



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 53ª REUNIÃO, EXTRAORDINÁRIA, DA COMISSÃO DE DIREITOS HUMANOS E LEGISLAÇÃO PARTICIPATIVA DA 3ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 01 DE SETEMBRO DE 2025, SEGUNDA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR NILO COELHO, PLENÁRIO Nº 2.

Às dez horas do dia hum de setembro de dois mil e vinte e cinco, no Anexo II, Ala Senador Nilo Coelho, Plenário nº 2, sob a Presidência do Senador Flávio Arns, reúne-se a Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa com a presença do Senador Paulo Paim, e ainda dos Senadores Izalci Lucas, Nelsinho Trad e Oriovisto Guimarães, não-membros da comissão. Deixam de comparecer os Senadores Ivete da Silveira, Giordano, Sergio Moro, Marcos do Val, Plínio Valério, Cid Gomes, Jussara Lima, Mara Gabrilli, Jaime Bagattoli, Magno Malta, Marcos Rogério, Astronauta Marcos Pontes, Fabiano Contarato, Rogério Carvalho, Humberto Costa, Tereza Cristina e Damares Alves. Havendo número regimental, a reunião é aberta. Passa-se à apreciação da pauta: Audiência Pública Interativa, atendendo aos requerimentos REQ 84/2025 - CDH, de autoria Senador Flávio Arns (PSB/PR), Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF), e REQ 98/2025 - CDH, de autoria Senador Flávio Arns (PSB/PR), Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF). Finalidade: Debater a oferta da medicação nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q tipo 3, em pacientes com capacidade de deambulação. Participantes: Andréa Joana da Silva Gomes, Mãe de duas crianças com AME 3; Juliana Pereira França Ferreira, Paciente com AME 3; Vanessa Nicolao, Representante da Associação de Pacientes residentes do Instituto de Apoio e Cuidados às Pessoas com Atrofia Muscular Espinhal – PROCLAME; Ana Angélica R. de Lima, Fisioterapeuta; Felipe Franco da Graça, Médico Neurologista; e Natan Monsore, Coordenador de Doenças Raras do Ministério da Saúde. Resultado: Audiência pública realizada. Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às doze horas e quatro minutos. Após aprovação, a presente Ata será assinada pelo Senhor Presidente e publicada no Diário do Senado Federal, juntamente com a íntegra das notas taquigráficas.

Senador Flávio Arns

Presidente Eventual da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Esta reunião está disponível em áudio e vídeo no link abaixo:
<http://www12.senado.leg.br/multimidia/eventos/2025/09/01>

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. Fala da Presidência. *Por videoconferência.*) – Declaro aberta a 53ª Reunião, Extraordinária, da Comissão de Direitos Humanos e Legislação Participativa da 3ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura.

A audiência pública, no dia de hoje, será realizada nos termos dos Requerimentos nºs 84 e 98, de 2025, da CDH, Comissão de Direitos Humanos, ambos de minha autoria, todos subscritos por esta Presidência, para debater sobre, abro aspas: "A oferta da medicação nusinersena para atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo 3, em pacientes com capacidade de deambulação".

A reunião será interativa, transmitida ao vivo e aberta à participação dos interessados por meio do Portal e-Cidadania, na internet, em senado.leg.br/ecidadania, ou pelo telefone da Ouvidoria, 0800 0612211.

Quero, de imediato, dar as boas-vindas aos convidados, que já estão presentes remotamente: Felipe Franco da Graça, médico neurologista – seja muito bem-vindo, é uma alegria tê-lo nesta audiência –; Juliana Pereira França Ferreira, paciente com AME 3 (atrofia muscular espinhal 3); Ana Angélica R. de Lima, fisioterapeuta – seja bem-vinda também –; Vanessa Nicolao, representante da associação dos pacientes residentes do Instituto de Apoio e Cuidados às Pessoas com Atrofia Muscular Espinhal (Proclame); Andréa Joana da Silva Gomes, mãe de duas crianças com AME 3 (atrofia muscular) – eu sempre falo AME e lembro atrofia muscular espinhal para as pessoas que nos acompanham; eu sou assim a favor de que a gente sempre fale por extenso para que todo mundo acompanhe. AME 3 –; e a representação do Ministério da Saúde.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Quero dizer aos que já chegaram que sejam bem-vindos e bem-vindas novamente. Quero enfatizar isso. Estamos aqui para dialogarmos, discutirmos, vermos os desafios e acharmos soluções, construirmos soluções. Inclusive, quero, de imediato, para contextualizar para todos e todas que nos acompanham pelos meios de comunicação do Senado, ler a justificativa do requerimento bem rapidamente. É uma página de justificativa.

Passo a ler, então, essa justificativa.

A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença neuromuscular que causa fraqueza muscular progressiva e consequente perda de movimentos. Nusinersena é um medicamento que visa a interromper ou retardar a progressão da AME, atuando na causa da doença.

Existem diferentes tipos de AME, sendo os tipos mais frequentes: 1, 2 e 3. Atualmente o SUS somente garante medicamentos na rede pública para os tipos 1 e 2 da AME: Zolgensma, tipo 1; nusinersena, 1 e 2; e risdiplam, 1 e 2.

Quero inclusive parabenizar pela introdução do Zolgensma também, que é um medicamento, é uma revolução que aconteceu nesta área também. E a oferta de tratamento multidisciplinar, que visa a melhorar a função respiratória e a motora, estimular o desenvolvimento infantil e as atividades da vida diária.

A AME tipo 3 é uma doença grave e progressiva e os tratamentos multidisciplinares sozinhos não são capazes de modificar o curso da doença.

O consenso da Academia Brasileira de Neurologia para diagnóstico, aconselhamento genético e uso de terapias modificadoras na atrofia muscular espinhal 5q recomenda o uso de terapias modificadoras de doenças disponíveis para AME tipo 3, entre eles o medicamento nusinersena. Ressalta-se que o medicamento nusinersena é utilizado para AME tipo 3 em diversos países, onde há estudos observacionais, além de relatos de vida real, nos quais o uso do medicamento demonstrou eficácia e que, após o uso da medicação, as pessoas mantêm seus movimentos preservados e conseguem andar com e sem auxílio.

