplicação; ela vai tendo acompanhamento;

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

a eficácia do medicamento depende do tempo, é o tempo que vai mostrando como é que a criança reage.

O que eu estou querendo, na verdade, dizer aqui é o seguinte. Por mais que a Anvisa tenha o amparo técnico dela para dizer: "Olha, eu só posso dizer que funciona de verdade daqui a x anos", se nós temos que esperar de verdade, nós estamos condenando à morte as crianças, porque muitas delas não poderão receber, daqui a pouco não estarão na idade para receber, e nós não vamos poder ter oportunidade de incluir aquelas que já passaram da idade. O que nós estamos falando aqui, de verdade – pode parecer empírico –, é de esperança.

Então, o laudo definitivo, quando, na verdade, vamos dizer assim: "Olha, já passaram x anos, recebeu a aplicação, está andando bem ou está andando mal", é em 2031 que fecha essa informação. Significa dizer que, se a gente ficar esperando a informação final, é lá em 2031. É disso que eu estou falando, se a senhora consegue responder isso: é em 2031 que nós vamos ter?

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência*.) – Perfeito. Obrigado pelo esclarecimento, Deputado.

Conforme foi inclusive dito pela Dra. Daniela na sua fala, houve essa mudança de protocolo desse estudo de acompanhamento de longo prazo, de maior prazo, e essa mudança envolveu essa análise de eficácia somente em 2031.

Porém, assim que a Roche tomou conhecimento dessa alteração de protocolo, a própria Roche – e eu digo globalmente, a Roche Global – assumiu a responsabilidade de fazer essas análises anualmente, as análises de eficácia dos pacientes do Estudo 305 que tinham as mesmas características, faixa etária dos pacientes que eram incluídos na bula brasileira.

Então, é como uma forma de responder à pergunta do estudo anualmente, ao longo dos anos, e não apenas termos essa resposta pelo estudo conforme a alteração de protocolo em 2030, 2031. Ou seja, a gente consegue avaliar os dados de eficácia ao longo do tempo com essa análise fora do estudo pela equipe Roche, que tem acesso aos dados do paciente.

Adicionalmente, o nosso entendimento nas conversas com a Anvisa é de que seria necessária a geração de dados adicionais. Então, claro, nós vamos refinar isso, pretendemos... Já

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

conversamos sobre refinar essa necessidade, que dados deveriam ser gerados e, nesse ponto, a gente não tem como afirmar exatamente em que momento a gente teria um conjunto de dados que satisfaça, que responda a todas as questões da Anvisa.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Senadora Damares, são só essas perguntas.

Na verdade, o resumo é um só. A Anvisa não tem condição de dizer hoje se tem 100% de eficácia, claro, e nem os pais, nem as mães que estão aqui; eles sabem disso. A questão que eu estou querendo aqui tentar deixar clara é que as crianças que receberam... E eu vou até um pouco mais além – acho que é um pouco ousado até –, vamos esquecer os outros países, vamos tratar do que nós estamos fazendo aqui, das crianças que receberam, esses que estão em acompanhamento e os dois meninos que receberam antes. Eu acho que se a gente focar aqui, nós podemos deixar muito claro que a margem de acerto hoje da terapia é muito grande, se a gente analisar as crianças que receberam a aplicação aqui no Brasil. E quero aqui – não é só resguardar os técnicos da Anvisa, não – dizer que a decisão é, na minha opinião, eminentemente política, neste momento: querer fazer e não querer fazer. (*Palmas.*)

Resguardo, Senadora Damares, os técnicos da Anvisa, que não podem de verdade afirmar que o Elevidys é a solução, eles não podem afirmar que o Elevidys vai curar essas crianças, não é isso. Então, assim, o que nós precisamos hoje é de uma decisão amparada no que está acontecendo com as crianças que receberam a aplicação. O que essas mães e os pais querem aqui é que as outras crianças possam receber a aplicação.

Aliás, eu ouvi uma fala muito importante. Se a gente não tem legislação que autorize, precisamos nós, aqui no Senado e na Câmara, nos juntar para fazer com que o pai possa assumir o risco, porque eles querem assumir o risco, mas ter esperança para os pais sobreviverem. (*Palmas.*)

É disso que nós estamos falando.

Desculpe eu me alongar. Obrigado.

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – Senadora, posso fazer uma pergunta para a Roche?

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Não, não. Agora é o...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Tem interesse no mercado brasileiro?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Só um instantinho...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Quero saber se a Roche tem interesse no mercado brasileiro.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos ouvir... O Deputado Lippi fará as perguntas para o laboratório.

Deputado Lippi, eu não sou médica, não sou da área da ciência, mas tem alguma coisa estranha acontecendo aqui. Se os pais querem o remédio, os pais assumem o risco, os pais estão felizes com o resultado, a Roche diz que tem resultado, o que está acontecendo aqui?

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – A Anvisa diz "cura" quando nunca foi dito "cura".

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Mãe, o problema são atos normativos? Será que o Deputado Max deu aqui a brecha para a gente repensar o excesso de atos normativos?

Mas o senhor tem a palavra agora para fazer a pergunta à Roche, depois o senhor tem sua fala, tá?

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Bom, primeiro, Senadora Damares, quero cumprimentá-la pelo seu importantíssimo trabalho no Senado, sua sensibilidade e seu compromisso com os direitos humanos, que é uma área absolutamente essencial para a gente ter uma sociedade melhor e mais justa.

Quero cumprimentar o nosso Senador Hermes também pela importantíssima iniciativa; o nosso Deputado Federal Max aqui também, que abraçou essa causa porque conheceu a mãe de uma criança e entendeu a dor que é ter um filho com risco de uma doença que é evolutiva. Como todos nós sabemos a evolução da doença, não há necessidade de nós repetirmos isso.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Como médico, observando isso e sendo solidário a essas mais de cem crianças brasileiras que têm esse problema, Senador, eu estou recebendo esse cancelamento com surpresa. Eu não sou um especialista nisso, nem sou um pesquisador, mas nós estamos aqui como Parlamentares encontrando soluções para o Brasil, e essas crianças fazem parte dos brasileiros que precisam de ajuda, dessas famílias que estão aqui. São centenas de famílias. E eu não estou convencido de que as respostas estão claras, primeiro porque participamos, três meses atrás, de uma audiência pública, em que o questionamento que existia naquele momento era do risco da aplicação do medicamento. Foi colocado à época que teve mortes no mundo, mas essas mortes foram esclarecidas. É o que a gente chama de falência hepática, ou seja, tem alguns medicamentos e você tem, às vezes, um problema no fígado muito grave na sequência.

Mas, segundo o levantamento que foi feito, em nenhum dos casos, houve uma correlação direta com a medicação, ou porque um já recebeu – ele já tinha acho que mais de 30 ou de 40 anos de idade e ele já tinha uma série de complicações gravíssimas. Portanto, não dá para atribuir a... Aqui nós tivemos uma criança, mas ela estava tomando cortisona, o que, obviamente, abaixa a resistência, e ela teve uma gripe muito forte. Então, foi complicação da gripe. É essa a informação que nós recebemos.

Portanto, eu fiquei convencido, pois, se tem problemas no fígado ou em outros locais, a grande maioria dos medicamentos tem efeitos colaterais também. Vocês já sabem os efeitos colaterais de uma quimioterapia? Uma parte dos pacientes morre na quimioterapia. Sabe por quê? Porque, se eles não fizerem, eles vão morrer. A alternativa é a quimioterapia. A quimioterapia traz riscos? Traz. Sim, traz. Vocês todos conhecem pessoas que se salvaram pela quimioterapia e algumas que tiveram efeitos colaterais graves e, infelizmente, foram a óbito.

Foi dito aqui a questão da relação risco-benefício. A pergunta que, para mim, já foi esclarecida é que esse medicamento tem riscos, mas os benefícios dele são muito maiores de que os riscos, até porque todas as medicações trazem algum risco. Até os anti-inflamatórios podem trazer risco, existem pessoas que têm reações anafiláticas. Todas as medicações podem trazer efeito. E não me pareceu que... Mil pessoas tomaram isso, pois tivemos quatro óbitos esclarecidos. Portanto, onde é que está o problema grave? Foram três óbitos, mas esclarecidos, e não há uma correlação direta, pelo menos não com o que está sendo apresentado aqui. Então me pareceu que não é uma medicação de altíssimo risco, como foi colocado. Provavelmente a

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

quimioterapia tem mais riscos do que o Elevidys. Então, eu gostaria primeiro de colocar aqui que eu estava convencido de que esse problema da relação risco-benefício estava superado.

A questão, portanto... Nós estamos aguardando esses resultados para esclarecer, para dizer que é um medicamento que, apesar dos riscos, traz benefícios. Por sinal, é a única alternativa que a gente conhece até agora que consegue estabilizar a doença, todos os outros são meio paliativos, você vai dando cortisona, ele vai piorando... Você vai, talvez, diminuir a velocidade da evolução da doença. A cortisona é um anti-inflamatório potentíssimo, também com muitos efeitos colaterais – como qualquer medicamento para doenças importantes tem grandes efeitos colaterais.

Então, para mim... Eu estava convencido de que nós estávamos muito próximos de – já que esse era o questionamento, não era a eficácia, não era o resultado, era o risco – que o risco estava superado. Surpreendentemente, agora, nós tivemos, em vez da liberação, um cancelamento. Isso me deixou muito surpreso, acho que surpreendeu a todos nós que estamos acompanhando isso.

Bom, a pergunta que eu quero fazer, a primeira, obviamente, é para a Roche. Quem está acompanhando os pacientes não é a Anvisa, a Anvisa recebe relatórios, certo? Ela não tem uma equipe de médicos que vai nos hospitais. Não, ela recebe relatórios e quem faz os relatórios é a Roche, que é um dos laboratórios, vamos dizer, mais conhecidos e de credibilidade do mundo. A Roche não iria colocar um medicamento que não tem resultado nenhum para iludir as pessoas, certo? Se ela chegou à conclusão de que há resultados, eu gostaria de perguntar novamente para a representante da Roche: existem resultados? Existem benefícios? Eu acho que essa é a primeira que eu queria falar com a Dra. Ana, porque aí, então, nós vamos entender o que pode estar acontecendo. Se o problema do risco não se justifica, vamos falar, então, do benefício, certo? Se o risco não é tão grande assim, então vamos falar se tem eficácia ou se tem resultados conhecidos.

Dra. Ana, eu gostaria que a senhora repetisse, por favor, essa questão que é a seguinte: dessas mil crianças e adolescentes que receberam a medicação, vocês viram resultados favoráveis? Nas crianças que estão no Brasil, das acho que 10 ou 15 crianças no Brasil, vocês viram resultados? O resultado não é a cura, todos nós sabemos, é a estabilização da doença.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Parece-me que alguns pais disseram até que a criança, em vez de se estabilizar, melhorou, e nós vamos ouvir daqui a pouco, porque eu estou bastante atento aqui para conhecer esses bons resultados. Porque a gente sabe que se não tivesse o Elevidys, a evolução é uma só, todos nós sabemos, certo? É uma evolução, uma doença progressiva, e ela não é progressiva até os 80 anos, ela é muito mais rápida, portanto, o tempo aqui é essencial.

Agora, será que o problema... Vamos ouvir a Dra. Ana. Dra. Ana, por favor, eu gostaria novamente que a senhora falasse dos resultados. Quantos pacientes desses vocês acreditam que tiveram resultados, ou tiveram estabilização, ou alguns até melhoraram? Eu gostaria que a senhora evidenciasse mais a questão do benefício do medicamento, por favor.

A SRA. ANA ALMEIDA (Para expor. *Por videoconferência*.) – Deputado, obrigada por trazer essa questão. Eu não tenho informações sobre os pacientes individualmente, o que nós temos é o que foi publicado, que mostrava a evolução motora desses pacientes e a parte da segurança. Acredito que em breve haverá uma publicação em jornais revisados por pares e que podem trazer mais detalhes sobre esses casos.

Antes de mais nada, eu quero reafirmar que a Roche confia no perfil de benefício-risco, ou seja, no benefício clínico e na segurança de Elevidys, hoje tanto quanto confiávamos quando houve a aprovação regulatória. A Roche vem acompanhando, vem produzindo dados, está e segue comprometida, independentemente do que acontecer daqui em diante, com o desenvolvimento clínico de Elevidys e com a geração de dados adicionais.

Hoje o que nós temos, o que nós observamos é o que traz a proposta desse tratamento. Como já mencionado também nesta audiência, o Elevidys é uma terapia gênica, que fornece para o paciente uma versão reduzida da distrofina, que é o que o paciente não produz ou não funciona bem. Então, a proposta é que esse tratamento devolva uma função muito parecida ou quase tão boa quanto a distrofina.

Então, quando a gente pensa no Elevidys, a gente está falando de fazer com que esses meninos permaneçam mais fortes por mais tempo, e o que a gente tem visto nos resultados clínicos – eu não vou entrar em detalhes de números – é que a jornada, pensando no ponto de vista motor... E aí eu abro um parêntese aqui: os pacientes, de 4 a 7 anos, que são os que a gente trabalhou e de que a gente tem o maior conjunto de dados, pensando em estudos

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

clínicos de Fases I, II e III, mostraram um descolamento da história natural, ou seja, eles estão com uma evolução melhor do que os pacientes ou as crianças na mesma idade teriam sem tratamento. Então, isso tem sido demonstrado. A gente fala de uma estabilização ou de uma desaceleração da doença, o que, para uma doença progressiva, degenerativa, irreversível, é algo bastante importante.

Então, a nossa confiança tem sido reforçada ao longo da evolução do programa clínico.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Eu vou fazer uma pergunta que não é habitual, mas (*Fora do microfone.*) eu me sinto na responsabilidade de fazê-lo.

Se a senhora tivesse um filho com a doença de Duchenne, a senhora recomendaria ou buscaria a medicação para tratá-lo?

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência.*) – Deputado, eu preciso falar agora do ponto de vista pessoal, não estou falando pela Roche.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Perfeito.

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência.*) – Eu, Ana Carolina, não tenho filhos, tenho sobrinhos, que, para mim, valem tanto quanto e tenho muito carinho, muito cuidado com eles, mas, posso afirmar que eu, Ana Carolina, se eu tivesse uma criança na minha família, próxima de mim, os meus sobrinhos, eu trataria com Elevidys, com certeza.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Era essa a minha pergunta. (*Palmas.*)

Diante dessas evidências de que há benefícios, talvez, Senadora Damares... A questão é a seguinte: os protocolos são feitos para as situações do dia a dia. Certo? Nós estamos falando de uma excepcionalidade. Nós estamos falando de uma doença rara, não é algo que está no dia a dia e nem é parecida uma com a outra. Nós estamos falando, portanto, de um protocolo que você precisa ter; para qualquer coisa você precisa ter protocolo. Isso não significa que o protocolo sirva para tudo ou sirva para todas as situações ou para todas as doenças. Existem situações excepcionais.

Vou lembrar uma situação excepcional, que aconteceu aqui na humanidade, há pouco tempo, na época da covid. Nós temos protocolos internacionais que recomendam que as

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

vacinas sejam testadas por dez anos. Na época da covid, era possível a gente aguardar dez anos? Era possível?

(*Manifestação da plateia.*)

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Nós tínhamos outra alternativa?

(*Manifestação da plateia.*)

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – O que aconteceu?

(*Manifestação da plateia.*)

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Foi liberado.

A mesma coisa está acontecendo aqui. A recomendação: "Ah, precisamos de alguns anos para fazer uma análise de médio e longo prazo". Eu acho desejável. Agora, nessa situação, isso vai condenar as crianças que têm uma expectativa; os pais têm expectativa, a ciência tem uma expectativa, a Roche, que é um dos laboratórios mais importantes do mundo, tem uma expectativa de resultados, e nós vamos dizer: "Não, nós vamos aguardar os protocolos"?

A pergunta é: será que o protocolo aqui também não deveria ser revisto nessa situação de excepcionalidade? Será que a saída é o cancelamento? Será que o cancelamento resolve o problema ou agrava o problema?

Então, nós estamos aqui... E ninguém quer inventar aqui. Eu defendo a ciência e vou defender sempre. Não significa que protocolo esteja acima de ciência. Ciência é ciência, protocolo é protocolo. O protocolo pode ser revisto. Nós temos muitas questões que você acompanha ao longo do tempo. Nós temos medicina por evidências. Às vezes você nem sabe por que acontece aquilo, mas existe uma evidência de resultados. Nesse caso, nós estamos vendo evidência de resultados.

Portanto, eu estou convencido de que nós não estamos tomando a decisão adequada e que é preciso, Senadora Damares, ter um olhar específico para essa situação. Ninguém está falando aqui de um laboratório qualquer. Nós estamos falando da Roche; nós estamos falando dos Estados Unidos, estamos falando do Japão, estamos falando da Europa, que está acompanhando. Tudo bem, eles podem ter os protocolos deles.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Eu gostaria de ter mais informação sobre as crianças que já receberam a medicação. Eu sei que às vezes um ou dois anos talvez não seja o tempo ideal para a gente saber as coisas de médio e longo prazo, mas nós não temos outra opção. É como a vacina para a covid. Nós não tínhamos outra opção. "Ah, mas quantos anos vai durar a vacina?" Não sei, mas aquilo era para salvar vidas; e salvar vidas está acima de protocolos.

Portanto, esse é o meu posicionamento. Eu gostaria de esta discussão ser junto com a Anvisa e de eventualmente fazer uma reanálise dos protocolos que podem servir e devem servir para aquilo que a gente conhece. Pode ser que isso aqui seja uma situação nova e que haja uma necessidade de uma revisão do protocolo.

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

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Volto a dizer: precisamos de um pouco mais de... Desculpe até o tempo aqui, mas talvez essa seja uma questão crucial. Eu não gosto de brigar por brigar. A gente precisa ter argumentos, sabe?

Eu não estou convencido, por sinal eu estou muito surpreso com essa questão de cancelar o Elevidys no Brasil. Eu acredito que isso está atendendo a um protocolo, mas não está atendendo à oportunidade de um laboratório, que está em outros países do mundo, que tem responsabilidade, que talvez não tenha conseguido atender ao protocolo da Anvisa, e por isso ele fale: "Não, eu não consigo atender isso que vocês estão pedindo". Será que nós não estamos pedindo coisa demais, considerando a urgência da medicação? Não dá para esperar três ou quatro anos para a frente, porque isso vai tornar o problema dessas crianças absolutamente irreversível.