A apreciação inicial do nusinersena para atrofia muscular espinhal AME 5q tipo 3 em pacientes com capacidade de deambulação recebeu o encaminhamento à consulta pública com



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

parecer desfavorável na 141ª Reunião Ordinária da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – desfavorável.

Assim, considerando que o dia 8 de agosto, menos de um mês atrás, é o Dia Nacional da Pessoa com Atrofia Muscular Espinhal (AME), data estabelecida com o objetivo de conscientizar sobre a doença e suas consequências, além de promover a importância do diagnóstico precoce e do acesso ao tratamento, foi proposta a realização desta audiência pública – ainda pensando no mês de agosto, mas não foi possível, mas agora, no início, no primeiro dia do mês de setembro – para debater especificamente a incorporação no SUS de medicação nusinersena para atrofia muscular AME 5q tipo 3 em pacientes com capacidade de deambulação.

Então, essa foi a justificativa do requerimento, em função da necessidade das pessoas, das famílias, da orientação médica, dos relatos vindos de países europeus em que já se adota a incorporação da medicação, e com parecer desfavorável da Conitec.

Aliás, a Conitec havia sido convidada a participar desta audiência pública e declinou do convite, o que é lamentável, porque nós temos agora, inclusive, a Lei 15.120, de 7 de abril de 2025, porque, quando se debate a incorporação de um medicamento, a sociedade especificamente da área, pais, pessoas, profissionais têm que participar deste debate. Nós estamos fazendo este debate público através do Senado Federal, e a Conitec, apesar da lei, declinou do convite para participar.

Eu até sugiro ao Ministro Padilha que dê um bom puxão de orelhas na Conitec pela ausência do órgão neste debate, em desconsideração ao Senado, em desconsideração às pessoas com AME, às famílias, aos profissionais, porque estamos aqui reunidos para acharmos desafios: não vamos parar nesta audiência. Vamos falar sobre isso o tempo todo até que a Conitec, apesar de não estar presente, que deveria estar representada... Lamentamos isto profundamente, que um órgão dessa responsabilidade decline, se negue a participar de uma audiência pública.

Então, o nosso primeiro posicionamento de apelo ao Ministro é de que ele chegue lá na Conitec e diga: "O que está acontecendo? Por que vocês não participaram? Estavam lá as famílias, as mães, os filhos, os profissionais, o Senado". E a Conitec diz: "Não, não vamos participar, declinamos do convite". É um absurdo absoluto, é uma atitude da qual o Brasil tem que se afastar. O órgão público tem a obrigação de escutar, de dialogar, de achar soluções; às vezes as soluções



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

são difíceis, mas tem que se dialogar, conversar, ver o que pode ser feito, e é isso o que a gente gostaria que a Conitec estivesse fazendo, e não declinando do convite.

Então, Ministro Padilha – a quem a gente respeita muito –, eu quero ter uma resposta, como autor desse requerimento, assim como todos os membros da Comissão de Direitos Humanos: por que a Conitec se negou a participar da audiência pública? Inclusive, eu sugiro à Secretaria da Comissão que já faça o ofício para o Ministro, indagando por que a Conitec declinou do convite, não quis participar, se negou a participar desta audiência pública, por favor, já na próxima reunião. *(Pausa.)*

Pois não. *(Pausa.)*

É a Conitec ou o Ministério da Saúde? *(Pausa.)*

Sim, é porque havia dois convidados no requerimento: um deles o Ministério da Saúde, porque o departamento, a Secretaria de Doenças Raras, que é muito importante porque nós estamos falando de uma doença rara, que é a AME (Amiotrofia Muscular Espinhal), de uma situação bem específica... Então, o Ministério da Saúde e o outro representante da Conitec mesmo, da Comissão Nacional, uma pessoa que participe e explique por que houve uma decisão desfavorável em relação àquilo que as famílias desejavam. Então, vamos observar o requerimento, está lá representante do Ministério da Saúde, doenças raras, obviamente, representando a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec).

Muito bem. Então, já feita essa manifestação – para nós, é desagradável quando um órgão declina de um convite para um debate com a sociedade –, já recebemos várias perguntas que eu pedi que fossem transmitidas também aos nossos expositores e expositoras, mas eu passo a ler essas perguntas, para que todos que nos acompanham – que bom! – pelos meios de comunicação, tenham conhecimento do que está sendo indagado.

Elysa, de Mato Grosso: "Como avaliar eficácia em um paciente que mantém a deambulação, mas apresenta progressão muito lenta da AME tipo 3?";

Letícia, de São Paulo: "Quais [...] os critérios clínicos e econômicos que justificam ou dificultam a incorporação do nusinersena no SUS?";



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Hellen, da Bahia: "Quais indicadores e fontes de dados serão usados para monitorar efetividade, segurança e adesão ao nusinersena em pacientes com AME tipo 3?";

Daniel, de Minas Gerais: "A tecnologia envolvida neste medicamento permitiria sua fabricação por indústrias genéricas após a quebra de sua patente?" – é uma pergunta –;

Maiane, da Bahia: "A incorporação pode reduzir desigualdades regionais de acesso a terapias de alto custo?".

E dois comentários, por enquanto. Um do Erasmo, da Paraíba: "Importante [...] [incluir] todas as patologias [...] [de fundo imunológico, garantindo acesso a medicamentos e a devida proteção a todos]"; e um da Andreza, do Distrito Federal: "Pela incorporação do nusinersena no SUS. Os pacientes com AME precisam desse recurso [...] [para a sua] qualidade de vida [...]".

Excelente, muito bem. Nós temos, como eu disse, vários convidados. Combinamos, antes do início desta nossa audiência, que em primeiro lugar falaria a mãe, que está acompanhada dos filhos, e depois a paciente, porque são as pessoas mais importantes. É em função da mãe e da paciente que a gente está reunido aqui para discutir: "Vamos pensar juntos no que fazer". E depois vem a associação que representa os pacientes de uma forma geral, aí vem a fisioterapia, aí vem o Dr. Felipe, que é neurologista, para fazer um apanhado geral de tudo que foi falado, e depois virá a representação do Ministério da Saúde, para se posicionar em relação a tudo o que tiver sido colocado, seja presencialmente ou... Quer dizer, as perguntas e comentários devem nortear sempre – não que se necessite haver uma resposta específica – as nossas explicações.