Nesse sentido, clamo que nós precisamos, sim; e este é o local para discussão. Os técnicos têm uma visão técnica. O Congresso Nacional tem uma visão de política pública, de política social, de resultado para a sociedade, e é por isso que eu também lamento que um servidor desta Casa tenha sido muito infeliz, que não representa o sentimento dos Parlamentares, que estão comprometidos com a vida, estão comprometidos, sim, com essas famílias. Nós estamos aqui certamente para encontrar caminhos.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Nós fechamos as portas. Eu não posso aceitar isso. Eu acho que a gente tem muitas evidências de que essa medicação tem, sim, resultados, e eu gostaria, inclusive, de ouvir os pais das crianças que já receberam medicamento, porque acho que isso é essencial para que a gente possa consolidar a segurança de que, além de não ter tantos riscos assim a medicação... Tudo bem que tenha riscos. Se eu tivesse meu filho, eu preferiria assumir esse risco, por eu saber... Se não tomar, eu sei o que vai acontecer. Eu prefiro ter chance, certo? E eu acredito, inclusive, no que foi dito aqui e eu concordo: será que os pais estão dispostos, eventualmente, a ter um protocolo em que eles autorizem isso?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Eu te dou depois cinco minutos.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Então, era isso...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Deputado Lippi.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Desculpem o tempo, mas contem conosco aqui, para que a gente possa, junto com as Senadoras, os nossos Deputados, encaminhar essa questão para uma saída, uma alternativa que possa dar oportunidade para a vida desses meninos.

Obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Está o.k.

Senador Hermes, o senhor se sente contemplado nas perguntas para o laboratório por eles, ou o senhor quer fazer alguma pergunta para o laboratório?

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, NOVO, AVANTE) - SC) – A pergunta que eu gostaria de fazer, o Deputado Lippi já fez: se a Doutora tivesse um filho, se ela recomendaria o uso do Elevidys, e já foi respondido por ela que sim. Eu acho que esse é o caminho.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Só completando: aqui no Congresso, para tudo, existe... Eu estou vendo, Senadora Damares, que é tudo muito complicado. Pelo curto espaço de tempo que eu estou aí, vejo que é muito complicado, a coisa não anda, em tudo, só que tem determinadas coisas materiais que podem ser aguardadas. "Ah, embarriga daqui, puxa para lá", o tempo, está tudo certo, vai, só que essa questão não tem tempo.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Exato. Prioridade.

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, NOVO, AVANTE) - SC) – Nós não temos tempo para: "Ah, não, vamos embarrigar isso, bota isso no canto...". Não! Eu acho que temos que ter uma solução para esse caso.

Tudo já foi colocado com relação ao risco, mas os pais estão... Eles correm um risco, como tudo tem um risco.

Eu acho que era só basicamente isso, para complementar, Senadora.

Muito obrigado. (*Palmas.*)

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

Eu tenho uma pergunta para fazer para a Dra. Ana.

Por que eu estou com pressa? Eu estou com medo de as conexões caírem.

Dra. Ana, preste bem atenção na minha pergunta, porque a Dra. Dani também já pediu para fazer uma interação com a senhora, preste bem atenção na minha pergunta. E eu vou ser voz, inclusive, da mãe que está aqui na frente, de um outro pai que está aqui, que me pediu a mesma coisa.

O Brasil está em fase econômica muito ruim – e aqui não estou falando porque sou uma Senadora de oposição. Nós estamos com uma quebra econômica no Brasil: semana passada foi Casas Bahia, ontem eu soube que o Habib's também quebrou. Está todo mundo quebrando. A situação econômica do Brasil é gravíssima.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A pergunta para a Roche é bem direta, para a farmacêutica: vocês têm interesse no mercado brasileiro? Essa decisão de vocês tem alguma coisa a ver com questão financeira? O laboratório, a empresa ainda tem interesse neste mercado, em continuar no mercado brasileiro?

Essa pergunta, para mim, pode nos levar, inclusive, à criação de um grupo de trabalho aqui, Deputado. Eu estou querendo finalizar... Grupo de trabalho às vezes se cria para embarrigar. Não, aqui é diferente: a gente cria um grupo de trabalho com os Deputados, o Senador, as famílias, porque as famílias nem sempre são ouvidas pela Anvisa, mas aqui vocês são obrigados a serem ouvidos por nós.

Então, quem sabe a gente cria um grupo de trabalho para a gente também contribuir com elementos para a Anvisa? Mas não adianta a Anvisa liberar se a Roche disser que não tem interesse no mercado brasileiro.

Você pode me responder isso, Dra. Ana?

A SRA. ANA ALMEIDA (Para expor. *Por videoconferência*.) – Sim, claro, Senadora.

Sem sombra de dúvida, não é nem uma questão do mercado brasileiro, mas nós temos um compromisso que segue firme com as famílias e com os pacientes brasileiros. Nós entendemos que essa decisão de solicitar o cancelamento do registro seria a melhor coisa para fazer neste momento – num momento de impasse técnico – para que a gente consiga evoluir, focar na geração de evidências e trazer as respostas de que a Anvisa precisa.

Então, como eu disse, independentemente de qualquer coisa, de como a gente evolua, o nosso compromisso com os brasileiros, com as famílias brasileiras de distrofia muscular de Duchenne, continua. Nós continuaremos trabalhando para que, num futuro próximo, a gente tenha respostas, tenha dados científicos técnicos que tenham o potencial de responder às perguntas da Anvisa e a gente possa, inclusive, pensando no momento atual em que estamos, discutir uma nova submissão. Nós não desistimos, de forma alguma, do Brasil, dos pacientes brasileiros.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Doutora. Era tudo que eu queria ouvir.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Dra. Daniela, quer interagir agora?

A Anvisa vai interagir com a senhora, Dra. Ana Maria.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – Senadora, na verdade, não é uma pergunta para a representante da empresa, mas, como o Gerente da área técnica está aqui conosco, ele se colocou à disposição para tratar dos dados de eficácia – que o Deputado mencionou também – das crianças que já receberam a medicação, caso seja de interesse.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O.k., o.k. Obrigada.

Então vieram três representantes da Anvisa?

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – Na verdade, estamos em quatro.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Quatro.

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – O Gerente e o Gerente-Geral da área estão aqui também.

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

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA – E à disposição, inclusive, para integrar o grupo que a senhora mencionou.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos criar um grupo de trabalho e vamos querer os quatro no grupo de trabalho com a gente.

Bom, vamos ouvir agora quem realmente está com a mão na massa, quem pega, quem cuida. Nós vamos ouvir agora o Dr. Paulo Zattar Ribeiro, Médico Geneticista, e depois dele vamos ouvir o Ministério da Saúde, aí a gente volta para a mesa.

Dr. Paulo, muito obrigada por estar conosco.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

O SR. PAULO ZATTAR RIBEIRO (Para expor. *Por videoconferência*.) – Olá, Senadora Damares, muito obrigado pela introdução e pela possibilidade de conversar com vocês hoje.

Eu venho, então, a convite, para falar das evidências científicas que nós possuímos hoje em relação à medicação. Eu iniciei, portanto, a minha apresentação de eslaides neste momento e eu gostaria de esclarecer que a minha participação nesta audiência é de natureza médico-científica.

Eu fui o coordenador e o pesquisador principal de uma metanálise relacionada a essa medicação, que foi feita por fins independentes, sem financiamento direcionado e sem conflitos de interesse com a indústria farmacêutica; então, eu declaro que, no nosso estudo científico e na minha atuação clínica, eu não possuo nem nunca possuí nenhum vínculo financeiro com a indústria farmacêutica. O meu único conflito de interesse nesta apresentação é que eu sou um médico geneticista, cuido de pessoas com condições raras todos os dias, e eu mesmo sou portador de uma condição rara – da qual eu demorei sete anos para ter o diagnóstico –, o que me motivou a seguir essa especialidade médica. Portanto, a minha manifestação aqui é de caráter, natureza médico-científica, em prol de apresentar o que a ciência tem disponível para nos afirmar em relação à medicação.

Então, antes de falar de tratamento, já tivemos uma introdução aqui, mas é importante entender a doença em si. Eu costumo dizer para os meus pacientes que a nossa genética é como se fosse um grande livro de receitas; se eu quero fazer um bolo de banana e eu troco por morango, vira um bolo de morango. Na doença de Duchenne, nós temos justamente essa troca de ingrediente, uma mutação genética no gene DMD. Essa mutação gera a ausência de um ingrediente, que eu vou chamar aqui de distrofina, que vai fazer com que esses meninos tenham lesão muscular repetitiva, ciclos contínuos de destruição tecidual – o músculo, portanto, vai sendo substituído por gordura, fibrose, levando a uma função perdida de forma definitiva.

Na infância, essas nossas crianças começam com fraqueza proximal progressiva, quedas frequentes – entre 9 e 12 anos, a gente vai perdendo a marcha – e, na adolescência e no adulto jovem, nós vamos ter um comprometimento respiratório e uma cardiomiopatia, levando à insuficiência cardíaca em mais de 90% dos casos; crianças essas que têm uma expectativa de vida em torno de 30 a, no máximo, 40 anos. A Duchenne, então, é uma condição genética em

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

movimento; a função perdida é difícil de recuperar, e isso é muito importante para nós entendermos a importância e a urgência de desenvolvermos terapias específicas para essa condição.

Tendo em vista a situação atual sobre evidência científica e como não estamos só entre médicos, eu acho muito importante explicar rapidamente como funcionam as evidências científicas em medicina. Nós começamos, portanto, com estudos de Fase I e Fase II – vou conversar um pouco sobre o que eles significam –, depois Fase III. E o topo da pirâmide de evidência científica que nós temos são as metanálises, que são o maior nível de evidência científica disponível e são o que o nosso grupo de pesquisa publicou este ano sobre essa medicação específica. A Fase I, como nós estamos vendo na mídia atualmente, devido à sensibilização de uma pessoa pública com uma condição neurodegenerativa, o Lito, é simplesmente para avaliar a segurança inicial – então, a Fase I é para definir dose, avaliar segurança. A Fase II é uma eficácia preliminar, uma avaliação funcional e uma segurança ampliada. A Fase III é para a gente entender se essa medicação funciona melhor que o comparador e os desfechos pré-definidos. E o estudo de extensão, que é o que nós estamos conversando aqui, é como essa medicação se comporta a longo prazo – então, é o segmento de longa duração, informação complementar não substitutiva.

Por que para doenças raras, normalmente, a pesquisa científica funciona um pouco diferente? Porque como o próprio nome já diz, são doenças raras, nós vamos ter um número de pacientes muito menor, e o grupo controle normalmente é mais difícil de ser feito. E os estudos de extensão, numa doença grave, crônica, neurodegenerativa, que leva a óbito precoce, normalmente podem prejudicar que outras pessoas recebam a medicação.

Mas o que significa terapia gênica? Terapia gênica é um tipo de terapia que nós temos dentro da medicina hoje, a qual, no caso do Elevidys é uma administração única, uma exposição não reversível e uma tecnologia que, sim, é relativamente nova. Nós temos estudos, portanto, Fases I, II e III, segmentos de até 7,5 anos para avaliação de segurança e dados funcionais de até cinco anos.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

No entanto, o estudo científico não termina na infusão; ele continua por anos, porque a partir do momento em que eu faço a medicação, eu preciso monitorar esse paciente ao longo de toda a vida.

Paulo, por que é que essa terapia gênica não é a cura da doença de Duchenne? Porque o gene DMD, que é esse ingrediente do nosso livro de receitas, é muito grande, então não é possível colocar o gene inteiro dentro de um vetor viral. Por isso, foi desenvolvida uma solução de engenharia molecular chamada de microdistrofina. Então essa microdistrofina vai fazer com que, a partir do momento em que é administrado o vetor viral, ele entre nas células, e essas células passem a expressar a microdistrofina. Isso aumenta a estabilidade. Então esse tipo de terapia gênica não é a cura, e sim, a estabilização de uma condição genética progressiva e grave. Quanto antes eu faço essa estabilização, entre quatro e sete anos, maior a possibilidade de um benefício favorável.

Qual é, portanto, a trajetória da evidência científica? E aqui eu venho simplesmente como médico expositor, que trabalha com essa condição e fez um dos estudos não financiados relacionados à evidência. Temos a Fase I e a Fase IIa. A Fase I e a Fase IIa são utilizadas somente para segurança inicial e sinal biológico. Nos estudos 102 e 103, a gente teve essa expansão da coorte, com eficácia preliminar e segurança ampliada. O Fase III, o Embark, foi o maior, randomizado, duplo cego. Depois tivemos o estudo de extensão, por dois a três anos, e o estudo de segurança agregada, com mais de 800 pacientes, em prol de trazer esses dados.

Em relação ao Embark, que é o estudo Fase III, o desfecho primário escolhido foi um desfecho que chama NSAA, que é esse desfecho que não atingiu relevância estatística. No entanto, as outras terapias gênicas que foram surgindo, para outras condições neuromusculares, não trouxeram mais esse desfecho como *endpoint* primário. Os desfechos que a gente usa são desfechos mais funcionais, relacionados à clínica, e desfechos de expressão muscular, que eu vou trazer para vocês.

Então, o Embak não terminou no desfecho primário, mas o desfecho secundário mostrou uma maior expressão de distrofina, uma melhora no tempo para levantar, uma melhora nas questões das ressonâncias musculares relacionadas.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Então um estudo isolado não é toda a evidência. Então como é que a gente agrega todos os estudos para gerar uma evidência mais sustentável? A gente publicou, portanto, este ano, muito recentemente, acredito que a Anvisa ainda não teve acesso a essa nossa publicação, justamente por ser uma publicação independente da indústria farmacêutica, mas nós publicamos, na Neurology Genetics, há dois meses, a nossa metanálise, que englobou 302 pacientes com doença de Duchenne, de quatro estudos diferentes, incluindo dois estudos randomizados e controlados. E nós tivemos, sim, um resultado de análise que mostrou mais de 2,48 pontos na escala de NSAA, aumento de 28,39% na expressão de distrofina, melhora de todos os desfechos secundários relacionados à sensibilidade dos pacientes que recebem a medicação; então, se o paciente vai começar a levantar de forma mais adequada, como é a relação da caminhada desse paciente.

Então, a metanálise é o topo da pirâmide de evidência, ela aumenta a precisão, integra o estudo, verifica a consistência e explora também a heterogeneidade e as limitações dos estudos. A metanálise não elimina vieses dos estudos originais e ela não resolve sozinha uma exposição do sentido científico. Então, nós olhamos para a idade dos pacientes, motivação, variabilidade clínica, estágio da doença.

Outra questão muito importante é em relação ao músculo dessas crianças. Então, sem tratamento, o músculo esquelético de crianças com Duchenne é substituído por gordura e fibrose. Os ensaios clínicos, comparando com o placebo, mostraram que nós tivemos uma melhora e uma preservação dessa substituição muito importante, mostrando uma menor progressão de fração gordurosa versus o placebo.

O que acontece depois de um ano, portanto? Nós temos o estudo de extensão de dois anos, de três anos e o Estudo 101 de cinco anos. Um número mais limitado de pacientes mostrou também que todos permaneciam deambulantes com diferença do NSAA de 7,5 para 8,2, além do acompanhamento em 7,5 anos com análise de segurança de mais de 800 pacientes.

Não é adequado também ignorar os riscos, como, por exemplo, foram identificadas alterações cardiológicas no fígado e relacionadas a essa terapia. Então, a FDA comunicou, como já foi dito, casos fatais de crianças que foram tratadas após (*Falha no áudio.*) ... 15 anos e por

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

isso foi restringida a terapia entre quatro e sete anos. Então, é muito importante trazer aqui que, quando a gente fala de mortalidade, a causalidade importa. Então, nem todo evento que ocorre após o tratamento foi causado pelo tratamento. Essa separação científica é muito importante e aqui já foi comentado sobre isso. Então, é importante não confundir "aconteceu depois" de "foi causado por", já foi explicado que o evento brasileiro não foi causado pela terapia em si e, sim, pela infecção viral que o paciente teve.

Então, para comparar os riscos, a gente avalia número de eventos por número de pacientes expostos. A pergunta regulatória é se a relação benefício-risco está eficientemente demonstrada por uma população definida. Risco zero não existe, mas será que essa relação está definida? E os estudos de segurança mostram que sim. Então, o que um centro preparado no SUS precisa ter para conseguir acompanhar esses pacientes? Seleção rigorosa de quais pacientes vão usar a medicação, centro especializado certificado, protocolo imunossupressor, exames frequentes e intervenção precoce e protocolar.

Um argumento em relação à medicação aprovada recentemente para crianças com Duchenne é que o Givinostat não substitui o Elevidys e essas terapias podem coexistir. Então, fazendo uma analogia de uma casa, com o Elevidys é como se eu deixasse a função desta casa mais forte, ou fortalecesse as vigas, ou fortalecesse a estrutura desta casa. O Givinostat vai impedir que esta casa sofra com o tempo manifestações do temporal e da chuva. Então, os tratamentos têm mecanismos distintos, ocupam lugares distintos na mesma doença. A existência de um não torna o outro desnecessário. Uma é terapia gênica; a outra é uma terapia para modular processos patológicos secundários a longo prazo.

Segurança é indispensável, mas a doença também não espera. Qual risco pode ser monitorado e mitigado? A pergunta deixa de se apenas "por que liberar?" e passa a ser "qual o custo de não tratar?".

Então, eu não venho ao Senado para pedir que sejam ignorados os sinais de segurança. Eu venho, como médico clínico, trazendo informações de evidências científicas para uma doença que eu acompanho de forma progressiva. Uma suspensão sem horizontes também produz consequências. Segurança é indispensável, mas, em Duchenne, o tempo também é músculo.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Aproveito o momento para falar que, no Brasil, nós somos mais de 7 mil pessoas com doenças raras, 4% da população brasileira. Cada vez mais, precisamos de momentos como este para falarmos da importância do tratamento em condições raras, da importância da pesquisa científica brasileira e da importância de olharmos para cada paciente não como um número, mas como um paciente único que precisa da nossa atenção, da nossa compaixão e da viabilidade de novos estudos e de novas possibilidades.

Muito obrigado pela oportunidade.

Eu encerro, neste momento, a minha apresentação. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Parabéns, Dr. Paulo, especialmente por ter sido um trabalho de forma independente feito por um paciente raro. A gente viu muito compromisso.

E aí, Anvisa, não precisa de mais nada, não, basta o estudo dele.

Eu quero registrar a presença... Dra. Daniela, a senhora errou, vocês não são quatro, são cinco. Estão presentes com a gente, também, o João Batista da Silva Junior, especialista da Agência Nacional de Vigilância Sanitária; o Anderson, Gerente-Geral da Anvisa, o Carlos Augusto Moura, Assessor da Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Eles fecharam a Anvisa hoje, veio todo mundo para cá.

Estão com a gente, também: Sergio Reis de Andrade, Vereador do Município de Rio Manso; Victor Junhior de Sousa, Vereador do Município de Rio Manso; Wemerson Roudinele Aparecido, também Vereador de Rio Manso; Sival Laurindo, também Vereador de Rio Manso – largaram a cidade sozinha; Willian Reis, esse aqui é Vereador de São Tiago; João Rousan, Presidente da Associação Liga do Bem, responsável pelo paciente Davi Andrade, de São Tiago, Minas Gerais; a Lauda, nossa amiga da Febrararas, o tempo inteiro aqui participando do debate; o Guilherme de Araújo, Coordenador da Amavi Raras. Eu ainda vou aprender a falar, Lauda.

Nós agora vamos ouvir o Ministério da Saúde.

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA (*Fora do microfone.*) – Gostaria só de registrar a minha presença também.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Registre.

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA (*Fora do microfone*.) – Sou Mariana, também Vereadora do Município de São Tiago, Minas Gerais.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Mais uma Vereadora. Gente, mais uma Vereadora.

Depois a gente registra os demais.

É uma intervenção?

Concedo por um minuto, por favor.

A SRA. LUZIA DAS GRAÇAS DE SOUSA CUNHA – Eu sou Vereadora de Rio Manso também, inclusive...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Como é o seu nome?

A SRA. LUZIA DAS GRAÇAS DE SOUSA CUNHA – Luzia Sousa.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Luzia.

Sim...

A SRA. LUZIA DAS GRAÇAS DE SOUSA CUNHA – A gente está muito preocupado porque está se discutindo a questão das crianças de até 7 anos, mas nós temos aqui, no caso, o do Tiago, filho da Fabrícia, que tem 8 anos de idade. Nós estamos com esperança de que essa medicação chegue para essas crianças, porque essas crianças que já estão com 7, 8 anos, já estão esperando a medicação, já estão com o processo da Justiça.

Então, quando for feita a Comissão, se vocês trabalharem com esta Comissão, que possam entrar nessa discussão também. Inclusive, não se justifica as crianças... Pronto, se fizeram 8 anos, então elas podem morrer porque elas não vão ter a chance? Então, que se coloque isso aí na discussão, porque nós não podemos deixar que isso aconteça.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Vereadora. A gente vai rever todos os protocolos.

Um menino trouxe todos os Vereadores para cá. Que coisa linda! Que compromisso dessa Câmara de Vereadores! Vou pôr essa Câmara no grupo de trabalho, tá?

A SRA. LUZIA DAS GRAÇAS DE SOUSA CUNHA (*Fora do microfone*.) – Ótimo!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Depois a gente conversa, Vereadora. Obrigada.

Vamos ouvir agora o Ministério da Saúde, com a Dra. Luciene Fontes Bonan. Ela é Diretora do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde.

Bem-vinda, Doutora.

A SRA. LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN (Para expor. *Por videoconferência*.) – Obrigada, Senadora Damares.

Vocês conseguem me escutar bem?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Estamos ouvindo.

A SRA. LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN (*Por videoconferência*.) – Sim. Muito obrigada.

Bom, agradeço o convite para, mais uma vez, retornar aqui à minha fala nesta Casa.

Primeiramente, na pessoa da Senadora, cumprimento todos os demais que estão aí presentes na audiência. Principalmente, especialmente, deixo minha fala de solidariedade às famílias, a todas essas crianças que aguardam, com esperança, um tratamento, uma assistência adequada para essa condição com a qual elas convivem.

Queria também registrar minha fala de respeito à Anvisa, a esse órgão técnico que o Brasil teme que tem a finalidade institucional também de promover a proteção da saúde da população brasileira.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Com isso, eu queria abrir aqui a minha fala. Primeiramente, pelo Ministério da Saúde, quanto a gente vem, em solidariedade, trabalhando em conjunto com essas famílias que têm essa doença, assim como as com outras doenças raras, que são tão desafiadoras dentro de uma assistência no SUS, uma assistência no Brasil. E não é um desafio só nacional, mas um desafio global.

Então, como foi falado por diversas famílias, também pela Senadora, é uma questão de tempo, de quanto tempo, porque essa inovação precisa chegar e precisa chegar de forma adequada e junto a quem precisa. É disso que a gente está falando.

Desde o início da chegada desse medicamento ao Brasil, a Anvisa vem tratando com bastante prioridade – o Ministério da Saúde sabe disso, porque também vem acompanhando, juntamente com a Anvisa – sobre a questão do Elevidys, a questão de outras moléculas, outros medicamentos que também já apareceram para a Duchenne, os que estão por vir. Então, o Ministério da Saúde faz esse mapeamento de tudo que está no horizonte tecnológico.

Para a senhora saber, Senadora Damares, hoje tem mais de 15 moléculas, de diferentes indústrias, que são pesquisadas para a distrofia muscular de Duchenne. Para se ver quanto é desafiadora essa doença. Já tivemos outro registro no país, que é um desafio também, porque ela acaba, por fim, depois, não provando eficácia. Agora, recentemente, a Anvisa aprovou mais uma molécula para... Há lá o Givinostat, do qual foi falado na apresentação do Dr. Paulo muito bem.

Então, é quanto a gente precisa, de fato, de inovação, de fazer chegar algum medicamento que estabilize essa doença e que traga eventualmente a cura dessas crianças e quanto a gente, hoje, vem acompanhando essa evolução da inovação e acompanhando a evolução das evidências. O que é falar de evidência? Quando a Anvisa coloca que é uma questão de benefício-risco... Aqui já tivemos algumas falas também de que a gente sabe que o risco é inerente às drogas, inerente aos tratamentos, mas é muito importante que a gente tenha o benefício assegurado.

Então, quando a Anvisa trabalha com o benefício, ela está olhando os dados. Todos esses dados que o Dr. Paulo mostrou foram avaliados pela Anvisa. Uma revisão sistemática, uma metanálise reúne esses dados que já estão publicados. Então, a gente tem aqui a avaliação, a

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Anvisa olhando seus dados técnicos e a própria Roche colocando que esse benefício não foi ainda, de fato, não se conseguiu comprovar ou provar junto à Anvisa a questão dos benefícios.

É muito difícil a gente ter dentro de um órgão técnico, eu vou falar aqui Anvisa e Ministério da Saúde, com avaliações individuais. Então, o que a gente tem hoje de experiência no Brasil, infelizmente, uma experiência ainda não ordenada, porque foi via judicial, são experiências individuais das crianças. O quanto isso é desafiador por parte de órgãos técnicos, de se juntar esse tipo de experiência, e por quê? Porque são decisões individuais que levam a experiências individuais, em que tivemos aí alguns desfechos que são relatados pelas famílias como desfechos de sucesso, alguns outros que a gente sabe que foram desfechos de não sucesso. Mas a gente precisa ter uma sistematização desses dados.

E isso a Roche não acompanha. De fato, como a Roche coloca, ela não acompanha todos esses pacientes. Esse foi até um pedido que o Ministério da Saúde fez à Roche inicialmente para que pelo menos esses pacientes pudessem ser colocados em um estudo clínico observacional, para que a gente pudesse ter esses dados sistematizados mesmo, do uso dessa terapia gênica na população brasileira. Por quê? Porque a gente se preocupa com a população. Então, se preocupa com o efeito desse medicamento junto a essas crianças.

Já aqui, a gente não tem, inclusive, uma experiência consolidada de uso internacional. Por isso que é tão importante, já que a gente já tem um uso aqui no Brasil, que esse uso seja acompanhado. A gente não tem hoje, de fato, esses dados para realmente afirmar como está; somente relatos individuais.

Então, acho que é só para mostrar um pouco, também, que essa questão não é uma decisão, nunca foi uma decisão política. Isso é uma decisão técnica, uma decisão técnica assessorada pelos órgãos técnicos que hoje o Brasil tem. Então, por lei, a gente tem institucionalizada a Anvisa. A gente tem também, depois, a avaliação no Ministério da Saúde. Eu represento a Conitec, tem uma comissão que avalia a incorporação de tecnologias e já avaliamos esse medicamento. Assim que ele teve seu primeiro registro, nós avaliamos também se era possível disponibilizá-lo, uma recomendação de disponibilizá-lo no SUS como incorporação. Então, a gente tem aí questões técnicas que permeiam toda essa discussão do Elevidys junto à Anvisa e junto ao Ministério da Saúde.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

E aí eu queria colocar aqui a nossa perspectiva como ministério. Nós estamos aqui disponíveis e abertos, acompanhando essa evolução das evidências, acompanhando aí para que a gente possa avaliar também, de forma célere, outros medicamentos. Estamos aqui abertos.

Então, também, Senadora Damares, estamos disponíveis a compor o grupo de trabalho que a senhora está se propondo a fazer. A gente também acompanha aí essa disponibilidade e sugestão da senhora.

Acho que eu fico por aqui e agradeço a participação mais uma vez.

Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada Dra. Luciene.

No final, nossos expositores dirigirão perguntas à senhora. Se a senhora puder ficar até o final...

Mas a Dra. Ana, da farmacêutica, ainda está *online*? (*Pausa.*)

Dra. Ana, só uma pergunta, porque aí acho que pode nortear a palavra da advogada – só temos mais dois expositores.

Dra. Ana, havia um termo de compromisso entre a farmacêutica e a Anvisa. Vocês tinham um termo de compromisso e estavam cumprindo esse termo. No meio do caminho houve mudanças de protocolo da Anvisa? Se houve mudança de protocolo da Anvisa, há uma quebra de termo de compromisso. Aconteceu isso?

A SRA. ANA ALMEIDA (Para expor. *Por videoconferência*.) – Vocês me ouvem, não é?

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

Está ouvindo?

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência*.) – Sim.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Houve uma alteração de protocolo desse estudo de seguimento de maior prazo, que foi feito pela empresa que produz o medicamento e conduz essa parte do estudo. Alterou-se esse prazo para envio dos dados de eficácia: ao invés de anualmente, seria em cinco anos.

Assim que tomamos conhecimento dessa alteração, tomamos providências, claro, com relação ao fluxo de comunicação, mas principalmente para responder à pergunta do estudo. Isso não foi mandado na primeira resposta, mas em poucos dias a Roche se mobilizou e conseguiu enviar análises da população que seria analisada no 305, nesse estudo de maior prazo, e enviamos o dado de eficácia, inclusive fazendo uma comparação usando um comparador externo.

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

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência*.) – Então, houve sim uma alteração de protocolo, que é algo que é relativamente comum em estudos clínicos, ao longo do tempo. Se você vir maneiras de o dado ficar mais robusto, algumas questões que possam ser alteradas, isso pode acontecer.

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

Nós ouviremos agora Humberto Scherer, pai do segundo paciente medicado com Elevidys.

Sr. Humberto, dez minutos. Depois, a gente vai ouvir, por último, a Dra. Viviane. Aí eu vou voltar a palavra para os oradores para fazerem as suas conclusões finais.

Humberto.

O SR. HUMBERTO SCHERER (Para expor.) – Bom dia, bom dia a todos. Quero agradecer, Senadora, o que vocês estão fazendo aqui para os demais pais.

Eu, na condição de pai do Guilherme, que já recebeu a medicação, poderia simplesmente virar as costas para os demais, mas não consigo. Eu preparei todo um discurso para vir para cá, na cabeça, porque eu não sou de fazer muito eslaide nem nada.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Eu escuto tanta mentira, que eu tenho que acabar tudo o que eu fiz para dizer assim: é mentira, não tem exame alterado nenhum. A gente tem um grupo com uns 15 meninos em que foram aplicados e nenhum reclamou de nada. Não existe alteração em nada, o Guilherme não teve nada. Pelo contrário, 85% do exame de sangue dele está melhor; o CPK dele, de 30 mil, caiu para 5. Isso sem ninguém da Anvisa me ligar, sem ninguém da Roche me ligar. Não tem ninguém acompanhando ninguém.

Então, a gente vem para cá... Quando os pais me chamaram... Da outra vez, o Deputado Max Lemos me pediu e eu fiz. Quase todos os pais que estão aqui estão tirando dinheiro do bolso. É caro vir a Brasília, é caro eu tirar do meu filho para vir para cá. Da outra vez eu fiz *online*, mas agora eu disse: não, nessa eu vou porque não é possível! Até quando essas mentiras vão existir?

A gente escuta o Ministro da Saúde dizendo – e isso foi nítido –, ele falou numa rádio quando foi questionado pelo radialista: "o senhor aplicaria medicação?". Ele falou: "eu sou médico e acredito na ciência, eu acredito na Anvisa". Mentira! Eu queria que ele colocasse um detector de mentiras nele para ver se não ia aparecer!

O que acontece? Todo pai entra, quando a gente descobre a Duchenne, num estado de luto, em que eu e a minha esposa revezávamos para chorar, para que a gente não ficasse na frente do filho chorando. Então, a gente se revezava: um chorava, o outro ia para o quarto, brincava com ele e assim a gente ia.

Depois do luto, a gente tem duas escolhas a fazer: ou a gente fica no luto ou a gente luta. E o que vocês estão fazendo aqui e o que eu fiz foi lutar. Esta audiência é graças a vocês, que estão aqui, gente como eu, desde lá de 2024. E eu me lembro como se fosse hoje que chegaram a adiar a audiência, todo mundo com passagem, porque no outro dia era 1º de maio, e aí foi na pressão: "não, vamos fazer a audiência!". E foi quando teve a primeira audiência, e a Anvisa sequer a tinha aprovado.

Para o Guilherme, quando a FDA, em 2023, aprovou, eu não pensei duas vezes. Eu sei qual é a linha do tempo do meu filho, eu sei que o final dele, todo mundo sabe, todos os pais sabem; só que eu, eu posso morrer hoje, eu posso morrer daqui a 50 anos, mas o meu filho eu sei que, sem a medicação, ele ia aos 12, 13, poderia ir até os 25. Aí, uns dizem: "Mas tem gente que

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

chega aos 30 anos". Mas com qualidade de vida, não. E está lá, eu até anotei aqui, está aqui, ó, no Estatuto da Criança sobre a saúde... No art. 196 da Constituição: "que visem à redução do risco de doença e de outros agravos". A saúde é dever do Estado. Nós estamos rasgando a Constituição.

E quando – e ainda vou contar para vocês – o Guilherme recebeu, no dia 30 de agosto de 2024, a medicação – vai fazer dois anos agora –, dias antes, uma decisão do Gilmar Mendes suspendeu todas as liminares. Esse medicamento, vocês devem saber, vem congelado, se eu não me engano, a menos 60 graus. Ele tinha sido descongelado no Vera Cruz e aí, pasmem, aplicaram no meu filho; mas, dois dias depois, eu recebi uma mensagem por *e-mail*, o Dr. Felipe recebeu uma mensagem, o Vera Cruz recebeu uma mensagem, dizendo para não aplicar a medicação. Iam R$17 milhões para o lixo, porque, depois que essa medicação é descongelada, ela perde a eficácia, tanto que ela vem dentro da embalagem com um termômetro, que é verificado por um *chip* e encaminhado para a Suíça, se não me engano, para onde foi, para verificar se no trajeto o medicamento não perdeu a eficácia.

Fazem uma decisão do nada, sem pensar em nada! O que é isso que está acontecendo no nosso país? Perder, daqui a pouco: "não, perdemos R$17 milhões, mas não aplicamos naquela criança!". A nossa resposta foi: "se quiserem, colham o sangue dele todo agora; é o único jeito de nós devolvermos o medicamento!".

Eu fiz um vídeo – e gostaria que colocassem – para que vocês vejam o que é ciência de verdade.

(*Manifestação da plateia.*)

(*Procede-se à exibição de vídeo.*)

O SR. HUMBERTO SCHERER – Pessoal, o meu filho levantava do chão, antes da aplicação, em 3,6 segundos. Hoje, ele levanta em dois. Se é uma doença progressiva, eu queria saber, dos técnicos: como é que ele diminuiu em 1,6 segundo? Era para ele estar levantando em seis. É progressivo? Como é que os exames do meu filho diminuíram dessa forma? Tem alguma coisa errada. Ou eu vou questionar o hospital e o Dr. Felipe por aplicarem a medicação errada no meu filho? Não estamos falando da mesma medicação? Não existe... Se a doença é progressiva,

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

poderia melhorar? Não. A medicação não só está estancando, ela está dando – conforme o Dr. João Vitor, se não me engano, falou –, ela está aumentando a musculatura dele.

Aí teve gente que falou da questão do corticoide, que aumentou a quantidade de corticoide de quem tomou o Elevidys. O meu filho estava tomando 15mg de deflazacorte; hoje, ele toma 17mg. O que faz aumentar o corticoide é o peso. Se nós controlarmos o peso das crianças, não precisa aumentar o corticoide. O aumento de corticoide se dá quando dá medicação, que a gente tem que baixar a imunidade, e é aí que há o risco de uma gripe. Porque o meu filho ficou com a imunidade quase a zero. A gente ficou... Por três meses eu fiquei morando em Campinas para me cuidar. A gente ficou isolado dentro de um apartamento, de máscara. Para quê? Para evitar uma gripe. Para evitar, daqui a pouco, uma bactéria. A gente não foi a um parque ali em Campinas porque podia ter um carrapato. Então, isso é... Depois do desmame, foi fazendo aos pouquinhos, e ele voltou a tomar a mesma coisa porque a gente cuidou do peso dele. É isso que importa.

Então, volto a dizer: eu, Humberto, não vou largar a mão de vocês, não é porque o meu filho teve.

E Deborah, eu te falei esses dias por um áudio: quando eu falei que o meu filho recebeu, você chorou que parecia que era o teu filho, e eu nunca vou me esquecer disso. E eu, qualquer pedido de vocês, para mim, é uma convocação. Eu sempre vou estar do lado porque eu acredito nesse medicamento e eu sei que qualquer um...

E assim como foi dito, os pais não precisam depender de Anvisa. Eu simplesmente pesquisei e, quando uma grande instituição, que o FDA é, disse: "Medicação *o.k.*", como eu, pai, vou ser contra, sendo que é a única possibilidade do meu filho hoje para eu poder dizer: "Qual é a idade que o meu filho vai morrer? Pode ser amanhã, pode ser daqui a 50 anos, pode ser daqui a cem, não sei". Hoje, o Elevidys fez com que o meu filho saísse daquela linha reta e fizesse uma curva, um ponto de interrogação, assim como é a nossa vida, ninguém sabe. Do jeito que está, você sabe o que vai acontecer porque já aconteceu na família. E é isso que a gente quer? Não, a gente quer esse ponto de interrogação, e o Elevidys é esse ponto de interrogação. (*Palmas.*)

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

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Nossa última expositora é Viviane Guimarães, Advogada especializada em Direito da Medicina pela Universidade de Coimbra, Portugal.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES (Para expor.) – Bom dia – será que é bom dia ainda? Boa tarde, pessoal, a todos e todas.

Senadora, eu queria agradecer o convite para participar deste momento com vocês e parabenizar a Senadora, o Senador, os Deputados por terem a coragem de trazer esse tema aqui para a Casa, para a gente fazer essa discussão sincera, porque com certeza o Elevidys veio para mudar muita coisa, não só na parte regulatória mesmo da Anvisa, como também na Justiça. Nós estamos com enormes dificuldades nos processos judiciais. Tudo mudou meio que provocado pela questão do Elevidys.