Muito bem; até me alonguei um pouco demais – desculpem-me –, mas havia essa necessidade.

Passo, então, em primeiro lugar, a palavra à mãe de duas crianças com AME 3, que é Andréa Joana da Silva Gomes.

Combinamos que cada um teria em torno de dez minutos para falar, Andréa.

Então, você está com a palavra. Seja muito bem-vinda!

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia!

Eu estava com um problema aqui no microfone.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Vocês me ouvem?

Eu não estou ouvindo...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR.
Por videoconferência.) – Está perfeito, está ótimo.

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (*Por videoconferência.*) – Beleza.

Bom dia!

Meu nome... (*Pausa.*)

Obrigada.

Como fui apresentada, meu nome é Andréa e tenho dois filhos com AME tipo 3: Noemy e Natan. Os sintomas de ambos apareceram com um ano – um, com um ano e um mês; e outro, com um ano e três meses. E, desde quando apareceram os sintomas da Noemy, nós estivemos nessa busca do diagnóstico, em que, só em 2023, já com o Natan, tivemos o diagnóstico.

Os sintomas deles são muito parecidos. Os dois têm dificuldade de se locomover; ambos têm quedas frequentes. E, em 2022, após uma longa jornada com médicos, a Noemy, no caso, teve o diagnóstico até errado. E, com o Natan, a gente continuou a busca e teve o prazer de conhecer o médico que fechou o diagnóstico deles. Isso foi em 2023, dez anos após essa busca, com a Noemy. E eles vão, dia após dia, após o diagnóstico, perdendo as funções motoras.

Nessa jornada da busca do diagnóstico, o médico teve a desconfiança de ser a AME e passou para a gente que iria colher o material genético deles e passou para a gente o que era a AME; até então, a gente nunca tinha escutado falar dessa doença – nunca.

E, antes do diagnóstico, eu fui pesquisar sobre essa doença. E, ali, nessa pesquisa, pela internet, até mesmo nunca conhecendo ninguém com essa condição genética, eu, como mãe, vendo os relatos na internet, prontamente já falei que a condição deles, comparada com essas pessoas as quais a gente estava vendo e pesquisando, era muito parecida.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E ali meu coração já ficou temeroso, porque eu vi muitos relatos de pessoas com essa condição; relatos de que iam perdendo as funções motoras e que cada dia os levava a perderem a mobilidade que eles tinham até então, as condições que eles tinham.

E aí veio o diagnóstico.

O médico chegou para a gente, conversou. Mas, mesmo com a triste realidade desse diagnóstico, ele nos deixou confiantes de que existia uma luz no final do túnel, de que existia uma medicação que iria paralisar a progressão dessa doença. Mas que, infelizmente para a AME, para a condição que eles tinham, eles não iam ter acesso, a não ser por uma via judicial, a não ser por isso. E em 2023 a nossa luta começou. Começamos a correr atrás dessa melhora com a medicação e da possibilidade de eles terem uma qualidade de vida melhor. A nossa luta começou e aí, recentemente, tivemos a negativa. Com pouco mais de um mês, o juiz determinou que eles não vão ter acesso a essa medicação, que vai estabilizá-los e dar uma qualidade de vida melhor para eles.

Eu, como mãe, fiquei muito triste com essa decisão, muito triste e desesperada porque, antes do diagnóstico, nós não sabíamos o que eles tinham, principalmente a Noemy, que é mais velha. A gente ouvia de médicos inexperientes que ela não conseguia algumas coisas e eu tinha que forçá-la a conseguir fazer algum movimento, tipo subir uma escada. Eu ouvia do médico e ia incentivando: "Noemy, você não consegue, vamos forçar." E a AME não é assim. Com esse diagnóstico eu fiquei triste. Como mãe eu me senti muito... Eu me bloqueei. É como se, como ela se encontra hoje, a culpa fosse minha mesmo, porque eu a forcei a fazer coisas que ela não conseguia. E aí hoje eu sofro muito com isso. Como mãe eu sofro muito, porque eu tive o acompanhamento de um médico que dizia que ela conseguia e tinha que forçar.

Pois bem, vamos seguindo, infelizmente, com a perda, pois foi perdendo dia após dia.

Hoje eles têm uma limitação muito grande. Hoje eu escuto o Natan, que é o mais novo, com sete anos, falar comigo que quer brincar, que quer jogar bola, que quer chegar na fisioterapia, por exemplo, que é a terapia que ele faz, e andar de bicicleta e gastar a energia que ele tem. Escuto de pessoas que não conhecem a condição genética deles falarem que ele tem que gastar. Ele é criança, ele tem muita energia. Essa não é a realidade de uma pessoa com a AME.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Sofro muito em dizer não para eles e tentar não deixá-los gastar a pouca energia que hoje eles têm, principalmente por serem crianças, para poder preservar, tentar preservar os neurônios motores que eles têm ali ainda ativo. E aí, o futuro que eu temo quanto a isso, porque eu sou mãe... *(Falha no áudio.) (Pausa.)*

Oi. Vocês estão me ouvindo?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Ouviu, Andréa? Houve uma pequena dificuldade.

Eu peço também que a Secretaria deixe o meu microfone aberto, assim, quando houver um problema dessa natureza, eu posso falar com o expositor. E eu fecho por aqui também.

Mas, Andréa, eu acho que agora voltou. Foi questão de um minuto – esse último minuto – de problemas.

Pode continuar.

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES *(Por videoconferência.)* – Então, como eu relatei – não sei se vocês ouviram–, eles têm essa dificuldade.

Eu ouço, de pessoas ao meu redor, que eles são crianças – de pessoas que não conhecem o diagnóstico, que nem ouviram falar sobre a AME –, que eles têm energia para gastar e que eles podem gastar. Não é essa a realidade, né?