Pode passar a apresentação, por favor?

Então, eu vou falar aqui um pouco, mas já trazendo, já destacando a dificuldade que a gente tem de pegar informações sobre esse processo de autorização do registro da Anvisa, porque a gente não acha nada no *site*, é muito difícil a gente pegar realmente informações verdadeiras, que tenham conteúdo para que a gente possa analisar juridicamente o que acontece, o que não acontece. Inclusive, até ontem, salvo engano, ainda constava no *site* da Anvisa que o remédio está ativo. Então, quando a gente vai procurar o processo desse estudo que a Anvisa vem fazendo com o Elevidys só consegue ver os andamentos. A gente não sabe, não tem transparência do que a gente pode, do que eles estão pedindo, do que a Roche está oferecendo, e isso é um problema muito sério que a gente encontra, porque não temos nem como questionar, e nós somos da outra parte, nós somos pacientes. Então, a gente precisa dessas informações para praticar qualquer ato ou até mesmo contestar essas decisões na medida do que a gente pode.

Então, o intuito aqui não é ir contra a Anvisa, a gente sabe que a Anvisa é um órgão muito respeitado e que a gente precisa dessa segurança, porque nenhum pai vai dar um remédio que não tenha segurança para o seu filho, por mais rara que seja a doença. Mas a gente precisa saber da proporcionalidade dos atos que estão sendo tomados pela Anvisa, da razoabilidade também, da transparência e do que pode ser feito antes de se chegar ao cancelamento de uma medicação quando só tem, no momento, ela para ser ofertada para a Duchenne.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Pode passar outra? Você pode passar, por favor? (*Pausa.*)

Pronto. Aqui, a gente traz o que está em jogo: vidas, né? A gente sabe que são vidas, são futuros, são famílias, porque todo mundo termina sendo envolvido com essa questão da aprovação de uma medicação, do que vai ser o futuro, como o próprio Humberto, agora, relatou.

Todo mundo sabe que é uma doença rara. Ela, por ser uma doença rara, não pode ser tratada como uma doença prevalecente, inclusive para fins de registro de medicação. E aí eu vou chegar mais à frente para saber onde foi que saiu do fluxo, porque ela estava sendo analisada como uma doença rara, tanto que o Elevidys conseguiu a autorização condicionada. Mas, de repente, passou-se para a Anvisa começar a solicitar dados de eficácia a longo prazo, sabendo que é uma doença rara e que o laboratório, como já informou várias vezes, ainda não tem esses dados para oferecer. No entanto, o laboratório afirma que consegue dar, sim, dados de que o remédio vem surtindo efeito, de que ele não está trazendo malefícios, de que ele traz benefícios. Então, onde foi, nesse processo de aprovação ou de exigências de dados, que a Anvisa meio que trocou – não tem como a gente falar que foi uma troca, porque não tem essas informações – e veio tão forte com as exigências de requisitos que talvez não sejam devidos neste momento?

Então a gente sabe que a indicação brasileira, desde que se registrou, foi muito clara para crianças que andam, que não são crianças que não deambulam, de 4 a 7 anos. Então, essa era a regra do jogo que a gente tinha.

Pode passar, por favor.

E aí a gente sabe que existe um processo na Anvisa, que já foi apresentado aqui. O registro é condicional, não é uma licença sem provas. O laboratório precisa provar que existe a possibilidade de benefício. A indústria firma um termo de compromisso, em que ela está lá dizendo que vai apresentar os dados que a Anvisa pede, para poder continuar, e a Anvisa também continua avaliando esses dados que vão chegando.

Agora, em que momento mudou esse procedimento da Anvisa? Aí a gente sabe – pode passar para o próximo – que o registro aconteceu em dezembro de 2024. E aí a gente teve

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

algumas crianças que conseguiram tomar a medicação, nesse período, até julho de 2025. A partir de julho de 2025, houve o cancelamento, a suspensão do remédio, em razão de um fato que não aconteceu no Brasil, mas em razão de fatos ocorridos no estrangeiro, com o perfil de crianças que não eram o perfil das crianças autorizadas no Brasil.

Então, até onde é proporcional a Anvisa suspender todo o processo, durante todo esse tempo, para um perfil de crianças que não são as nossas? O que aconteceu? Nos Estados Unidos, a gente teve dois óbitos, infelizmente, em adolescentes de 15 e 16 anos, que não caminhavam, e depois teve mais o de um adulto de 51 anos, mas que não tinha o Duchenne, tinha distrofia muscular de cinturas.

E o FDA retirou a suspensão, a Anvisa permaneceu com a suspensão, e a Roche foi entregando o material que foi combinado, naquele termo de acompanhamento?

Termo de... (*Pausa.*)

Agora eu esqueci. É o termo de? (*Pausa.*)

De compromisso. É o termo de compromisso.

Então, a Roche continuou mandando todas as obrigações. Teve essa questão de que houve a modificação aí, junto com a Sarepta, mas ela continuou mandando e, inclusive, apresentando dados de 3 anos e de 4 anos.

Essa informação a gente não tem em canto nenhum. A gente não consegue entrar no *site* da Anvisa e saber o que, de fato, está acontecendo. Essa informação a gente retirou de processos judiciais, do que está lá disponível em processos judiciais. Fora isso, a gente está cego, a gente não sabe o que está acontecendo.

Então, o primeiro ponto de virada, que a gente percebe: em julho de 2025, a suspensão era pela segurança, por conta dos falecimentos que tinham acontecido no exterior. Agora, em 2026, passou para a questão da eficácia de longo prazo.

Mas, para uma doença rara do porte de uma distrofia muscular de Duchenne, é possível, nesse tempo em que eles querem que a gente apresente, comprovar a eficácia de longo prazo? Nas outras doenças, porque a Duchenne não é a primeira terapia gênica que a gente tem aqui

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

no Brasil – a gente teve também para AME, em que se usou o Zolgensma –, essa exigência também foi requerida para a Zolgensma?

E a gente sabe que, após a incorporação da Zolgensma, que é para AME (atrofia muscular espinhal), muito grave, houve, sim, óbito de criança que tomou o remédio. E essa criança, inclusive, é uma criança de quem eu digo "minha criança", porque é uma criança cujo processo eu tenho. Ela conseguiu tomar a medicação e veio a óbito.

O mesmo padrão de exigência para o Zolgensma, que é para doença neuromuscular, terapia gênica, está sendo exigido para o Elevidys, que, aqui no Brasil, não tem nenhum padrão de óbito? Então, qual é a transparência da Anvisa quanto a essa exigência? Não está sendo demais? Não está cobrando a mais, além do que é possível?

Pode passar a próxima.

Aí, sim, só um detalhe.

Pode deixar a próxima.

Em agosto, o laboratório pede o cancelamento. Mas por que ele pede o cancelamento? Porque esgotou a possibilidade dele, no momento, de dar todas essas informações. Então, para ele, de repente, é mais importante retirar essa análise, porque ele parece não ter sucesso, para, depois, reapresentar.

Mas como é que fica isso para as pessoas que estão na idade de usar o remédio e para as pessoas que estão com processos judiciais? Existe uma implicação muito séria. Os processos judiciais estão parados, e todos vão ser julgados improcedentes, porque a gente não tem mais a Anvisa. Então, a situação é muito mais abrangente do que simplesmente conceder e retirar um registro para, depois, submeter em uma outra oportunidade.

Aí a gente vê, voltando de novo: é risco para quem? É risco para os brasileiros tomarem o Elevidys? A gente sabe que teve risco, dois óbitos. Nos Estados Unidos, é para 16 e 15 anos; no Brasil, é para 4 a 7 anos. Fica provado, a Anvisa prova que a segurança e a eficácia, neste momento, prejudicam as crianças brasileiras? É quando a gente começa a pensar na própria bioética. A gente tem que ver a benevolência e não a maledicência.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

O que é ideal? Dar agora para um paciente que a gente tem e que, no momento, está vivendo essa situação? É dar o remédio para quem não tem absolutamente nada disponível? Ou é pensar numa futura consequência que, no momento, não existe? A gente não tem relato.

Pode passar para a próxima.

Então, será que não seria melhor trabalhar com cautela – claro, a gente está falando de ciência, não dá para fechar os olhos – e escolher outras possibilidades para mitigar um possível risco, enquanto esses estudos não aparecem? Será que a gente não pode fazer um alerta de risco grave, avaliar o grupo realmente exposto, testar medidas menos restritivas e suspender apenas se necessário? A gente possibilita que as crianças continuem a tomar, monitora essas crianças e aí, sim, verifica o que pode acontecer. O que não pode é a gente passar de uma situação em que a gente tem benefícios até agora – as 15 crianças estão com benefício – e simplesmente ignorar que eles existem e que outros podem se beneficiar deles, por um acontecimento em outra faixa, em outro lugar, em outro país.

Pode passar, por favor.

Pode passar também esse aí. Eu já falei de um certo modo.

Aí, eu trago também – e destaco – que foi feito, de fato, um termo de compromisso para a complementação de dados. É um procedimento normal da Anvisa para quando se vai fazer a incorporação de remédios para doenças raras e outras situações.

E aqui é um cronograma, um calendário. A empresa Roche colocou datas para entregar os estudos, junto com o aval da Anvisa, e isso vai até 2029. Por que agora mudou de forma tão drástica que precisa ser entregue agora, atualmente? Qual é a transparência disso? Qual é a necessidade disso? Qual é a justificativa disso? A gente precisa entender.

E outra coisa: se consegue até 2029 e o prazo que o laboratório deu é 2031 – são dois anos –, a Anvisa não pode considerar que, de repente, dá para trabalhar com o que tem e esperar até 2031? Será que a mudança dada pela Roche é tão gravosa que precisa cancelar o registro de uma medicação no Brasil?

Passa o outro. Pode passar.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Inclusive, nesse termo de compromisso, tem uma cláusula em que, havendo divergência entre a Anvisa e o laboratório, foi convencionado que a questão pode ir para a Câmara de Conciliação e arbitragem da Administração Federal da Advocacia-Geral da União. Por que não foi utilizado esse dispositivo antes de se chegar a um cancelamento? Porque, na hora que se cancela, tudo fica pior. Como a gente vai para um juiz defender um direito de uma pessoa tomar um remédio, se eu tenho um cancelamento da Anvisa? O juiz não vai acolher.

Tem alguns dizendo: "Não, vai ser bom, porque a gente vai usar agora o Tema 500". Não, a gente não vai poder usar o Tema 500, porque a gente já tem, inclusive, parecer da Conitec desfavorável ao Elevidys. Então qual é o juiz, qual é o magistrado que vai voltar atrás e dizer: "Não, já que não tem registro no Brasil, a gente vai utilizar o registro americano"? Não vai...

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES (*Fora do microfone*.) – No meu caso, não tinha registro da Anvisa ainda. O meu filho, na época... Foi implantado lá nos Estados Unidos, e ainda estavam dando número de registro. Então, o caso começa daqui, não é só depois da Anvisa.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES – Pois é.

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES (*Fora do microfone*.) – E os demais?

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

Vamos deixar a Dra. Viviane terminar.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES – Pode passar o próximo, por favor.

Então, aqui são dados que eu peguei da Reclamação 98.709-1, que é aquela da lavra do Ministro Gilmar Mendes em que ele suspendeu a eficácia de todas as ações do Elevidys no Brasil.

Veja, aqui tem uma linha do tempo. A gente percebe que, em 4/9/2025, 10/11/2025, 19/1/2026 – tudo depois da suspensão –, a Roche protocolou complementação para a Anvisa, alterou a bula – em fevereiro, a bula foi alterada – e a Anvisa anuiu e publicou essa bula. Ora, se não tem evidência, se estão faltando dados, por que a Anvisa vem a público e anui, e publica a

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

bula no *site* oficial da Anvisa? Esse é um dos dados que a gente consegue, um dos poucos dados que a gente consegue na Anvisa.

Aí depois vem: a Roche vai apresentar dados de eficácia...

Pode voltar, por favor?

... dos estudos 101, 102, 103. Depois ela apresenta dados de acompanhamento de longo prazo, referentes a quatro anos. Depois a Anvisa ainda continua não achando suficiente a informação, e aí a Roche encerra o pedido – eu acho que por estratégia empresarial, para pensar numa outra forma.

Então, eu me pergunto a proporcionalidade dessa exigência dos técnicos da Anvisa. Não tem transparência para a gente que está do outro lado sobre o que é que realmente é necessário, o que é que está acontecendo com relação ao Elevidys.

E aí, a gente passa para o próximo eslaide.

Então, são perguntas que a gente precisa responder, a gente precisa saber: quais são os riscos para as nossas crianças de 4 a 7 anos? Por que esses riscos tão danosos não apareceram nas crianças que já foram medicadas? Eu tenho uma criança que foi medicada: ele está andando de bicicleta, ele está jogando bola, ele está correndo, ele não teve nenhum episódio de precisar ir para o hospital, de ter uma gripe... É sondagem de vida real. Então, se aconteceu no estrangeiro, qual é a evidência de que isso vai acontecer também aqui no Brasil? A Anvisa precisa responder para a gente. Qual é a regra, que fundamento jurídico vigente sustentou essa suspensão? E que prazo? Qual foi o prazo? O prazo exigível? É viável esperar – para uma doença rara – que se faça todo o estudo científico de longo prazo? As crianças vão esperar? A doença espera? Por que medidas menos gravosas não bastaram? E cadê o parecer técnico final? Porque não adianta só publicar no *Diário Oficial* a notícia de que o remédio foi cancelado. Cadê o subsídio? Mesmo que leigos... A gente sabe que tem dados que são sigilosos, que não podem ser repassados para todo mundo, para a sociedade, mas o mínimo de dados a gente precisa ter, a gente precisa conhecer. Cadê esse parecer, que nunca apareceu?

O próximo, por favor. Já estou terminando, tá, Senadora?

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Aqui são pedidos concretos que a gente faz porque a gente também quer construir, o objetivo é isto: a gente construir; inclusive pensando em políticas públicas futuras, porque não tem só Duchenne. A gente vai ter outros remédios que vão ser tão desafiadores quanto. Então, é abrir os pareceres naquilo que for possível, mas que o leigo possa entender; explicar a proporcionalidade – o que eu já tanto falei aqui –; e aperfeiçoar o rito.

A gente não pode tratar doenças raras e ultrarraras como doença prevalecente, que é o que está acontecendo no Brasil. A gente precisa ter um microssistema dentro do sistema hoje atual. Porque o que está acontecendo? A gente não está oferecendo equidade, igualdade, oportunidade. Então, vários artigos, preceitos constitucionais estão sendo feridos, e ninguém está falando, ninguém está dizendo nada. A gente está ficando só com o peso na mão: as famílias desesperadas, as crianças perdendo oportunidade. Então, está na hora de a gente começar a pensar um microssistema, uma forma diferente de pensar as doenças raras e ultrarraras.

A segurança e o acesso não são inimigos. A boa regulamentação precisa acontecer para proteger os dois.

Outra coisa, só para eu finalizar: a questão financeira. Existem formas de fazer também essa questão, equalizar o custo de uma terapia com a realidade do Brasil, porque a gente precisa enfrentar isso. A gente tem o sucesso do Zolgensma, que iniciou a R$12 milhões – não muito diferente do Elevidys – e agora está a R$8 milhões. É caro? É caro, mas o governo conseguiu absorver. A gente precisa levar isso à mesa também – o compartilhamento de risco, a parceria do laboratório com o governo. Só não dá para chegar e esquecer que a gente está tratando de vidas. Não é patrimonial, é vida, o bem maior que a Constituição Federal resguarda. A gente precisa enfrentar isso.

Então, contem comigo. Eu estou muito com vocês, mães, independentemente de processo. Eu acho que vocês precisam estar à frente, Deborah – minha admiração –, Gabi também. Vão em frente. Com o que eu puder ajudar, eu estou com vocês.

Obrigada, Senadora, por também estar nessa luta com a gente...

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

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

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES – ... e ao Deputado.

Obrigada, pessoal. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Dra. Viviane. A senhora foi perfeita nessa linha de tempo.

Como eu tenho um compromisso com os expositores, eu vou devolver a palavra a eles por dois ou três minutos, porque alguns precisam sair. Depois, eu tenho aqui uma lista de seis pessoas que querem falar por dois minutos, e um deles é o assessor da Presidência da Fiocruz, que está aqui.

Mas eu quero anunciar também que está acompanhando, *online,* com a gente, a nossa incrível, maravilhosa, espetacular Senadora Mara Gabrilli, Vice-Presidente desta Comissão. Está acompanhando tudo *online* e pediu que avisasse aos senhores que ela vai fazer parte do grupo de trabalho. Mesmo não sendo mais candidata à Senadora – é candidata à Deputada Estadual –, ela quer ficar no grupo de trabalho com a gente. (*Palmas.*)

Também, tem uma pessoa muito especial assistindo dos Estados Unidos, que é o Lucas, pai do Lipe. Quem se lembra da campanha para o Lipe? O Lipe já fez mais de 7 anos, e o pai foi embora para os Estados Unidos com o Lipe. Ele teve a chance de ir embora, e os que não conseguem ir embora daqui? Lucas, obrigada por estar nos acompanhando.

Eu vou devolver a palavra ao Deputado Max Lemos, por três minutos, para considerações finais. Pode ser, Deputado?

O SR. MAX LEMOS (Para expor.) – Primeiro, quero agradecer à Senadora Damares, a todos os que estiveram aqui e fizeram suas apresentações, e ao Senador Hermes pela iniciativa de marcar e convocar esta audiência pública.

Eu acho que, ao longo desses anos – quase dois anos –, nós já conseguimos ter o maior número de informação possível em relação a essa terapia. Nós não estamos mais tratando de segurança – isso já foi dito, está mais do que comprovado. Todos os dados que a gente recebe

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

são positivos, os números estão além até do que se esperava, tratando-se de doença rara, tratando-se de questões que precisam ainda, obviamente, de grandes estudos.

Eu quero aqui destacar as palavras da Dra. Viviane em relação às decisões judiciais. Eu tive a oportunidade de conversar com o Ministro Gilmar Mendes, marquei uma audiência com ele para tratar desse tema, e isso que a senhora colocou é verdade. Na cabeça dele, não existe dado técnico comprobatório da eficácia. Isso é muito ruim! Então é claro que, em qualquer decisão que ele vai fazer, ele vai ter esse tipo de informação.

Mas o mais grave que eu destaco em relação à conversa que eu tive com ele é que ele disse para mim: "Olha, Deputado, mas está havendo aí um estudo de um novo medicamento, que pode ser inclusive mais barato, que pode ser...". Mas as pessoas não estão conseguindo entender que não há tempo para ficar se estudando nada. Essa é a questão! E, para o magistrado decidir em relação a qualquer liminar, é necessário ter informação técnica, e, de verdade, o Ministro não tem. A informação que ele tem é de que existem controvérsias na eficiência, na segurança, que está se estudando um novo medicamento.

É que as pessoas, Senadora Damares, estão indo para uma direção completamente inversa ao que se precisa fazer. Nós não precisamos fundamentar mais nada. Só existe uma saída neste momento, não tem outra; neste momento, só existe esta saída. Na hora que surgir uma outra saída, ótimo, maravilhoso, bênção pura! Mas, neste momento, a decisão é única: deixa morrer ou deixa viver. Não tem outra!

Eu fico... Eu que já estou... Não vou dizer que eu estou cansado de ouvir "não", mas eu, que já tenho ouvido todas essas fundamentações, todos os encaminhamentos, todos os laudos, todas as justificativas, hoje eu tive mais uma, desse menino médico, que é um menino...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF. *Fora do microfone*.) – Fantástica.

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Fantástica a fundamentação técnica de uma pessoa que conhece doença rara porque ele tem.

Então, assim, todas as vezes que a gente marca uma audiência, o que a gente vê, Senador, é mais uma vez uma comprovação de que o Elevidys vai ajudar essas crianças a viverem. Então,

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

nós precisamos nesse grupo de trabalho, e eu também fico preocupado com o grupo de trabalho porque...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF. *Fora do microfone*.) – Mas comigo funciona!

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – É isso. Eu fico preocupado com o grupo de trabalho porque aqui é questão de dias mesmo. Uma criança tem cinco anos; por um dia, ela faz seis. Aí, como é que faz?

Então, de verdade, nós precisamos continuar unidos, porque não adianta ter divisão. Nós ganhamos aqui mais gente nessa luta – e gente boa, gente que está disposta a ir para a luta.

Lamento muito eu ter realmente que sair por causa do meu voo para o Rio.

Agora, quero dizer a vocês que a gente vai continuar essa luta; não se encerra porque a Roche retirou o pedido dele. Eu não vou mentir para vocês: eu não estou satisfeito com esse pedido de retirada. Eu tenho meu jeito, quem me conhece bem – principalmente no meu estado – sabe do meu jeito de ser. Eu estou convencido de que essa decisão pode ser de outra forma, com os próprios dados que a Anvisa já deu; eu estou convencido de que nós podemos ter, sim, a utilização do medicamento para essas crianças, e, ao longo do tempo, ir acompanhando a evolução, ir ajeitando, mudando o protocolo de acordo com o tempo. Medicamento é assim. E eu não tenho dúvidas de que, se nós continuarmos a luta, nós vamos chegar a uma conclusão e vamos conseguir salvar essas crianças. Não podemos recuar em nenhum momento, porque, senão, nós vamos estar dizendo assim: "Deixa morrer", enquanto, na verdade, nós temos a comprovação de que é possível verdadeiramente as crianças terem uma oportunidade de vida.

Isso não tem a ver com linha ideológica, isso não tem a ver com o que pensa, com partido político, isso tem a ver com uma decisão simples: nós queremos que as crianças vivam. É simplesmente isso. Não vai dar para a Anvisa dar um laudo, "Olha, está tudo bem, esse é o melhor medicamento do mundo, salvou a pátria". Não é isso, ela não vai conseguir dar, disso nós temos consciência. Por isso que eu sempre defendo a questão técnica, eu defendo sempre o trabalho técnico, desde que ele caminhe junto com a questão da decisão administrativa.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Então eu compreendo o lado da Anvisa, mas a questão hoje não é essa. A questão, hoje, para resumir, para encerrar, é que crianças receberam a aplicação do medicamento, receberam a terapia, estão vivas, existe uma progressão, uma regressão ou paralisação da doença. É isso que a gente tem hoje de fato concreto, que é o que nos importa. Então, de verdade, nós vamos optar pela vida, e pela vida é a gente lutar até conseguir resolver esse problema. Está certo?

Obrigado, gente. Desculpe o meu... (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Deputado Max...

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – É que eu estou tão transtornado quanto o Deputado Vitor, porque não estava mais no nosso calendário, não é, Lippi? Não estava no nosso calendário a suspensão, isso não estava no nosso calendário. Muito pelo contrário, nós já tínhamos avançado essa etapa, nós estávamos a dez dias apenas de mudança de protocolo, de encaminhamento para a liberação. Não estava no nosso calendário simplesmente suspender a legalização do Elevidys. Isso não estava. Desculpe.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Deputado Max...

O SR. MAX LEMOS (Bloco/UNIÃO - RJ) – Que Deus os abençoe.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – ... antes de o senhor sair, já quero avisá-lo que o grupo de trabalho começou a trabalhar. Serei recebida às 16h pelo Ministro da AGU. Eu estaria levando uma única pauta para ele, que é a morte das crianças ianomâmi, mas já estou comunicando que o segundo tema da nossa reunião será o fruto dessa audiência, mesmo porque a Dra. Viviane colocou ali no eslaide que há uma etapa que a AGU tinha que ter participado. Quero saber se a AGU participou dessa etapa. Então, na primeira reunião hoje com o Ministro, tão logo ele... Vou levar documentos, pedir que ele nos responda por escrito, eu compartilho com todos os demais a resposta da AGU.

Obrigada, faça uma boa viagem.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Senador Hermes, três minutos para considerações finais.

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES (*Fora do microfone*.) – Licença, Senadora, antes de o Deputado Max sair... Licença, só um pouco.

Na última audiência que teve, a Anvisa tinha dez dias para dar uma resposta e não deram nenhuma resposta. E agora, quanto tempo, Senadora? Quanto tempo vamos esperar?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos fazer essa pergunta direto para eles.

Senador Hermes, três minutos para considerações finais. Está satisfeito com a audiência, alcançamos o objetivo?

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, NOVO, AVANTE) - SC. Para discursar.) – Perfeitamente satisfeito na totalidade, não. A satisfação seria a solução, que alguém dissesse: "Olha, está resolvido o problema, vamos trazer o Elevidys e vamos aplicá-lo". Não é isso, mas satisfeito por haver todo esse movimento, e vamos trabalhar para que amenize todo esse problema. Vamos estar juntos.

Eu quero encerrar agradecendo profundamente a todos que participaram da audiência. Agradeço aos representantes da Anvisa, aos especialistas, aos pesquisadores, aos profissionais da saúde e, principalmente, às famílias, que tiveram coragem de estar aqui e compartilhar suas histórias.

Hoje, nós não discutimos apenas um medicamento, discutimos o direito à informação e à saúde e a responsabilidade do Estado diante de famílias que convivem diariamente com uma doença grave e progressiva.

Quero dizer aos pais, que estão aqui: nós ouvimos vocês. Histórias como a do Raul, do Téo, do Arthur, do Paulo, do Davi, do Brian, do Augusto, do Lourenzo, do Guilherme, do Gabriel, do Tiago e de tantas outras crianças não podem ser reduzidas a números ou estatísticas. Elas têm nome, têm rosto, têm sonhos, e é por elas que precisamos continuar trabalhando.

O meu muito obrigado a todos. Muito obrigado. (*Palmas.*)

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

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

O senhor veio para esta Casa para fazer a diferença.

Senador, muito obrigada.

Vamos ouvir a Ana Paula. Desculpa. Vamos ouvir o Deputado Lippi e, depois, a Ana Paula, da Roche.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Senadora, por gentileza.

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

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Eu recebi uma pergunta e gostaria de enviá-la ao Dr. Daniel. Pode ser?

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

Dr. Daniel, preste atenção.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP) – Eles perguntam: qual o estudo de resultado publicado, que demonstrou que as crianças entre 4 a 7 anos tiveram piora clínica, hepática e cardíaca, conforme o senhor argumentou na sua fala?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Ele pode responder, Lippi?

Então, Dr. Daniel, responda e já faça os seus três minutos de considerações finais.

O SR. DANIEL PEREIRA – Senadora, a Dra. Daniela vai responder aqui porque ela tem o conhecimento técnico do assunto.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Está bom.

Então, Dra. Daniela, já responda e faça as considerações finais.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA (Para expor.) – Obrigada, Senadora. Obrigada também, Deputado, pelo questionamento.

A minha sugestão é que o nosso gerente da área técnica apresente esses dados porque realmente ele veio preparado para isso, mas é resultante dos dados compilados que a Roche nos apresentou na tentativa de cumprimento do termo de compromisso. Como houve a mudança do protocolo do estudo internacional pela Sarepta e eles não mais conseguiriam nos apresentar o que foi pactuado no termo de compromisso, foram apresentados dados independentes avaliados pela empresa, que mostraram esses resultados, tanto em termos de eficácia quanto em termos de segurança, após três anos de acompanhamento das crianças, e a gente pode entrar num detalhamento maior, técnico, caso tenhamos tempo aqui.

Na próxima semana, nós vamos publicar também o nosso parecer público. A Dra. Viviane mencionou a necessidade desse documento. Nós estávamos aguardando exatamente esta audiência para finalizar o parecer, que será publicado e divulgado na próxima semana, com todos esses resultados e a fundamentação técnica em relação a todas as evidências que a Anvisa recebeu.

Eu acredito também que, em relação à fala do Ministro Gilmar, que mencionou um medicamento que estaria em estudo, na verdade, muito provavelmente, ele está se referindo ao givinostat, que não é um medicamento em estudo, já é um medicamento que está com registro concedido. Sabemos que não são medicações substitutas, mas é um outro medicamento com indicação para a distrofia muscular de Duchenne, que está registrado no Brasil também.

E se tivermos tempo para fazer essa apresentação mais técnica dos dados...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – No mínimo, essa resposta ao Senador Hermes o Gerente Técnico pode dar. Vamos ouvir? Acho que é uma pergunta muito importante.

Só diz seu nome, porque eu citei aqui e esqueci.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR (Para expor.) – Está certo.

João Batista. Eu sou gerente dessa área específica que analisa com o Dr. Anderson aqui.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Gostaria de agradecer também à Dra. Daniela, pela oportunidade, e dizer que é uma avaliação muito complexa, e a Anvisa, desde o início, quando recebeu, em 2023, essa avaliação, tomou a decisão pelo registro, mesmo com as incertezas, porque existem protocolos específicos e vontade da agência em trabalhar com doenças raras, como a gente está discutindo aqui. Houve uma sensibilidade da agência.

Eu gostaria só de colocar um ponto muito importante aqui em relação ao termo de compromisso. Como é um produto de terapia gênica, é necessário ele ter um termo de compromisso, para a gente continuar trabalhando e monitorando, como todo mundo está discutindo aqui.

A Roche não cumpriu o termo de compromisso.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Ei, Dra. Ana, olha aí!

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – O item lá relacionado ao Estudo 305 não foi cumprido, a gente solicitou informações e a Roche disse: "A gente não consegue cumprir". Por quê? Porque a empresa que desenvolve, a Sarepta, alterou sem avisar a Anvisa. E, outra coisa, nós não descobrimos isso porque a Roche foi proativa e nos disse: "Olha, a Sarepta não apresentou os dados. Como é que nós vamos fazer?". Não, foi quando eles apresentaram um relatório incompleto, que só tinha os dados de segurança, e a gente perguntou: "Mas cadê os dados de eficácia?". Aí eles disseram para a gente – está tudo escrito na documentação do processo –: "Nós não temos condição de apresentar esses dados agora, porque nós precisamos refazer". E aí eles fizeram todo um malabarismo e só conseguem entregar esse resultado no final do ano, porque, inclusive, a empresa que está desenvolvendo mesmo só vai entregar em 2031.

Bem, diante dessa situação, diante da dificuldade que a Anvisa tem e até da necessidade de uma discussão mais aprofundada, nós precisamos de ter algum dado, porque esse dado é o dado de eficácia de três anos. Se a gente não tem condição de avaliar isso aqui e já temos um histórico de risco aumentado, porque teve risco, sim, e na audiência passada nós afirmamos isso... Teve risco e risco aumentado. A questão é que é possível se fazer uma mitigação de risco, com o quê? Nós discutimos isso na outra sessão.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Foi necessário a Anvisa abrir os dados e a Roche abrir os dados das crianças e de todo mundo – tá, gente? São mais de mil dados –, para a gente descobrir que, na idade de 4 a 7 anos... Quando abriram os dados para a gente, nós descobrimos que na idade de 4 a 7 anos havia uma lesão hepática alta, mais alta do que qualquer outro medicamento de terapia gênica que a gente já viu, mas era possível e é possível uma discussão de mitigação.

Qual foi a discussão que nós fizemos na época? Vai ter que colocar um corticoide intravenoso – o Doutor sabe bem disso. Antes, era um corticoide oral. Vai ter que colocar nessas crianças um corticoide intravenoso, e a empresa, hoje, sabe disso. Ela está estudando, nos Estados Unidos, um imunossupressor que é usado em transplante, que é o Sirolimo, para ajudar a reduzir essa lesão de quem está na idade de 4 a 7 anos.

Então foi uma medida preventiva que foi feita, só que nesse momento, quando a gente falou assim: "Olha, os dados de risco são dados que a gente precisa trabalhar aqui, porque aumentou o risco para essas crianças, inclusive em crianças de 4 a 7 anos".... Nos Estados Unidos, inclusive, acima disso, gente, foi até suspenso.

Nem se usa mais nos Estados Unidos, porque, se não estiver deambulando, não pode usar mais – se não estiver deambulando, não pode usar mais –o que dá 11, 12 anos de idade aí ou 13 anos dependendo da evolução das crianças. Nos Estados Unidos, a FDA mudou. Por quê? Porque esses dados demonstraram riscos.

Bem, independentemente disso, nós falamos com a empresa: "Olha, vamos nos sentar então, porque é uma doença que a gente não pode... temos que trabalhar com essa flexibilidade, porque essas crianças precisam. Então, nós vamos ver o que está acontecendo. Então, vocês vão mandar para a gente os dados que vocês tiverem de eficácia, porque vocês não cumpriram o termo de compromisso". Então, como nós vamos fazer? Como fica um regulador diante de uma empresa que precisaria mandar esses dados e que tem esses dados? Porque ela mandou os dados de segurança. É o mesmo dado, é só pegar, fazer um recorte, fazer um estudo de eficácia. Por que não mandaram os dados de eficácia, já que tem os dados de segurança? Então, nós precisamos desses dados. Falamos: "Olha, vocês..." Por isso demorou tudo... e a gente estava nessa discussão, viemos aqui, e apressamos com ela: "Precisamos desses dados". Quando a gente foi pedir os dados, dissemos: "Mandem qualquer estudo que vocês

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

tiverem, ou monitorem; mandem algum outro que vocês tiverem". Mandaram os dados de três anos. Inclusive, chegaram a mandar... Esses dez dias, gente, eu vou reforçar aqui, eu estive na última audiência, eu estava aqui falando. Os dez dias eram para a empresa, a partir daquela audiência, enviar os dados – eles disseram que tinham os dados – de quatro anos, e enviaram para a gente.

Quando a gente foi analisar tudo em conjunto, nós percebemos que, no primeiro ano e no segundo ano, você mantém aquela ideia da estabilidade, de todos os marcos motores como levantar-se do chão e a NSAA se mantém como foi feito no registro, mantém aquela estabilidade. No terceiro ano, nós percebemos que houve uma queda nesses dados. Não era mais estabilidade, e isso os dados estão demonstrando. Bem, quando a gente falou: "Esperem aí, vocês não apresentaram os dados de eficácia. Quando a gente abre outros dados e está caindo, o que está acontecendo? Nós precisamos entender". A empresa precisa comprovar para a gente que realmente caiu. É uma pergunta que não está respondida, a incerteza é essa. Caiu, e será que caiu igual cai na história natural da doença? Ou foi melhor? Porque pode ser... Se a gente tiver uma comprovação de que "Olha, caiu", porque agora não tem jeito mais, a terapia gênica é uma dose só... Está caindo, a empresa não adianta... Depois que cai, não volta mais. Certo? Depois que cai, não volta mais. Então, o que ela tem que provar para nós hoje? Que está caindo, sim, mas ela está caindo em menor proporção do que uma história... uma paciente que não tem tratamento nenhum. Isso ela não comprovou com os dados consolidados que ela tem. Não é de um, de dois ou de três pacientes. São dados de 900 pacientes, e nesses dados demonstrou-se que está caindo. Eu estou falando que não é eficaz? Não. Eu estou falando que ela precisa, então, apresentar esses estados para a gente de uma forma que demonstre ineficácia... que não tenha dado uma...

O que a gente tem que tirar, nessa história, é uma questão para as famílias sobre uma desonestidade de um produto que, às vezes, não vai produzir o efeito que precisa. Um produto que tem...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Mas não foi respondido ou teve piora? Eu fiquei confusa.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Teve piora.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Vocês falam que não teve piora.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Teve piora. Teve piora. Isso.

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Senadora, eu não consigo entender.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Deixe-me explicar direitinho para você entender... Olhe...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Para os que estão assistindo.... me mandem essas informações.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – No terceiro ano... Deixe-me entender de novo... Olhe.

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone*.) – Só que vocês não têm essas informações.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Eles mandaram para a gente. Lembra que eu falei para você que...

O SR. JOSIAS DE LARA SILVA (*Fora do microfone*.) – Então, mostre as informações para nós!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Olhe, por favor. Por favor... por favor... por favor...

O SR. JOSIAS DE LARA SILVA (*Fora do microfone*.) – Mostre as informações!

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Calma, gente...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Eu vou interromper a audiência. Eu vou encerrar. Se tiver uma reação ou outra reação igual a essa.

Por favor, por favor, por favor.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Não tem problema... Não tem problema...

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. DAMARES ALVES (Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – A gente está se esforçando aqui.

Vamos fazer o seguinte, Anvisa. Vamos fazer o seguinte, eu vou... Eu acho que essa resposta... A gente não vai conseguir dar todas as respostas agora, mas a Roche vai falar. Ela também tem as considerações finais dela.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Sim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Termine a sua fala.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Sim.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Se possível, respondendo a ela. E aí a gente vai continuar este debate.

Deixe-me dizer uma coisa, gente: não se encerra uma discussão dessa numa audiência como esta, e a gente está se prontificando a criar um grupo de trabalho. E vou dizer uma coisa, ó: eu tenho tempo, e não estou cansada; não tenho nem marido – estava procurando, mas agora não vou nem procurar mais. Então, eu tenho tempo; não tenho criança em casa, tenho tempo para me dedicar, né, Laura? Tenho tempo para me dedicar.

A gente vai fazer isso juntos e, assim, o fato de a Anvisa ter vindo com cinco pessoas aqui... Eles querem ajudar também, mas a Roche também está aqui e os Parlamentares estão aqui, então a gente vai tentar encontrar essa resposta.

Eu sei que a gente tem pressa – eu sei que a gente tem pressa –, mas a gente... Eu tenho um compromisso com vocês de que a gente não vai encerrar aqui.