E, hoje, eu não sei se vocês ouviram, o Natan, que é o mais novo, o que mais se sente como criança e quer ser ativo como criança, chega, por exemplo... Eu vou dar um exemplo da fisioterapia, que é o exercício que ele faz. Ele quer chegar da fisioterapia e andar de bicicleta, por exemplo, mas não é uma realidade, para quem tem AME, gastar essa pouca energia que tem através dos exercícios físicos. E eu tenho que ficar falando não para ele: "Não, você não pode. Vamos ficar quietinhos, vamos tentar preservar ao máximo essa força que você tem". E eu, como mãe, me sinto... A força que eles têm – que eles não têm... Desculpem-me: a força que eles não têm. Eu os levo para a fisioterapia, eu os levo para todos esses lugares. Eu sou a força que eles têm – que eles não têm.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, há o medo do futuro. E o que eu tenho, o meu medo maior é que um dia eles não consigam se locomover sozinhos, porque essa é a realidade da AME. Um dia eu tive um sonho de ter um filho. Depois de ter esse primeiro filho, o sonho de ter outro filho foi maior. Por quê? Porque eu vejo que uma pessoa sozinha não é legal. Eu vim de uma família de quatro filhos – eu sendo a quarta – e eu vejo a união, ali, dos irmãos. Infelizmente, nesses 25% de chance de ter essa condição genética, ela veio para os dois. E como será a vida deles sem a medicação no futuro? Talvez eu não esteja aqui, porque o percurso natural da vida é que a mãe vai embora e os filhos ficam. O que vai ser deles sem essa medicação? Esse é o meu maior medo quanto ao futuro – meu maior medo quanto ao futuro –: eles não estarem devidamente respaldados quanto a essa medicação, não poderem usar essa medicação.

Eu falo que, se houver algum estudo clínico que fala que vai entrar um teste com uma mãe – por mais que eu também seja portadora, mas não está ativa a AME em mim, nos neurônios motores que eu tenho –, se eles falarem "Você pode? Nós vamos fazer um teste, vou tirar dos seus neurônios para passar para os seus filhos, mas você corre um risco muito grande de um dia não conseguir nem levantar de uma cadeira ou só erguer o pescoço", eu falarei "Pode! Os meus filhos precisam, os meus filhos merecem. Então, eu quero fazer parte desse estudo, correr o risco de perder tudo por conta deles...".

A gente está nessa luta aí de tentar medicação por via judicial. Infelizmente, mais um "não" foi falado para eles. Até quando esse "não" vai existir na vida deles?

Essa é a minha colocação.

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

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (*Por videoconferência.*) – Nós somos uma família que acredita muito em Deus. Antes do diagnóstico, no nosso momento ali com Deus, antes de ouvi-los falar, pedi a Deus que iluminasse, que aparecesse um médico para poder fechar o diagnóstico deles. Deus ouviu a oração deles, e, hoje, após o diagnóstico, o pedido para Deus é outro, é pedir que a medicação venha rápido. Este é o pedido de duas crianças para Deus: que a condição não se agrave, que eles tenham uma qualidade de vida melhor. Esse é o pedido que eles fazem para Deus frequentemente, diariamente.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Peço desculpa a todos.

E agradeço a oportunidade.

Muito obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – A gente é que agradece a você, Andréa, que faz um depoimento dos mais importantes, para que as famílias que têm os filhos diagnosticados com AME tenham, desde o início, diagnóstico, atendimento, tratamento, medicação, para saberem que estão acompanhados, supervisionados no decorrer da caminhada da vida, com tranquilidade, como você colocou.

Só quero saber – não sei se você falou no começo – o nome dos filhos, da filha e do filho.

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (*Por videoconferência.*) – Esta é a Noemy.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Noemy e...

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (*Por videoconferência.*) – Ela, hoje, está com 12 anos. O Natan hoje está com sete anos.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Muito bom! Parabéns para vocês aí! Fiquem firmes. Estamos juntos!

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (*Por videoconferência.*) – Obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Vamos lá! A mãe de vocês é uma batalhadora, e vocês são batalhadores também. Vocês é que têm que inspirar as pessoas todas. Parabéns!

Passamos em seguida a palavra para Juliana Pereira França Ferreira, como havíamos combinado. Ela é paciente com AME 3.

Seja bem-vinda também, Juliana, assim como a Andréa. Com a palavra, Juliana.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A SRA. JULIANA PEREIRA FRANÇA FERREIRA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigada, Senador Flávio Arns. Aproveito o momento para agradecer esta oportunidade ao senhor e a todos os que abriram este espaço para a gente.

Vou me apresentar. O meu nome é Juliana, e eu tenho atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3. Eu estou aqui hoje por mim, pelos meus pais, pelo meu marido, pela minha filha e também estou aqui hoje por todas as pessoas com AME do tipo 3 e por seus familiares que convivem com o drama de ter uma doença tão grave, tão rara e sem acesso ao tratamento que pode mudar o curso dessa doença nas nossas vidas.

Para vocês, como (*Falha no áudio.*)... 3, como eu, que ainda sou deambulante... Também todas as outras pessoas com AME 3 que não são deambulantes, que perdem movimentos e força no dia a dia... Como a gente recebeu essa discussão da Conitec para incorporação do nusinersena no SUS?

Eu nasci em 1981, eu tenho 44 anos, e, apesar de começar a andar na idade esperada, a AME já estava lá comigo. Então, com dois anos, eu usei bota ortopédica para corrigir meu pé torto, mas não era pé torto, era AME. Eu vejo vídeos antigos meus. Nas minhas atividades de criança, eu tinha que apoiar a mão no chão para me levantar de um jeito diferente das outras crianças, e já era AME naquele tempo, mas só que o meu diagnóstico só veio quando eu tinha 12 anos. E isso não foi porque meus pais não me levaram aos médicos, mas é porque a doença é muito rara, e os médicos não conheciam essa doença.