Encerre, Doutor, a sua fala, conclua, e aí a gente vai ouvir o Deputado e depois a Roche.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Eu não tenho problema nenhum. A gente conhece as famílias, inclusive – são pessoas que a gente já conhece –, e estão certas: tem que ter as respostas, sim. A gente só precisa... A nossa preocupação como agência é que a agência não pode assumir uma responsabilidade dessa sem dados. Que a empresa assuma: se ela está dizendo que esses três anos caíram e que foram... Caíram? Porque é isso é que é a pergunta

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

dela. Quando a gente... Olha bem de novo, olha: o Estudo 305, que é o estudo do termo de compromisso, não foi entregue. Não sabemos por que as partes de eficácia não foram entregues, até hoje.

A promessa da Roche é fazer uma avaliação própria dos dados e entregar no final do ano, porque a desenvolvedora Sarepta só vai entregar em 2031. Diante dessa não entrega – insistência em não entregar os dados –, nós pedimos: nós precisamos de dados. E eles reuniram dados de outros estudos... Estou falando isso aqui, de outros estudos, porque os pacientes são monitorados, pessoal, por vários estudos.

Esse estudo específico, o 305, foi desenhado para atender o Brasil e outras agências no monitoramento de longo prazo, está certo? Só que ela tem outros estudos, ela monitora os pacientes de outra forma. Então, eu falei assim: "Manda esses dados para a gente, a gente precisa". A gente não pode – a Anvisa não pode – assumir, né? Quando a gente tira um registro, é assim: a gente tinha um registro – certo? – e tinha estabilidade; de repente, cai; mudou o registro, não mudou? Vocês não entendem comigo que mudou? Então, a ideia é essa...

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – A gente entende...

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Entendi. A ideia...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Por favor, mãe, por favor...

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Então, a ideia é um pouco essa...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Mãe, por favor: se a gente ficar no bola a bola, a gente não termina a audiência hoje.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Então, a ideia é essa, é a gente... Então a gente falou assim: "Vamos pegar esses dados; a gente vai discutir esses dados e apresentar". Apresentaram os dados, e a gente falou assim: "Olha, esses dados aqui... A gente está vendo que houve uma regressão: não há mais estabilidade. Como explicar isso?".

Eles tentam, eles têm as metodologias, mas muito frágeis, e não conseguem comprovar que é... A nossa pergunta agora é esta, gente, para todas as famílias que estão aqui, para todos

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

os Parlamentares, a pergunta é esta: essa regressão que ocorreu nos marcos motores é uma regressão que é igual à de uma criança que vai com sete, oito, nove e cai? Ou é uma regressão menor? Essa é a pergunta científica agora, que eles não conseguiram responder ainda para a gente, certo?

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

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Eu vou... Senadora Damares, só mais um pouquinho, uma última coisa para as famílias. É tão verdade... Estou falando isso aqui porque, se fosse uma exigência burocrática, alguém acha que essa empresa iria solicitar o cancelamento? Ela poderia entrar na justiça. Tem várias outras regras.

A questão é outra também, outro ponto: eles, inclusive, vão fazer um estudo fase 3, porque eles precisam desses dados, não só no Brasil, mas para outros países. Então, olha bem, a questão é muito séria, muito complexa.

A Dra. Daniela falou que talvez fosse muito melhor que estivesse isso tudo escrito num relatório para todo mundo compreender, mas foi necessário, porque a gente não pode admitir que não fique transparente tudo para sociedade. A Anvisa não brinca, sabe? A gente está há dois anos trabalhando nesse processo diariamente, discutindo, tentando fazer vai e volta, tentando arranjar um jeito de esse produto ficar no mercado.

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

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Só que a gente não pode assumir isso sozinhos. A Roche precisa mostrar os documentos e dizer que é eficaz e está regredindo. E, regredindo, talvez – eu espero que seja isto no futuro –, ele vai regredir – desculpem, fiquei nervoso, com a boca seca –, ele vai regredir de uma forma que seja melhor do que a história natural. Essa é a esperança hoje para esse produto, essa é a verdade.

O Givinostat – só para vocês terem uma ideia – traz também essa redução. E é comprovado que a redução dele é menor do que a da história natural.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O.k. Doutor, obrigada.

Só para a gente encerrar a Anvisa, Deputado. O Dr. Daniel vai precisar dos seus três minutos para consideração finais. Aí já encerra a Anvisa, já respondendo ao Senador, e agora vem o Deputado.

O SR. DANIEL PEREIRA (Para expor.) – Muito rapidamente aqui, até pelo avançar da hora da audiência, só colocar a agência à total disposição. Acho que, como o João falou aqui, a nossa forma de trabalhar sempre vai ser esta, sempre vai ser transparente, sempre vai ser buscando o melhor em termos de acesso à população brasileira. Então, coloco a agência à disposição aqui de forma muito breve.

Obrigado a todos.

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

Deputado Lippi.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP. Para expor.) – Senadora Damares, primeiro, o meu respeito, mais uma vez, a todos que estão aqui. Eu tenho certeza de que ninguém aqui quer atrapalhar. É um assunto complexo. A gente sabe que alguns países ainda não autorizaram e países autorizaram.

Existe aqui uma expectativa de que o medicamento seja bom, de que ele não seja um medicamento que vá, vamos dizer assim, trazer um efeito colateral gravíssimo. Tudo tem risco. Inclusive, foi dito aqui, por exemplo, que é muito comum que os medicamentos utilizados pós-transplante muitas vezes tragam tantas complicações que a pessoa não suporta, mas são necessários porque, se não tomar, é pior ainda. Então, a gente, muitas vezes, tem que fazer uma decisão que não é o que a gente sonha, mas que é muito melhor do que não tomar a medicação. Portanto, não é uma decisão fácil.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A gente vê aqui algumas coisas controversas. A gente tinha uma expectativa de que nós estivéssemos muito próximos da liberação do medicamento, e foi o inverso: nós tivemos a interrupção, ou seja, o cancelamento, que é pior ainda. Não é a suspensão, é o cancelamento.

Nós estamos aqui juntos com a nossa Senadora Damares, nosso Senador, outros Deputados, que farão parte desta Comissão, exatamente para acelerar essa solução. Temos convicção aqui, pelo que foi dito também, de que é preciso, sim, que essas informações cheguem com clareza para a Anvisa, com rapidez. É preciso também que a gente tenha esses testemunhos de que várias crianças estão tendo resultado e que é possível que algumas não consigam.

Uma eficácia média, Senadora Damares, das vacinas é 70 a 90%. Ninguém consegue, às vezes, 100% de resultado, mesmo em vacinações históricas no mundo. Portanto, nem sempre a resposta é igual. É preciso saber que pode ser que alguns não respondam da mesma forma. De qualquer forma, nós estaremos juntos aqui.

A Anvisa é uma instituição absolutamente renomada no país, é uma das instituições que mais exige no mundo, exatamente para a segurança da população, mas, de qualquer forma, precisamos de pressa aqui.

Os protocolos foram criados para dar segurança, mas eles também podem ser revistos, dependendo da situação. É o princípio da razoabilidade, certo? Às vezes, é razoável que você reveja algumas questões, considerando o risco e a evolução rápida dessa doença, que é irreversível. Portanto, nessa discussão de anos, nós perderemos algumas crianças ou a oportunidade de essas crianças terem uma vida boa pela frente.

Então, é uma situação que exige rapidez, exige celeridade, exige um trabalho do Parlamento, sim, até para mediar essa questão e acelerar essas questões, com a ajuda da Justiça.

Eu queria aqui, antes de concluir, deixar o inconformismo de algumas mães que estão presentes aqui. Quando a medicação estava autorizada no Brasil, houve determinação judicial para que várias crianças a recebessem e não houve esse cumprimento do Ministério da Saúde na compra e na disponibilidade, o que, obviamente, trouxe uma grande indignação para as mães. Depois, houve a suspensão e uma série de coisas, mas houve ali uma janela de

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

oportunidades que foi perdida. Portanto, acredito que também deva haver uma resposta do ministério, que, tenho certeza, é sério, com gente competente. Mas nós estamos falando aqui de vidas e aí não tem jeito, nós temos que ir até o fim para encontrar a melhor solução.

Contem conosco, com muita responsabilidade. Meu respeito a todos os técnicos. Nós dependemos muito de vocês e dos cientistas. E que a gente possa dar celeridade, com a liderança da nossa Senadora Damares, para que a gente possa acelerar esse processo de liberar, voltar a liberar essa medicação no Brasil, que é o que nós desejamos hoje.

Muito obrigado. Sucesso a todos vocês e parabéns a vocês, que dão um exemplo aqui de determinação e de luta pela vida.

Obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Deputado Lippi, obrigada.

Eu preciso do senhor de volta ao Congresso Nacional – então, daqui a pouco, o senhor vai levantar, correr e fazer sua campanha –, mas só vou lhe dizer uma coisa, Deputado: essas mães que perderam tinham liminar na mão e não perderam. Claro que a resposta sempre vai ser dinheiro, que não tem dinheiro. Mas eu acho que a gente vai ter que ver, Doutor, sabe o quê? Uma revisão do orçamento da União como um todo, porque os Prefeitos, nos últimos dois anos, gastaram R$6 bilhões em *shows* e eventos. Eu não sou contra *show* nem evento, pelo contrário, adoro forró, gosto demais de chorinho, sou uma pastora que samba, mas a gente vai ter que rever a lógica do orçamento da União no Brasil. Quero cultura fomentada, mas eu tenho vidas que precisam ser salvas.

Dra. Ana... Deputado, fique à vontade. Nós vamos ter algumas participações fora dos convidados...

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, AVANTE, NOVO) - SC) – Senadora Damares.

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

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

O SR. HERMES KLANN (Bloco Parlamentar Vanguarda (PL, AVANTE, NOVO) - SC) – Por favor, eu quero aproveitar esta audiência para anunciar uma iniciativa concreta que acabei de apresentar no Senado.

Acabo de dar entrada em um projeto de lei para aumentar a transparência da Anvisa nos processos de registros de medicamentos destinados a doenças raras, trazendo segurança e informação a todos. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Valeu, Senador! Primeiro fruto desta audiência. Valeu, Senador! Parabéns!

Dra. Ana Almeida, representante da Roche Farmacêutica, para considerações finais.

A SRA. ANA ALMEIDA (Para expor. *Por videoconferência*.) – Perfeito.

Senadora, eu tenho um breve comentário sobre a fala do Dr. João. Serei muito breve.

Então, conforme eu mesma comentei nesta audiência, houve, sim, uma alteração de protocolo e, apesar das alterações, que resultaram no não envio dos dados de eficácia dentro do Estudo 305, a Roche prontamente se mobilizou para apresentar essas análises de eficácia com a mesma população que a gente tinha aqui em nossa bula. Então, a diferença que a gente fala, de que não é o dado original do Estudo 305, é porque não inclui outras populações, porque nós temos acesso aos dados da população de quatro a sete anos. O dado que foi enviado foi para todos aqueles pacientes de quatro a sete anos que fariam parte desse Estudo 305; foi enviado esse dado, esse cálculo é feito pela Roche.

Então, faço uma consideração sobre esses dados dos Estudos 101, 102, 103: eles mostraram um atraso dos pacientes tratados em comparação à história natural – que são aquelas sortes de pacientes não tratados –, então foi visto que eles ainda apresentavam benefício clínico. Embora tenham mostrado uma pequena queda, essa queda ainda diverge do que esse paciente apresentaria se ele não tivesse sido tratado.

Esses estudos, como eu comentei, são todos estudos que são feitos com pacientes de quatro a sete anos, deambuladores, que eram compatíveis com a bula brasileira. A gente tem que lembrar que a gente está falando de uma doença rara, então, muitas vezes, a gente não

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

consegue ter a robustez metodológica de estudos de doenças altamente prevalentes, como uma doença cardiovascular, enfim. A gente tem que entender que fazemos o melhor com o que temos, com as possibilidades que temos, com todos os dados que temos. A gente permanece profundamente comprometido em encontrar um caminho significativo para demonstrar, de forma cada vez mais robusta, o perfil positivo de benefício-risco de Elevidys para os pacientes deambuladores e restaurar o acesso ao Brasil, como eu comentei também – mantemos o nosso compromisso.

Quero agradecer este espaço, quero reforçar a nossa solidariedade aos pacientes e aos seus familiares, reforçar o nosso compromisso e a nossa confiança no benefício clínico de Elevidys e reforçar que a nossa convicção é amparada por uma experiência com mais de 1,2 mil pacientes tratados no mundo. Reforçamos também que a Roche é uma casa de ciência; então, eu reforço o nosso compromisso com a ciência, com a saúde da população e com decisões regulatórias fundamentadas na ciência. E, mais importante, continuamos dedicados ao programa clínico de Elevidys e à disposição para colaborar, sempre com foco no que é melhor para o paciente brasileiro e para a saúde pública.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Doutora!

A SRA. ANA ALMEIDA (*Por videoconferência*.) – Obrigada pelo espaço.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada. Nós vamos nos falar muito ainda, porque o grupo de trabalho vai funcionar. Muito obrigada.

Dr. Paulo Zattar Ribeiro, Médico Geneticista, três minutos para considerações finais.

O SR. PAULO ZATTAR RIBEIRO (Para expor. *Por videoconferência*.) – Olá. Perfeito.

Eu gostaria só de ressaltar que eu vim aqui trazendo informações médicas, clínicas e científicas sobre a medicação. A nossa metanálise é, sim, um estudo que é feito com base em outros estudos, mas essa análise contínua mostrou-se estatisticamente significativa e com *insights* de evidência novos, sendo, portanto, o topo da pirâmide de evidência.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

E aqui eu gostaria de agradecer à Senadora Damares e a todos os envolvidos pela oportunidade de falarmos de condições raras; somos mais de 7 mil condições, cerca de 4% da população brasileira.

Então somos raros, mas somos muitos e, cada vez mais, precisamos de mais acesso, mais oportunidades, mais disponibilidade de discussões como essas.

Muito obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Doutor. Obrigada por ter nos ajudado tanto.

Na sequência, a expositora Deborah do Couto Nobre está presente ainda? Deborah, aperta o microfone de uma cadeira aí. Três minutos para considerações finais.

A SRA. DEBORAH DO COUTO NOBRE RASSELE (Para expor.) – Eu quero agradecer o espaço.

E eu reforço que chegamos até aqui, desde 2024, nós pais, nós pais, de porta em porta. Infelizmente não temos apoio publicamente, nem em paralelo, de associações que dizem nos representar. Que isso fique registrado aqui. Nós contamos com o apoio do Senado. É o Senado Federal do Brasil. Nossos meninos são brasileiros, e eles têm direito à vida e a que a Constituição Federal seja respeitada.

E que as decisões de quem recebeu, as decisões anteriores à suspensão, que não foram cumpridas pelo Ministério da Saúde, e eu volto a essa tecla, sejam revistas. Eles tiveram o direito concedido e foram ignorados, foram negligenciados, e isso custou a vida deles.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Deborah, por sua participação.

Humberto Scherer.

O SR. HUMBERTO SCHERER (Para expor.) – Quero agradecer também, agradecer o convite e por conseguir passar um pouco a experiência que eu vivo diariamente com o Guilherme, diferente de outros estudos. É o dia a dia com ele. Eu sei o que ele está passando.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

E quero dizer que eu acho que essa questão que eu escutei agora ali, da Ana falando, da questão da mudança de protocolo, é por isso que aqui tem a burocracia. Primeiro vocês olham uma página e fazem uma nota de exame. "Tem que alterar isso e isso." Aí eles alteram. "Agora nós vamos olhar a outra." Aí alteram isso e isso. Parece que não é analisado todo um processo. Num todo, diz: "Olha, me manda isso". Depois que eles mandam, eles pedem mais coisa.

Agora ela falou: "Ah, tem que fazer a terceira fase". Nunca foi dito isso nas outras audiências. Tanto que foi aprovado. Essa terceira fase é da EMA, é da Europa, que vocês estão seguindo agora. Os Estados Unidos não seguem.

Esse, o Elevidys, tem oito anos que tem congressos, e o último agora foi em Tóquio, dizendo que os meninos já têm aplicado, em oito anos que fizeram os testes, estão bem. E, para isso, tem pessoas que podem chamar depois, que é o médico que mais aplicou o medicamento no Brasil, a fisioterapeuta que é doutora em distrofia muscular, que vem acompanhando essas crianças, e ela falou – são três exercícios: subir escada, levantar do chão e a corrida de 10m –, em todos, as crianças melhoraram – todos.

Então essa mudança de protocolo é que está causando esse atraso. E ainda pior do que isso é a questão, que eu não consigo admitir, eu sou advogado e não consigo admitir, é o não cumprimento duma sentença. Não é possível. É direito adquirido. Aí as crianças agora... Que nem tem o Paulinho, que fez oito anos, ele não tem mais direito, ele saiu da bula. O que é isso? Infelizmente, a gente tem que seguir uma Constituição, que, quando é para o nosso benefício, é rasgada.

Então eu agradeço muito. E, Senadora, eu espero, de verdade, que a felicidade que eu estou tendo e que a minha família está tendo passe para todas essas famílias, de ter esse ponto de interrogação na vida do Guilherme.

Obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada (*Falha no áudio.*) ... e leva um abraço, Humberto, para o seu menino, lindo o seu menino.

Dra. Viviane, considerações finais, três minutos.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES (Para expor.) – Senadora, antes de eu finalizar, eu queria fazer um questionamento para o representante da Anvisa.

Porque, segundo o termo de compromisso, no item 6, o cronograma, tem um relatório periódico, que seria o relatório periódico de monitoramento de registro de produtos e terapias avançadas, o relatório anual sistematizado de avaliação crítica para confirmação periódica dos benefícios e riscos do Elevidys, registrado sob a condição de monitoramento de longo prazo. Tem quatro datas: 28 de fevereiro de 2026, 2027, 2028 e 2029.

E aí eu questiono o seguinte, João: como é que agora você passa essa informação para a gente de que a Roche não entregou os dados dos estudos de eficácia de longo prazo se ela tinha até 2029 para entregar essas informações, segundo o próprio cronograma que vocês firmaram em conjunto?

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR – Perfeito.

Então, o termo de compromisso...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Essa pergunta é muito importante, famílias.

O SR. JOÃO BATISTA DA SILVA JUNIOR (Para expor.) – Está bom.

O termo de compromisso, depois que é registrado, por determinação da legislação, anualmente, a empresa precisa apresentar dados, e aí ela constrói uma série de obrigações que ela mesma define – tá, gente? Tudo isso é definido por ela. Então, ela definiu: "Olha, nós vamos apresentar o Estudo 305 anualmente, nós vamos apresentar um relatório consolidado, que é esse que você está falando, nós vamos apresentar dados, por exemplo, daquele estudo embarque – lembra, do 301? –, também os dados anuais". Então, ela faz uma série de obrigações, isso é estabelecido em um termo, depois é feito um procedimento da procuradoria e é fechado o registro assim. Então, anualmente ela tem que apresentar dados.