Depois do meu diagnóstico, eu ouvi de especialistas que "não tinha o que fazer" – mesmo dos médicos especialistas que me deram o diagnóstico de AME –, que era uma doença sem tratamento. Naquela época, eu ouvi que a única esperança eram pesquisas que estavam em andamento e que, talvez, dali uns dez anos, chegasse um medicamento. Só que essa promessa de dez anos se estendeu até hoje, 32 anos depois. E não foi porque não veio o medicamento, não foi porque não descobriram o medicamento, mas é porque o medicamento existe, só que nós AME tipo 3 não temos acesso a esse medicamento. Durante esse período todo, o meu corpo perdeu força, minhas pernas falharam, eu deixei de fazer movimentos que antes eu conseguia. E o medo de acordar pior a cada dia se tornou constante, porque a AME sempre piora.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Para nós que vivemos com AME, essa doença molda cada decisão da nossa vida, cada plano de futuro. Ela não afeta as nossas capacidades cognitivas, e, então, eu estudei, eu fiz faculdade, eu me formei, eu trabalho, eu também sou o sustento da minha família, mas eu precisei decidir cada coisa da minha vida baseada em limitações impostas pela AME. Então, eu abri mão de carreira, porque eu precisava estar mais próxima da minha rede de apoio. Eu penso muito no meu futuro, em como vai ser. Eu vou ser totalmente dependente de alguém? Será que eu vou ter condição de pagar cuidadores para ficar comigo 24 horas por dia? A AME impacta a nossa autonomia, a nossa dignidade, as nossas questões financeiras e também a nossa saúde mental.

Hoje as minhas dificuldades são andar longas distâncias, subir escada, levantar-me do chão, levantar-me de uma cadeira sem ter que me apoiar, sentar-me em algum assento muito baixo; eu não consigo me levantar, erguer objetos mais pesados. Para resumir para quem não conhece a AME, viver um dia com AME, por causa da fadiga que a gente sente, é como se a gente tivesse disputado uma maratona. Então, nós somos maratonistas diários.

Por ela ser progressiva, eu sempre tenho medo de perder a capacidade de andar, que eu ainda tenho e de me tornar dependente de um cuidador. Isso não é um capricho. Isso é uma luta pela nossa independência, pela nossa capacidade, pela nossa oportunidade de viver com qualidade.

Por isso, dói muito em nós pessoas com AME 3 quando alguém nos descreve como pessoas saudáveis. E, infelizmente, na reunião da Conitec que discutiu a incorporação, para a AME 3, da nusinersena, isto foi dito: pelo fato de nós andarmos, nós somos assintomáticos. O nosso andar não é igual ao dos outros, não é igual ao das outras pessoas. Então, é muito duro quando eles nos comparam com crianças com AME 1 e 2 e dizem que o nosso tipo de AME é leve e que por isso a gente não precisa de tratamento.

Quando o primeiro medicamento para a AME, que é o nusinersena, foi aprovado aqui no Brasil pela Anvisa em 2017, e ele foi aprovado, inclusive, para o tipo 3, eu chorei de alegria, mas isso logo virou uma frustração (*Falha no áudio*)... a medicação custa muito caro, é inacessível. E a frustração foi maior ainda, porque ela não foi incorporada no SUS para a AME tipo 3. E eu me sinto muito injustiçada e muito sem valor, assim como todas as outras pessoas com AME 3.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Aí a judicialização foi um último recurso. Em 2024, com uma decisão liminar, eu consegui iniciar o tratamento. Aí eu chorei de alegria de novo, só que essa foi uma vitória momentânea, porque as decisões judiciais são montanhas-russas. A ansiedade com que a gente vive é no limite. O desgaste é financeiro. E a gente sabe que a qualquer momento esse tratamento pode ser interrompido. E o meu foi. Onze meses depois que eu consegui iniciar o tratamento, eu perdi meu tratamento, por causa da decisão recente da STF, do fim do ano passado, sobre o Tema 1.234, o Tema 6. Ele fechou as portas do Judiciário para nós e depositou na Conitec a responsabilidade total por um tratamento médico dessa magnitude de uma doença rara como a AME.

A nossa única esperança hoje reside na decisão que a Conitec está para chancelar nos próximos dias. A gente não tem mais a quem recorrer.

Eu queria falar sobre o tratamento que eu fiz em si e o que ele significa para alguém com AME.

Desde a primeira aplicação, eu senti alguma coisa diferente. As minhas conexões pareciam estar ligando. O cansaço, a fadiga que tira a nossa disposição começou a mudar, eu comecei a ter mais disposição. De primeira, o tremor das minhas mãos diminuiu. Eu comecei a sentir menos cansaço para subir um degrau, para caminhar, para subir uma rampa de acesso para o meu trabalho. Com os acompanhamentos que eu fui fazendo na fisioterapia, os resultados começaram a ser mensuráveis. Então, eu consegui ganhar um ponto na escala Hammersmith em 11 meses de tratamento e aumentei em 42% a quantidade de caminhada durante um teste que é feito, que se chama teste de caminhada de seis minutos. Eu saí de 322 metros caminhados para 460 metros caminhados. Esse teste foi ignorado na avaliação preliminar da Conitec, sendo que ele é muito específico para quem tem AME 3, porque só quem é AME 3 consegue andar para fazê-lo. E não foi levado em conta esse teste. E ele não é número, ele é ganho de vida.

Essa é uma doença em que sempre se espera que a gente perca. A gente nunca... Nunca, nessa doença, a gente vai andar mais no dia seguinte, mas, com o tratamento, isso aconteceu. Eu consegui andar mais.

Essa medicação, de fato, muda o curso da doença. E isso significa, para mim, mais tempo para caminhar com a minha filha, a esperança de continuar andando e de não perder a minha independência.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu e tantos outros pacientes com AME tipo 3 – não só os deambulantes, ressalto aqui –, todos temos relatos impressionantes de ganho de força e manutenção do movimento, quando a gente faz o tratamento com o nusinersena, que geralmente é por via judicial. As evidências estão aí, não dá para negar essas evidências. São oito anos desde que a Anvisa aprovou essa medicação para AME tipo 3, a que a gente não teve acesso, e, nesses oito anos, as perdas também estão inegáveis, em oito anos a gente perde muito os movimentos.

A gente não pode mais esperar, esse não é um luxo que a gente possa nos dar. Ele é prejudicial num nível que quem não tem AME não consegue imaginar, é perda de autonomia, de dignidade, de capacidade de viver plenamente, é a condenação à dependência total de um cuidador. A vida (*Falha no áudio*)... quando é uma chance que a gente tem de qualidade de vida e independência. A gente não quer apenas sobreviver, a gente quer viver com dignidade e autonomia. Hoje a gente só está lutando para sobreviver, mas a gente quer viver.

E a decisão que vai ser tomada pela Conitec não é apenas sobre um medicamento, é sobre a nossa vida, é sobre a vida de pessoas que lutam diariamente contra uma doença que é devastadora, é sobre dar a nós todos os pacientes com AME tipo 3 – e aqui eu digo que precisa ser para todos, não só para os deambulantes, para os não deambulantes também, precisa ser para todos, sem limite de idade, sem condições limitantes – a oportunidade de viver a vida que merecemos viver.

Eu agradeço a todos que hoje estão aqui, que nos ouvem e que abrem este espaço para nossa manifestação, porque não é todo mundo que faz isso, são poucas as pessoas que escutam a nossa voz. Nós não somos invisíveis por sermos raros, nós existimos e nós estamos aqui.

Eu agradeço a oportunidade.

Estou aberta a perguntas, se houver.

Obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Nós é que agradecemos a você, Juliana, um depoimento forte, bom e importante, como havia sido o da Andréa também.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Sempre lembro que agora nós temos a Lei 15.120, de 7 de abril de 2025, que, no art. 19-Q, §1º-A, coloca sobre assento na Conitec: o assento destinado – que tem que haver– ao representante de organização da sociedade civil de caráter nacional é de ocupação rotativa e será preenchido pela entidade cuja representatividade seja afeta à condição de saúde analisada. Então, as pessoas com AME têm que estar lá na Conitec discutindo junto – as famílias, as pessoas, os pacientes.

E esse seu depoimento é muito importante, porque antigamente havia a ideia de que, enquanto se estivesse discutindo, a Conitec, o conselho, não poderia se manifestar a respeito da discussão – aliás, a Conitec é uma comissão, não um conselho. Hoje em dia, mudou isso. O enfoque é justamente o contrário, não que não possa a comissão discutir, a comissão tem que discutir. A audiência pública é o momento mais oportuno para que esta discussão aconteça também.

A gente, realmente, espera que a Conitec reveja a posição, mas principalmente fazendo um apelo ao Ministro Padilha, que tem uma outra visão de sociedade, uma visão de garantia de direitos, de cidadania.

Como você colocou, não é questão de sobreviver. É de viver. Se existe um medicamento, com mais qualidade, menos custo, custo-eficiência. É uma discussão que sempre o pessoal traz: custo-eficácia.

Quer dizer, tem um custo, mas a pessoa, você devolve para a sociedade em trabalho, em impostos, em tudo, uma vida boa, independente, melhor, sempre, tanto quanto possível.

Obrigado, viu, Juliana?

Então, tem que discutir. A Conitec tem que discutir, porque, inclusive, está na lei agora. Fizemos uma lei porque não havia essa discussão. Agora, a lei já foi aprovada, foi sancionada, e o debate tem que acontecer assim, escancaradamente, eu diria.

Muito bem.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Passo, em seguida, a palavra à Vanessa Nicolao, que é representante da Associação de Pacientes Residentes do Instituto de Apoio e Cuidados às Pessoas com Atrofia Muscular Espinhal (Proclame).

Com a palavra, Vanessa. Seja bem-vinda.

A SRA. VANESSA NICOLAO (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigada pela palavra.

Bom dia a todos. Meu nome é Vanessa. Eu sou a representante do Proclame, represento as pessoas com atrofia muscular espinhal no Brasil.

O Proclame é uma associação que, na verdade, nasceu para defender o direito das pessoas com AME tipo 3 que estavam sem medicação. Nós defendemos todas as pessoas com AME, mas esse é o foco principal da nossa luta.

Eu peço licença para falar, neste momento, não só como representante de associação, mas como paciente.

Eu sou uma pessoa com atrofia muscular espinhal. Eu sou cadeirante, eu tenho bastante limitação física já em razão da AME. Diferente da Juliana, eu tenho a mesma idade da Juliana, mas não tenho mais os movimentos. Eu tenho dificuldade de manter o pescoço. Então, para mim, às vezes, vou me escorar porque me dói muito.

Por que eu digo isso? Porque nós somos muito heterogêneos dentro da AME, mas todos nós precisamos da medicação. Nós somos raros. Nós representamos uma parcela pequena de pessoas dentro de uma doença que já é rara. Nós somos poucos, mas nós existimos.

As pessoas com AME 3 no Brasil acompanharam a trajetória do nusinersena, como a Juliana já mencionou, inclusive. Quando saiu a medicação, nós todos comemoramos muito. Foi aprovada em 2017 pela Anvisa. Em 2019, foi incorporada para as pessoas com AME tipo 1. Em 2021, ela foi aprovada para as pessoas com AME tipo 2. E nós do tipo 3 ficamos esperando, e, no entanto, desde aí, houve um silêncio ensurdecedor.

Nós nos tornamos, durante esse período, invisíveis para o Estado e para a sociedade, enquanto nós continuamos lutando contra a nossa doença e contra o declínio do nosso próprio corpo.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nós entendemos a necessidade da Conitec em ser criteriosa na avaliação das medicações em relação ao gasto. O dinheiro público deve ser bem controlado, porém a gente não pode, baseado nisso, deixar as pessoas desassistidas de uma medicação tão importante.

O Governo atual comemorou a decisão do Tema 1234 como grande coisa, porque tinham economizado muito dinheiro, porém esqueceu quantas vidas foram prejudicadas e, inclusive, perdidas durante esse processo.

Nós não queremos ser um fardo para a sociedade. Nós acreditamos que existem iniciativas viáveis e imediatas que podem garantir o acesso ao medicamento a todas as pessoas com AME no Brasil. Essa é a razão dessa audiência pública. Nós queremos ser ouvidos. Não queremos ser, estamos fartos de ser ignorados.

Paciente com AME tipo 3 não é diferente dos pacientes do tipo 1 e 2, apenas a doença é um pouco menos acelerada que nos outros tipos e, ainda assim, dentro do tipo 3, há diferenças, o que significa que todos nós temos o mesmo defeito genético. É um gene que não produz uma proteína, que mata os nossos neurônios motores e que vai causar, inevitavelmente, a perda de movimentos com o passar do tempo. Nós perdemos a independência, a saúde, com o tempo nós perdemos o trabalho, o nosso sustento e a dignidade e não por raras vezes perdemos a vida. Pessoas com AME tipo 3 não raras vezes são produtivas, trabalham e sustentam as suas famílias. E tudo isso está sendo perdido enquanto não recebemos o medicamento.