Então, ela apresentou. Por exemplo, já apresentou, já tem dois anos de monitoramento, então ela apresentou os dados do embarque... A questão foi que, quando é agora, depois que as investigações terminaram, das mortes e tudo, que ela teve que apresentar o 305, ela

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

simplesmente apresentou o relatório faltando, e nós tivemos que entrar no relatório e ver que faltou, aí a gente questionou; mas ela estava cumprindo, porque senão tinha sido cancelado antes, certo? Ela estava cumprindo. Por que o 305 não foi cumprido? E aí nós discutimos toda essa questão.

Eu gostaria até de aproveitar, Dra. Viviane, a Dra. Daniela já colocou, a gente está finalizando o parecer, que vai ser público, o parecer vai ter todos esses detalhes. Foi até bom estar aqui, porque a gente pode até aprimorar alguns detalhes que a gente não queria colocar, mas talvez seja interessante para que vocês compreendam a parte técnica que foi avaliada e a seriedade que é um produto como esse, que é uma terapia gênica, que altera o material genético das células do indivíduo, que é uma dose só e nunca mais você tira esse produto da célula, como é importante você monitorar. Quando a empresa demonstra que ela não tem condições de fazer esse monitoramento, porque ela rompeu unilateralmente com esse monitoramento, surge uma preocupação, não é?

Então, esse é o teor que a gente precisa dar para essa discussão. Não é uma discussão simples, eu sei que as famílias... A gente precisa lutar, eu acho que o Senado tem um papel muito importante, a Anvisa também, para ter pesquisas clínicas neste país, para trazer, atrair pesquisas para cá, mais empresas possam vir registrar esses produtos, mas a gente tem que ter seriedade para não brincar com a promessa para as pessoas, e às vezes não é isso que a gente tem.

Então, eu acho que é um pouco esse o compromisso nosso.

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

Para terminar, Viviane.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES (Para expor.) – Eu entendo, sabe, João, com todo o respeito ao trabalho da Anvisa... Eu sou fã do trabalho da Anvisa e sempre também estive nas outras audiências em que você esteve aqui e apresentou todos os dados. Mas eu questiono essa exigência tão forte nessa pesquisa do Elevidys porque nas outras terapias, inclusive na terapia gênica do Zolgensma, não se apresentou dessa forma. E a gente teve desfechos completamente

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

diferentes, ao longo do tempo, como a gente também tem, graças a Deus, a história natural da doença completamente modificada: a gente tem criança hoje que anda; a gente tem criança hoje que fala. Então, do jeito que se está fazendo com o Elevidys, a gente está também tirando uma possibilidade de que essas crianças venham a se desenvolver de uma forma diferente, que elas possam ter qualidade de vida.

A gente não pode pensar que vai restabelecer a saúde da criança como um todo, porque nada na medicina diz isso, mas a gente tem que garantir qualidade de vida, oportunidade. Então, a gente precisa pensar nisto também: no tanto que a Anvisa, de repente, está sendo tão rígida num cenário em que a gente pode... O próprio laboratório se comprometeu com os resultados que vão ser apresentados. Então, eu acho que esse é um ponto que a gente precisa questionar e não fechar as portas, como foi esta semana, com essa bomba que caiu aí no colo de todo mundo.

Essa discussão não fica só no Elevidys, a gente vai fazer para as doenças raras. Certamente, essa maneira que está sendo feita agora vai reverberar em outras situações de doenças raras.

Eu agradeço a oportunidade, agradeço à Senadora.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada. Dra. Viviane, já a convido para participar do nosso grupo de trabalho.

Deputado, antes que o senhor saia, eu prezo muito pela transparência das minhas ações e do nosso trabalho. Eu não recebo indústria farmacêutica em meu gabinete porque eu lido com a pauta, mas eu sei que é nela que está a resposta para os nossos problemas. Então, todos os meus diálogos com a indústria farmacêutica ou são em audiência pública ou são em congressos, com todo mundo assistindo. Mas, nesse grupo de trabalho, a gente tem que trazer a indústria. Então, eu quero determinar que as nossas reuniões do grupo do trabalho sejam todas gravadas e documentadas, para a gente não ter nenhuma acusação, no futuro, de conflitos de interesse. Vou deixar isso bem claro, e o Deputado vai fazer parte do nosso grupo de trabalho.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Todos os nossos convidados falaram, a representante do Ministério da Saúde não pôde continuar até o final e eu tenho alguns pedidos de fala aqui. Eu só vou dar dois minutos. Eu tenho um horário para encerrar, e a gente já passou muito do horário.

A gente vai começar ouvindo.... O João Miguel continua ainda aqui? O João Miguel, da Fiocruz, está aqui ainda? João Miguel, aperte o microfone. Para a Fiocruz, três minutos. O.k., João Miguel? Não vai se encerrar aqui. Se a Fiocruz quiser fazer parte do grupo de trabalho também, a gente vai convidá-la.

O SR. JOÃO MIGUEL ESTEPHANIO – Muito obrigado, Exma. Senadora Damares Alves.

Nesta manhã, eu me emocionei muito aqui com as famílias. Eu tenho um filho de 6 anos e eu me coloquei, mesmo que de maneira empática, no lugar das famílias. Então, eu queria pessoalmente colocar a nossa instituição à disposição para tentar resolver.

Infelizmente, a Fiocruz ainda não consegue ajudá-los. Ainda, porque nós estamos desenvolvendo uma plataforma de terapias avançadas em parceria com a Anvisa, em parceria com atores internacionais, para conseguir trazer a produção desse tipo de medicamento aqui para o Brasil e não ficar dependendo mais de indústrias internacionais, para conseguir trazer autonomia, segurança sanitária e um acesso mais rápido para as famílias.

Queria deixar essa mensagem e também colocar a instituição à disposição para o grupo de trabalho, para discussões que porventura possam ter, tanto pelas famílias quanto por esta Casa.

Muito obrigado.

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

Na sequência...

A Vereadora Luzia das Graças já falou, não já?

(*Manifestação da plateia.*)

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vai lá... Sim, Vereadora.

A SRA. LUZIA DAS GRAÇAS DE SOUSA CUNHA – Eu acho que, diante de todas as discussões, a questão da hipótese desse grupo de estudo é de suma importância. Vale ressaltar que, hoje, neste país, quando nós tratamos de município, nós temos lá os Prefeitos e os Vereadores; tratando-se de estado, nós temos os Deputados Estaduais e os Governadores; mas, tratando-se de Brasil, de federal, nós temos, realmente, os Senadores, os Deputados, o Presidente da República. E vale lembrar que tanto a Anvisa quanto os outros ministérios têm que andar juntos com os Senadores e os Deputados. Afinal de contas, o papel do Senador e do Deputado é muito importante neste país e têm que partir deles também as decisões.

Então, eu peço mesmo que esse grupo realmente avance, porque a gente está olhando a situação do Tiago, mas são inúmeras crianças que estão nessas condições. Se vocês não só dependerem da Roche para apresentar esse estudo, de repente a própria Anvisa, o Ministério da Saúde, monta uma equipe para fazer o acompanhamento, para que tenha uma solução.

Então, vamos pensar: em nível do país, quem pode tomar as decisões? Simplesmente, uma empresa não pode. Acima disso, nós temos os Senadores, os Deputados, o Presidente, que têm que realmente intervir nessa situação, e não deixar que as coisas aconteçam como estão acontecendo. Simplesmente, analisam um documento de forma abstrata e trazem uma solução que mexe com a vida de todo mundo e condena à morte um monte de crianças.

Então, nós não estamos tratando só de documento, nós estamos tratando de vidas. E nós, legisladores, Senadores, Deputados... Vamos lá, nós estamos em período eleitoral. Vamos aí cutucar os Deputados, o Presidente da República, os Senadores; pôr os Ministros aí para pensar. Se juntar, dá certo.

E vamos reduzir gasto no país com aquilo com que se está gastando à toa e investir realmente em medicação para essas crianças poderem viver. E essas mães, como a Fabrícia, lá de Rio Manso, que têm criança de oito anos de idade? E aí, no caso dela, o filho dela vai morrer porque passou da idade?

Então, gente, vamos pensar nessas crianças aí que já passaram de 7 anos de idade.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

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

Vereadora, leve para todo mundo do Município de Rio Manso o meu abraço.

Na sequência, nós vamos ouvir a Vereadora do Município de São Tiago, por dois minutos, Mariana Lourdes Vieira Silva.

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA – Boa tarde a todos aqui presentes, minhas considerações a vocês. Quero agradecer a oportunidade.

Eu tinha até trazido alguns eslaides para serem apresentados, mas, devido ao tempo, não foi permitido.

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

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA – Então, vou fazer aqui algumas considerações.

A Dra. Luciene Bonan disse – abro aspas –: "A situação hoje da oferta ou do acesso de vocês junto à judicialização é o pior cenário" – fecho aspas. A meu ver, o pior cenário é o atual, é hoje a situação das nossas crianças.

O Ministro Padilha também disse – abro aspas –: "Às vezes, um juiz de primeira instância toma uma decisão que o comitê técnico-científico não tomou" – fecho aspas.

Com todo o respeito, agências reguladoras também erram. Se não fosse assim, não tinha avião caindo, não tinha Banco Master. Nós temos a Anvisa, e nossas crianças estão morrendo. Por favor, gente, tenha compaixão das nossas crianças.

E a Anvisa? O que tem feito o Ministério da Saúde? Iniciativa regulatória para dificultar a judicialização? É documento público e está no *site* da Anvisa. A gente até trouxe aqui, para quem quiser acompanhar. Tem o endereço, tudo certinho, porque está lá a prova – a prova, não –, no *site*, o endereço correto. Fala sobre pressão no orçamento, sustentabilidade financeira, benefício restrito de pacientes.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Mas está na Constituição: a saúde é direito de todos e dever do Estado. Todos temos direito à vida, somos iguais perante a lei, não para quem apenas o tratamento cabe no orçamento.

Olhem esta evidência: quatro dos cinco responsáveis pela tal análise não são do Ministério da Saúde, mas sim do Ministério da Fazenda. Análises totalmente técnicas, científicas e imparciais? Para o povo brasileiro, as máscaras estão caindo. Consequência: crise de credibilidade; gente bebendo detergente; vacinação despencou; comentários no Instagram da agência desativados. Não adianta só culpar as redes sociais sem assumir a responsabilidade. Isto aqui não é um ataque à Anvisa, é um pedido de socorro pelas nossas crianças.

Fica aqui a nossa última pergunta: na hora que a gente atingir, conseguir esses R$17 milhões – porque eu tenho certeza de que vamos conseguir –, o que será feito? Teremos que levar nossas crianças para o exterior ou poderemos medicá-las aqui? Fica aqui essa indagação.

Quero aqui, para todos os brasileiros, pedir atenção, diante da omissão do Estado, para que ajude o Davi, para que ajude todas as crianças que precisam desse medicamento.

Muito obrigada. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vereadora, que bom que eu lhe dei a palavra!

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA – Eu já estava preocupada, porque eu precisava desse momento!

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Que bom, Vereadora!

Deputado, que interessante os Vereadores terem vindo e com recurso próprio, né?

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA – Com certeza.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vindo com recurso do município ou recurso próprio, porque o Senado não pagou. Não tem como.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Parabéns aos Vereadores que estão aqui. Parabéns! Muito obrigada. Mostraram compromisso com o eleitorado de vocês lá, mas mostraram compromisso com a saúde de todas as crianças do Brasil.

Obrigada, Vereadora Mariana.

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA – Eu que agradeço.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Na próxima audiência, a gente vai pôr os Vereadores todinhos aqui na mesa.

A SRA. MARIANA LOURDES VIEIRA SILVA – Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos ouvir agora Fabrícia Geralda, mãe do Tiago Geraldo.

Por três minutos, Fabrícia, o.k.? Nós estamos com o tempo bem, bem, bem...

A SRA. FABRÍCIA GERALDA DO AMARAL – O que eu tenho a dizer é que meu filho precisa de tratamento. Ele tem 8 anos, vai fazer 9 no dia 28 de outubro agora. Então, nós estamos correndo contra o tempo. Ele tem as suas limitações? Tem. Ele é um menino forte aparentemente, ele gosta de brincar, ele gosta de correr, ele gosta de andar de bicicleta. Mas, depois, enquanto a idade dele passa, vai só avançando, ele não vai conseguir fazer isso mais. Ele tem sonhos, ele tem sonhos de dirigir um caminhão. (*Manifestação de emoção.*) Ele tem a vontade de ajudar o pai dele, porque o pai dele levanta às 4h da manhã todos os dias para tirar leite, porque nós vivemos da coisa rural, da agropecuária.

Então, é isso. Dinheiro, nós não temos; nós fazemos vaquinhas. O dinheiro com que eu paguei minha passagem para vir aqui hoje foi de ajuda do pessoal, de doações, porque a nossa renda familiar é pouca, sabe?

Então, é isso que eu deixo aqui para vocês. O meu filho tem sonhos, ele quer viver e quer que os sonhos dele se realizem.

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

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. FABRÍCIA GERALDA DO AMARAL – Ele quer dirigir um caminhão, porque ele é doido por caminhão.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Fabrícia, leve um abraço para o Tiago. Obrigada por você ter vindo. (*Palmas.*)

Fabrícia, diga para o Tiago que ele tem uma Senadora aqui, que ele pode me chamar para tomar leite com ele lá na roça.

Que Deus te abençoe e parabéns por tua coragem, Fabrícia! Parabéns e obrigada por ter vindo. Nós não vamos deixar o Tiago para trás. Muito obrigada, Fabrícia.

Roseane Aragão da Silva Simões, responsável pelo paciente Lorenzo Aragão da Silva.

És tu?

(*Manifestação da plateia.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Três minutos, no máximo. Porque essa mãe fala!

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES – Ai, é que eu fiquei muito...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos, Roseane: três minutos.

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES (*Fora do microfone.*) – O que eu peço é um apelo...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O microfone está ligado?

A SRA. ROSEANE ARAGÃO DA SILVA SIMÕES – O que eu peço é um apelo por mim e por todas as mães e pais que não estão aqui, mas eu vou falar por todos. Eu quero pedir para o Ministro Padilha: olhai, Ministro Padilha, pelos nossos filhos. Nossos filhos são raros, mas são nossos. É o futuro do Brasil!

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Eu sou brasileira e eu quero bater no peito que eu sou brasileira, mas eu também quero que vocês olhem pelo futuro do nosso país. Nossos filhos merecem ter uma chance. E eu peço, encarecidamente, a todos – Deputados, Senadores, ministros –: olhai pelos nossos filhos. Nossos filhos não são papéis em cima de uma mesa, são vidas; e, da vida deles, para a gente, vale cada momento – se for uma hora a mais, para a gente vale.

Muito obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada. Obrigada, Roseane. Obrigada. (*Palmas.*)

Natalia Peres Jordão, mãe de paciente com distrofia muscular de Duchenne, a mãe brava. Mãe do Arthur, não é?

A SRA. NATALIA JORDÃO – Eu sou a mãe do Arthur e sou irmã...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Natalia, deixe-me só chamar a atenção do Brasil: ela passou a audiência inteira segurando o terço na mão; o tempo todo ela estava aqui orando por todos vocês. Isso me emocionou muito, Natalia. Você estava rezando pelos filhos das outras, pelo seu filho, pelo Brasil. E eu sei que você estava rezando para que Deus também dê lucidez para esse grupo, que quer dar resposta.

Obrigada por você ter vindo.

Uma mãe brava. É assim que eu gosto: uma mãe brava.

Natalia, você tem três minutos. Pode ser?

A SRA. NATALIA JORDÃO – Pode.

Eu estou hoje aqui como mãe, mas também como irmã. (*Manifestação de emoção.*) Há 14 anos eu enterrei o meu irmão, pela Duchenne, com 20 anos de idade. Meu irmão dependia da gente para tudo: para comer, para ir ao banheiro, para se coçar.

Eu não aceito assistir a essa história, eu não aceito isso se repetir com o meu filho.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Hoje a Anvisa falou em falta de eficácia e segurança, mas ouvimos aqui a Roche apresentar eficácia robusta, estudos independentes corroborando esses dados e pais brasileiros relatando resultados em seus filhos.

Elevidys não é cura. Nunca falamos isso. É um freio.

Eu vou exemplificar o que é a Duchenne. A Duchenne é como um carro descendo um barranco. Mesmo com o freio, ele vai continuar descendo. Mas desce mais devagar. E é isto, é só isto que nós queremos: desacelerar a doença e preservar movimentos e ganhar tempo com os nossos filhos.

A progressão existir não significa falta de eficácia. A pergunta é: onde essas crianças estariam sem o tratamento? Aqui onde está o meu irmão hoje: num caixão.

Segurança é fundamental, mas benefício e risco também precisam ser considerados, considerar-se o risco de não tratar. Na Duchenne, ficar sem tratamento também traz consequências irreversíveis. Volto a falar do meu irmão, Ricardo Magalhães Jordão Júnior, enterrado aos 20 anos de idade.

A própria Anvisa registrou o Elevidys. O Ministério da Saúde aprovou a licitação de 127 doses; só 17 receberam. Cadê o resto? E quando a gente questiona o Ministério da Saúde... Essas citações que a Vereadora fez foram da minha cidade, Sorocaba. O Ministro esteve lá e pediu para a rádio não perguntar sobre o Arthur Sorocaba. Não é para falar sobre o Arthur Sorocaba. Não é para falar sobre a Duchenne. Por quê?

E, quando eu encontrei com ele no lançamento da candidatura do Lula – eu fui até lá, atrás do Presidente –, ele perguntou: "O que a senhora faz aqui?". Falei: "Eu vim salvar o meu filho e os meninos com a Duchenne".

Olha o que o Ministério da Saúde fez. Oito meses. A minha família entrou em isolamento. Eu tenho mais duas filhas: Isadora, de 13 anos, e Isabella, de 9. Elas foram morar com os meus pais. Ficamos só eu, meu marido – aquele que fala alto – e o meu filho, preso dentro de casa.

O meu marido é chefe de cozinha. Ele deixou de trabalhar para levar o meu filho em todas as terapias – são duas por dia. O meu custo chega a R$10 mil mensal para manter, enquanto nas

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

publicações da CNN eles colocam: "Vai trabalhar para comprar a medicação". Não consigo. Nem vendendo a minha alma eu consigo. Não consigo. E ninguém aqui tem esse dinheiro. E eles falam: "Vão trabalhar". E para pagar R$10 mil por mês para manter o meu filho? É só trabalhando e muito, pedindo ajuda para a minha família, senão eu não estaria aqui.