Foi mencionado, inclusive, várias vezes na Conitec que a sobrevida de uma pessoa com AME tipo 3 é próxima ao normal. Ocorre que a nossa vida não é normal. Nós temos uma vida cheia de limitações, o tempo torna irreversível as nossas perdas e nós nos tornamos um fardo para nós mesmos e para as pessoas ao nosso redor. Se isso pode ser evitado, por que nos condenar a esse destino?

Na última reunião da Conitec sobre a incorporação do medicamento nusinersena, os membros da Conitec apresentaram um relatório desfavorável à incorporação, baseando-se na justificativa da não eficácia, o que sabemos não é verdade. E sabemos também que essa decisão também vem baseada no alto custo da medicação. Nós do Proclame entendemos que a eficácia está plenamente comprovada. Inclusive, pelo depoimento dos especialistas que serão ouvidos hoje, isso poderá ser demonstrado. A análise da Conitec no último relatório de incorporação foi



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

desatualizada, desinformada e tendenciosa. É uma pena que eles não estejam aqui hoje para que nós possamos manifestar a nossa opinião a respeito! Os pareceristas que elaboraram o relatório apresentaram um destaque apenas nos pontos negativos dos estudos apresentados.

O Proclame apresentou um relatório contrapondo cada uma dessas informações que foram consideradas negativas, mas eu vou fazer aqui um apanhado simplificado.

Na análise da Conitec, foram excluídos diversos estudos sem uma justificativa válida e foram excluídas escalas de avaliação motora que serviriam muito para avaliar o progresso ou não da doença, a melhora ou não do paciente. Escalas, como a que a Juliana falou da caminhada, foram excluídas, escalas como a Rulm, que analisa movimentos de tronco superior, de membros superiores, não foram incluídas e melhoras que não apresentavam um aumento de três pontos na escala foram também desqualificadas como resultados positivos.

Acontece que, para quem tem AME, qualquer mínimo movimento adquirido, qualquer melhora na função motora, de conseguir pentear melhor o cabelo, de conseguir escovar os dentes, levar o garfo à boca... Eu hoje preciso de um canudo porque eu não consigo erguer o copo. Então, qualquer mínimo movimento adquirido é um benefício, e isso foi ignorado pela Conitec.

Além disso, quem convive com qualquer... Para quem está na fase adulta como nós, a estabilização da doença é um fator de benefício incalculável. Para quem convive com a perda, com o fantasma da perda dos movimentos diariamente, a estabilização da doença significa tudo. Nós sabemos que não há uma cura para a AME, mas poder contar com a ideia que nós não vamos mais perder os movimentos que nós ainda temos é algo que deve ser considerado como positivo pela Conitec.

Além disso, nós sabemos que as agências reguladoras em todo o planeta já incorporaram o nusinersena para o tipo 3, como nos Estados Unidos, na Itália, na França, na Espanha e na Austrália. Inclusive, ele está incorporado pelo Nice, do Reino Unido, que é uma das agências mais rigorosas, sem limite de idade. A Conitec apresentou, em seu relatório, que o Nice só forneceria até 18 anos. Isso não condiz com a realidade. A verdade é que o relatório apresentado pelos pareceristas influenciou diretamente a opinião dos membros da Conitec, que acabaram por decidir não incorporar o medicamento por falta de conhecimento sobre a realidade das pessoas



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

com AME tipo 3. Inclusive, na audiência, na reunião, um membro do Ccates mencionou que as pessoas com AME tipo 3 que deambulam são saudáveis. Isso foi extremamente mal recebido pela comunidade de AME e mostra o profundo desconhecimento e desrespeito com os desafios e as dores das pessoas com AME, que sofrem diariamente com a doença e seus efeitos.

Outro representante do Conasems utilizou um caso particular do seu convívio para fundamentar e justificar a não recomendação do remédio baseado exclusivamente no alto custo e usurpou o lugar de fala do paciente com AME que havia sido escutado antes, o Lucas, que relatou uma experiência completamente diferente, dizendo que o remédio era importante e indispensável para a vida dele.

Essa postura de dizer que as pessoas poderiam preferir o dinheiro ao medicamento influenciou negativamente os colegas que acabaram também votando... *(Falha no áudio.)*

A verdade é que... *(Falha no áudio.)*

... votar, mas influenciou as outras pessoas que votaram.

Além disso, um dos membros da Conitec mencionou que deveriam ter sido apresentados estudos de mais alto nível, randômicos, com duplo cego. Nós também questionamos essa exigência, porque fazer um duplo cego randômico oferecendo placebo a pessoas que estão com uma doença rara, grave, que vão perder seus movimentos, é antiético e inaceitável a essa altura, quando nós já sabemos que o medicamento funciona para pessoas com AME tipo 3. Além disso, nós sabemos que esse tipo de estudo tem um alto custo, milionário, e que só encareceria mais ainda a medicação.

Houve também manifestações no Conitec de que é possível substituir a terapia e que a fisioterapia é suficiente para das pessoas com AME tipo 3. Isso não condiz com a realidade. Os especialistas hoje aqui ouvidos poderão contribuir com essa informação, mas é uma informação equivocada. E, além de tudo, nós sabemos que a terapia multidisciplinar ajuda na reabilitação, mas sem a medicação, não há estabilização nem melhora da doença, porque só a medicação evita a morte dos neurônios motores.

Por isso nós não aceitamos essa interpretação equivocada e de cunho duvidoso de que as terapias multidisciplinares poderiam substituir o uso do medicamento, quando se sabe que não



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

há fisioterapia disponível para todos no SUS. Além disso, do ponto de vista do usuário do medicamento, nós sabemos que podemos fazer uma fisioterapia, buscar uma fisioterapia, ainda que com um custo próprio, mas é impossível a qualquer cidadão comprar a medicação necessária. Essa fala não representa as nossas necessidades, os nossos anseios.