Bom, meu filho tinha a decisão, e não foi cumprida. Depois, veio a suspensão, um ano de espera e agora o cancelamento. Conversando com outros advogados e até públicos, funcionários públicos falaram para mim assim: "Essa decisão do Ministro Gilmar Mendes é, vamos dizer, exótica, para não dizer errada", porque tinha que ter uma votação colegiada. Houve uma denúncia da AGU, suspenderam todas as decisões. Como assim? Se eu não cumprir uma decisão, o que acontece comigo, com todo mundo que está aqui, Senadora, com a senhora?

Bom, por isso eu faço um chamado: Ministério da Saúde, aja como Ministério da Saúde. Precisamos de uma resposta e de um caminho. Meu irmão não teve essa oportunidade. Meu filho ainda tem.

Na Duchenne, tempo é músculo e o tempo dos nossos filhos não pode esperar.

Obrigada. (*Palmas.*)

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

Josias de Lara, Presidente da Associação Casa Arthur Sorocaba, o homem bravo. (*Risos.*)

Que casal, que casal! Incrível, incrível!

O SR. JOSIAS DE LARA SILVA – Eu agradeço imensamente a presença de todos e eu quero só fazer uma colocação: no Brasil não há pena de morte. Eu acho que nós precisamos sentar, a Anvisa, o Ministério da Saúde, os órgãos competentes, e analisar tudo o que está acontecendo, porque no Brasil não há pena de morte. Nós não podemos deixar os nossos meninos morrerem. É apenas isso.

Que Deus abençoe a todos! Eu sou muito seu fã, Senadora. Deus a abençoe!

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada. Eu quero um abraço no final.

O SR. JOSIAS DE LARA SILVA – Agradeço também ao nosso amigo Vitor Lippi, ao Deputado Vitor Lippi, que é muito presente na cidade de Sorocaba e região nesta luta das doenças raras. A gente não tem como agradecer a todos.

Que Deus abençoe! Obrigado. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Josias, muito obrigada.

Emmanuelle, mãe de Paulo Varela.

Emmanuelle, três minutos, tá?

A SRA. EMMANUELLE VARELA – O.k.

Boa tarde. Boa tarde, Senadora.

A minha pergunta vai para o Ministério da Saúde, que não está mais presente.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Mas eu mando por *e-mail*, se for preciso.

A SRA. EMMANUELLE VARELA – Isso. E aí eu gostaria também que isto fosse pauta do grupo de estudos. Eu fiz essa pergunta para ela pessoalmente na última audiência, do dia 16 de junho, e ela não soube me responder.

Meu filho Paulo teve decisão em novembro de 2024, e o Ministério da Saúde teve oito meses para cumprir a decisão do STF – decisão do Ministro Fux e, depois, decisão da Primeira Turma, em que foi votado. O meu processo já transitou em julgado e não tem mais o que fazer a não ser cumprir, e não foi cumprido.

E sabem o que eu ouvi? Eu falei na outra audiência e vou falar novamente, porque isso que ouvi não se diz a ninguém, assim como o que a Deborah ouviu ontem. Eu ouvi que o remédio de que meu filho precisa onera os cofres públicos, e por isso a demora.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

E aí a minha pergunta é: o que vai acontecer com todo esse tempo perdido, com a decisão que o meu filho e outros meninos aqui – está aqui o filho dela, o Bryan Kaleb, e outros meninos –, que têm decisão antes, em 2024... Eles completaram 8 anos. O meu filho completou 8 anos no dia 16 de maio. E aí, o tempo dele acabou? Ele não tem mais direito por irresponsabilidade do Ministério da Saúde, porque o remédio de que ele precisa é caro e onera os cofres públicos. Esse é o meu grande questionamento. E eu também não tenho dinheiro para ir para fora do país.

Faço uma ressalva em relação ao que foi falado em relação à Anvisa de que as crianças cadeirantes não estão mais tomando. Estão tomando, sim, fora do país, porque nós temos um menino brasileiro que voltou, tomou o Elevidys lá. Teve que sair daqui para tomar nos Estados Unidos! Ele é cadeirante, voltou e está superbem. Tem outros meninos também que estão lá, alguns já estão na cadeira, e o seguro saúde está pagando para poderem receber; ou seja, os brasileiros estão tendo que sair daqui para poder receber algo lá, porque aqui não está sendo cumprido, nem com decisão do Supremo – nem com decisão do Supremo!

Mas por quê? É como Natalia falou também: não tem pena. Não cumpriu, não tem multa, não tem nada, fica por isso mesmo. E quem perdeu? Eu e meu filho. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada. Obrigada, Emmanuelle. Forte.

O SR. HUMBERTO SCHERER (*Fora do microfone.*) – Só dez segundos, bem rapidinho...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Dez segundos. Vou começar a contar.

O SR. HUMBERTO SCHERER – Só complementando o que ela falou (*Fora do microfone.*), o que acontece... Eu acredito que tem alguma coisa errada, e tenho ajudado o pessoal, porque eu me sinto quase como se fosse culpado de uma coisa que a lei me deu. Tudo começou, a suspensão começou na hora que o Guilherme, que foi o primeiro que recebeu 100% custeado pela União, tirou o dinheiro dos cofres. Antes, o Enrico, foi uma porcentagem só. Eles tinham feito uma vaquinha e conseguiram acho que R$11 milhões, e o Governo custeou... Quando saiu os 17, que é o total, deu os 19, a bagunça começou.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Por isso que, assim, eu me sinto culpado por ter, às vezes, pedido um medicamento para o meu filho e parece que está prejudicando os demais.

(*Manifestação da plateia.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Não, não.

A SRA. NATALIA JORDÃO – E é bom complementar o que o Humberto falou: é que nós ganhamos, também, muitas famílias dos convênios médicos, mas o convênio não é obrigado a pagar porque está suspenso. Então, falta uma lógica, uma vontade de ajudar, todo mundo sentar e resolver. E quando a gente pede para o Ministro, ele fala que vai resolver – na frente das câmeras –; desligou as câmeras, ele trata a gente mal.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Viviane.

Depois a Manu, a última a falar; e a Lauda. E a gente encerra.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES (Para expor.) – Isso é bem verdade, porque a gente não... Tendo a Anvisa, a gente pode também buscar o remédio contra os planos de saúde.

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – Nós ganhamos, temos a decisão.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES – A gente conseguiu efetivar o plano de saúde, mas, na hora que sai o registro da Anvisa, a gente vai perder todas as ações. A gente não tem como segurar essas ações.

A SRA. NATALIA JORDÃO (*Fora do microfone.*) – Fora o custo de cada ação.

A SRA. VIVIANE GUIMARÃES – Exatamente.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Obrigada, Dra. Viviane.

Manu, que é do Nordeste. A Manu está aqui ainda?

A SRA. EMMANUELLE VARELA – Sou eu, Emmanuelle.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Já falou. Pronto, Manu, já falou.

Lauda, pela Febrararas.

Você está aqui participando de todos os debates. Às vezes ela fica quietinha, mas eu acho que ela, em dois minutos, consegue colocar tudo.

A SRA. LAUDA SANTOS (Para expor.) – Nossa, Senadora, eu já chorei... Eu saí de casa com um pensamento, chego aqui e escuto umas histórias incríveis... É muito complicado.

Eu já estive do lado de cá, como vocês estão hoje. Quando minha filha teve o diagnóstico, não tinha tratamento. Eu tinha que levar dólares na Varig e eles traziam o medicamento para minha filha. Hoje a gente tem essa oportunidade gigante de tratar essas crianças.

Eu li a nota de cancelamento da Roche e fiquei agoniada. A gente começou a conversar isso ontem às seis e meia da manhã. A Tatiana, que trabalha com a Senadora, entrou em contato comigo. A Senadora angustiada... Foi um dia de muita angústia para mim ontem. Hoje eu não estou melhor. Hoje eu só piorei escutando vocês. Ter que sair do país, que a gente vota em vocês, que a gente assina embaixo, que a gente vai lá e valida, e a gente não ter esse direito garantido? O que é isso, gente? Do que a gente está falando? De burocracia? De papel? Duvido que a Anvisa esteja vivendo o que essas mães vivenciam! Sabe que está lá, que vê a dificuldade dos filhos. A gente vê que é oportunidade de jovens. A gente está falando de criança, de primeira infância, a gente está falando de uma juventude...

Olha, eu estou péssima. Eu estou péssima. Eu não sei, eu achei, assim... Eu li e, quando eu li, eu falei assim: "Gente, a preocupação da Roche é muito positiva", porque ela está preocupada com a vida das crianças, com o bem-estar dessas crianças, que elas não morram, que elas não usem o medicamento, porque depois vai ficar pior.

Gente, é uma loucura tudo isso. Eu não sei. Juro, eu não sei.

Eu quero fazer parte deste grupo de trabalho...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Sim, a Febrararas é importante.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. LAUDA SANTOS – Eu acho que é extremamente importante a Federação estar presente. Porque o papel da Federação, acima de qualquer coisa, é buscar por política pública. A gente tem mais de cem associadas, de norte a sul do Brasil. E quando eu estou falando aqui, eu não estou falando em nome da Lauda nem de Amavi Raras, porque eu presido uma associação.

E, assim, às vezes a gente fala assim: "eu não sou uma associação que representa as crianças raras". Muito pelo contrário, aqui em Brasília tem um grupo de pacientes com Duchenne, mas eles não querem... o núcleo deles é extremamente fechado. Eu ajudo na medida que me permitem ajudar, na medida que me permitem avançar. Eu respeito isso, eu respeito a decisão dos pais.

Eu sou mãe, eu já fui mãe... hoje nominaram a gente como mãe atípica. Eu não sei, a gente é mãe, simplesmente a gente é mãe. Não importa se atípica, se não atípica, e a mulher é muito batalhadora. Eu fico feliz quando eu vejo os pais que estão aqui, que não abandonaram os seus Duchennes, que estão brigando pelo direito do filho. É nisso, gente, eu quero me colocar à disposição.

Estou péssima, não tenham dúvida.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – E olha que ela é tão forte!

A SRA. LAUDA SANTOS – É muito intenso tudo isso, sabe? Eu acho que o direito tem que ser garantido. A gente vota nesse povo todo que está aí no primeiro escalão, em quem tem o poder da caneta – a gente tem o papel, e eles têm a caneta –; eles vão canetar.

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

A SRA. LAUDA SANTOS – E se é uma decisão, gente, vocês que vivenciam o problema e vão... quem recebeu Elevidys, que está bem e que fortalece... Eu fiquei encantada com o Humberto – é Humberto, né? – estar aqui falando. Não é porque o filho dele foi tratado que ele desistiu dos outros, ele continua dando as mãos para vocês. Então, isso é superbacana.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A Dra. Viviane falou muito bem. Tem muita coisa escondida, a gente não consegue ter essas informações. Então, vamos ter transparência, né, gente? Vamos ter caso de vida real e apoiar essas famílias porque eu acho que é extremamente importante.

E parabéns às Vereadoras – Mariana, fiquei sua fã.

Obrigada por tudo, gente.

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

Bem, gente, eu entendo que nós alcançamos o objetivo da audiência...

(*Intervenção fora do microfone.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Um minuto, pai, pelo amor de Deus! Eu tenho que sair correndo.

O SR. VITOR LIPPI (Bloco/PSD - SP. *Fora do microfone*.) – Eu também...

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Vamos dispensar o Deputado Lippi. Deputado, vá embora – ele tem que pegar o voo –, vá embora, Deputado; vá embora.

Vamos aplaudir o Deputado, gente! (*Palmas.*)

Deputado, ganhe a eleição, por favor. Preciso do senhor de volta aqui em Brasília.

O SR. JOÃO ROBSON DE RESENDE – Boa tarde, Senadora. Boa tarde a todos.

Às vezes é muito difícil falar como pai, porque a gente se revolta muito com tudo que tem acontecido, mas eu não posso deixar aqui de fazer as duas críticas que mais me chamaram a atenção, principalmente agora no final. Principalmente, foi entrar no *site* da Anvisa e achar esse documento de que a Mariana falou, em que eles querem limitar um valor – está aqui, são quatro pessoas do Ministério da Fazenda e um da Anvisa. Esse documento não poderia estar lá.

Se apagarem... Já está lá. A gente já viu esse documento e achou um absurdo esse documento estar lá. Tem aqui os dados. É um documento que vê a questão da quantidade hoje

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

de pessoas que recebem esse valor. A gente acha isso um absurdo! Eles compararam isso com a Farmácia Popular. O.k. Eles compararam o valor que é gasto hoje com as crianças com o valor...

Ou seja, dentro de um documento ter isso, eu acho um absurdo. Isso para a gente acabou. Esta semana, quando a gente conseguiu achar esse documento, que é público, está lá – não adianta esconder, está lá. Acho um absurdo! Limitar? A gente ter um valor para entrar na Justiça, até tantos por cento? A saúde é para todos. Isso é um absurdo! Isso não pode acontecer.

E a segunda crítica é a indignação com todas as reportagens que a gente viu de lá para cá. Desde a notícia, foi toda a televisão colocando: "Medicamento que mata foi proibido no Brasil!" Olha o nível da nossa imprensa, porque isso parece que foi um aval para a Anvisa. Isso acabou com a gente. Você ler comentários de gente comemorando que uma medicação milionária foi cancelada?! Isso acabou com a gente esta semana.

Eu não podia deixar de falar, porque, em hora nenhuma, pelo que está acontecendo, a gente conseguiu falar. Mas ver pessoas comemorando e ainda uma imprensa colocar que medicação que mata foi cancelada... Que notícia foi essa?! Então, isso aí acabou com a gente, e a gente não pode permitir.

Agradeço muito, Deputado. Eu também sou muito seu fã e lhe agradeço muito o que você está fazendo.

Esta audiência não vai passar. A gente vai conseguir, tanto para o meu filho, quanto para todos. E, se uma campanha chegar em 17 milhões – eu tenho certeza de que muitas aqui podem conseguir –, a gente vai conseguir tomar essa medicação no Brasil e não vai ter que sair para fora. Gastar o nosso dinheiro, que era para estar aqui, lá fora? Isso é um absurdo.

Muito obrigado pela palavra. Que Deus abençoe!

A gente vai conseguir. (*Palmas.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Ela está com uma criança – e juro que ela é a última.

A Anvisa quer responder sobre o documento ou não?

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

A SRA. DANIELA MARRECO CERQUEIRA (Para expor.) – A gente verificou aqui, Senadora, que o documento é uma análise de impacto regulatório da Cmed (Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos).

A Cmed é um órgão interministerial, formada pelo Ministério da Fazenda, Ministério da Justiça, Mdic, Ministério da Saúde e Casa Civil. A Anvisa faz a Secretaria Executiva da Cmed e é o órgão responsável pela definição de preço-teto de medicamento no Brasil. Por isso são citados representantes do Ministério da Fazenda, porque a Fazenda faz parte da Câmara.

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

Mãe.

A SRA. NATHALLY MENDES SOUSA – Posso falar?

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

A SRA. NATHALLY MENDES SOUSA – Só quero dizer que eu vivi um luto já pelo meu irmão, um luto dele vivo, porque meu irmão tem 30 anos, está acamado, usando respirador mecânico, e a gente quase o viu morrer já duas vezes. Se não corresse para o hospital, não estaria aqui hoje. Hoje ele tem 30 anos, está acamado, e eu tenho o meu filho. Já vivi o luto do meu irmão, vi o sofrimento da minha mãe, que hoje está doente também por causa disso. Hoje eu vivo três lutos então e eu fico esperando. Vou ver o meu filho também? Hoje ele tem 4 anos, e aí eu vou ver também isso?

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – O seu filho tem Duchenne?

A SRA. NATHALLY MENDES SOUSA – Tem.

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Traga ele aqui. (*Pausa.*)

Que menino lindo!

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Enquanto ela traz, pode falar.

O SR. HELIEL CARDOSO – Senadora, eu gostaria de parabenizar a senhora. Eu sou do Rio de Janeiro. Fui Prefeito numa cidade do interior e... (*Pausa.*)

A SRA. PRESIDENTE (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança (PP, REPUBLICANOS) - DF) – Pode falar. É porque ele não quer vir ver a tia.

O SR. HELIEL CARDOSO – Eu quero dizer o seguinte: a Senadora e alguns políticos estão fazendo um brilhante trabalho, mas eu acho que esse trabalho não pode simplesmente parar e esperar a ação desses políticos que estão aqui, não.

Eu não tenho filho, não tenho parente nenhum com essa enfermidade, mas eu gostaria de sugerir aos pais que partissem para uma manifestação. Eu faço isso. Eu venho do Rio de Janeiro, vou ajudar e contribuir para quem não tem condições, para a gente montar um acampamento em frente à casa do Presidente Luiz Inácio Lula da Silva e fazer um revezamento de água, comida e saída das pessoas, para que Lula possa ouvir as famílias, porque isso nada mais é do que uma ação política. Essa é a minha opinião. Está aqui a minha opinião aos pais e aos familiares. Se depender da minha presença e da minha ajuda, eu estarei disposto a contribuir, está bom?

Muito obrigado.

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

Eu quis beijar o Ariel, porque ele ficou a audiência toda brincando aqui. Vocês viram? Que menino lindo! Ariel tem direito a continuar brincando lindo desse jeito.

Obrigada, mãe, e obrigada, avó, por terem trazido o Ariel.

Nós vamos ficar firmes aqui. Eu lamento a perda do tio.

Mãe, que Deus te conforte, te console! Mas nós vamos continuar essa luta aqui.

Eu considero que a gente alcançou, Senadora, o objetivo da audiência, e não vai se encerrar aqui.

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820

Agradeço a todos que vieram: Anvisa, que teve a coragem de enfrentar o debate aqui; Roche, Ministério da Saúde; a todos.

E a gente vai ficar dando retorno para todos vocês do grupo de trabalho.

Secretário Dimitri, posso, de ofício... Permita-me nomear a Flávia Coordenadora do grupo de trabalho – pode ser? – a Flávia, com a ajuda da Tatiana lá do gabinete, que entende de doenças raras. Então, o grupo de trabalho tem uma Secretária-Executiva, a servidora do Senado Dra. Flávia.

Assim, gente, nada mais tendo a tratar... Estou feliz com todos vocês que vieram de tão longe. Obrigada por terem acreditado nesta Comissão. Só lamento a macabra coincidência. Esta reunião já estava agendada há muito tempo – não estava, Senador? –, e ter sido nesta semana o cancelamento. Eu não sei se foi uma macabra coincidência ou se Deus permitiu que a gente desse mais visibilidade ao que aconteceu, nesta semana no Brasil. E isso está tirando o sono de muitas famílias e, possivelmente, tirando o sonho de muitas crianças.

Nada mais tendo a tratar – agradeço, inclusive, à Secretaria e a todos os convidados –, eu declaro encerrada esta audiência pública. (*Palmas.*)

(*Iniciada às 9 horas e 13 minutos, a reunião é encerrada às 13 horas e 43 minutos.*)

Assinado eletronicamente, por Sen. Damares Alves

Para verificar as assinaturas, acesse https://legis.senado.gov.br/autenticadoc-legis/1270308820