Por fim, eu gostaria de falar um pouco da minha história. Questionamos aqui todos os pontos controversos do relatório da Conitec. Essas questões foram colocadas no nosso relatório que nós apresentamos na consulta pública, mas eu gostaria de também cumprimentar Andréa, que é nossa associada; a Juliana.

A luta das pessoas com AME no Brasil tem sido muito difícil. As pessoas com AME tipo 3 passaram totalmente despercebidas e foram ignoradas até hoje. Isso não pode mais acontecer. Eu gostaria de fazer um pequeno relato da minha própria vida. Eu sou uma pessoa com AME tipo 3 que até o ano de 2017 possuía bons movimentos. A medicação não chegou a tempo pra mim. Eu iniciei o tratamento via judicial no ano de 2020, quando eu ainda tinha alguma força muscular de membro superior. A minha irmã, Daiana, tem 45 anos, tem AME tipo 2. Tinha menos movimentos do que eu na época e iniciou também o tratamento com a medicação. Com o tempo, eu perdi a medicação via judicial, fiquei sem nenhum tratamento. E a Daiana continuou fazendo o tratamento com o nusinersena. Hoje, a Daiana tem mais força do que eu. Antigamente, eu abria a garrafa pra ela, alcançava as coisas na prateleira, hoje é ela que faz isso por mim.

Então, a verdade é inevitável. Pessoas com AME tipo 3 precisam da medicação para manutenção dos seus movimentos. Crianças com AME tipo 3, como o Natan e o Noemy, precisam da medicação para se desenvolver de uma forma saudável. Deixar as pessoas sem a medicação é um crime.

Eu espero que os membros do Ministério da Saúde que estão aqui hoje e toda a sociedade nos ouça e nos ajude, porque nós não podemos mais fechar os olhos para as pessoas dessa maneira, simplesmente porque um remédio é de alto custo.

Além disso, a gente sabe muito bem que a última proposta feita pela farmacêutica para a venda do medicamento para o Governo foi bem vantajosa, reduzindo bastante os valores. Então não há justificativas válidas para que a Conitec não recomende a incorporação pelo SUS.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Por fim, aproveito esse espaço... Eu sei que eu já ultrapassei o meu tempo, mas a ansiedade que a gente tem de defender essas pessoas – de defender a mim mesma, mas todas as pessoas com AME tipo 3 no Brasil – é tanta que a gente extrapola um pouco.

Para todas as pessoas que estão nos ouvindo e que têm AME tipo 3 e que precisarem de apoio, ajuda e auxílio, procurem o Proclame. Nós estamos aqui para isso, e o nosso compromisso com a sociedade e com o Governo é dizer que nós não vamos parar enquanto todas as pessoas com AME no Brasil tenham medicação; pessoas com AME tipo 3 que andam e que não andam.

Esse é o nosso recado para a sociedade como um todo. Eu agradeço esse espaço e peço desculpa pelo nervosismo.

Era isso.

Muito obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradecemos muito a você, Vanessa Nicolao. É um depoimento também muito importante, contundente, bem fundamentado, de acordo com o que existe de debates no mundo inteiro, como você colocou.

Você mencionou, ao final da sua fala, que vocês não vão parar. Contem com o Senado Federal nessa iniciativa.

Vamos, a partir desta audiência pública, retomar todo esse debate, junto ao Ministro Padilha, junto à ausência não justificada da Conitec nesta audiência pública, apesar de existir a legislação em que vocês têm que participar de todo o debate nessa área em relação à incorporação de medicamentos.

A gente lamenta de novo, mas certamente o Ministro Padilha vai tomar as providências necessárias e cabíveis diante dessa ausência e diante de todas as evidências que você trouxe na sua fala, assim como também a Juliana e a Andréa.

Obrigado, Vanessa. Estamos juntos também, quero dizer.

Eu passo, em seguida, a palavra à Ana Angélica Lima, que é fisioterapeuta.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Seja bem-vinda, Ana Angélica.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia, muito obrigada.

Eu vou compartilhar aqui a minha apresentação.

Acredito que não está permitido para eu compartilhar...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Pessoal aí da Secretaria...

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Ah, agora...

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Já deu.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Agora deu certo, deu.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Ainda não está... Ah, sim, agora sim.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Vocês me ouvem bem? Conseguem ver a apresentação?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Ainda não está em tela cheia. O pessoal poderia ver aí a tela cheia para...

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Agora está?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Vamos ver se vem a tela cheia, porque senão depois até há uma complicação para ir passando as telas.

Olha aí. Agora está ótimo.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Tá.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Com a palavra Ana Angélica.

Seja bem-vinda também.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Muito obrigada.

Bom dia, meu nome é Ana Angélica Ribeiro de Lima, eu sou fisioterapeuta, doutora em Ciências pela USP e mestre em Ciências da Reabilitação pela Faculdade de Medicina da USP.

Também tenho Especialização em Intervenção Fisioterapêutica em Doenças Neuromusculares pela Unifesp, de São Paulo. Acompanho pessoas com doenças neuromusculares desde 2011, e a minha tese de doutorado foi acompanhando pessoas com AME por mais de um ano, principalmente pessoas com AME tipo 3.

A AME, atrofia muscular espinhal, é uma doença rara que apresenta como principal sintoma a fraqueza muscular progressiva. Ela é classificada em quatro tipos: 1, 2, 3 e 4. Essa classificação é baseada na idade de início dos sintomas e na maior função motora alcançada, ou seja, se essa pessoa não se senta, se senta ou se ela anda.

Na AME tipo 3, o perfil é um pouco diferente das pessoas com AME tipo 1 e tipo 2, primeiramente porque eles andam; e, segundo, porque a classificação de idade dos sintomas é a partir dos 18 meses de idade. Além disso, eles são muito diferentes entre si, porque algumas pessoas vão começar os sintomas logo na infância; alguns, na adolescência; e alguns outros, até no final da adolescência. Vale lembrar que essas pessoas não necessitam de suporte ventilatório.

Então, em comparação com AME tipo 1 e tipo 2, ela acaba tendo uma gravidade um pouco menor. No entanto, apesar de ter esse quadro clínico diferente, que não coloca um risco iminente à vida, a AME vai trazer uma série de prejuízos para a vida das pessoas com AME tipo 3.

Estes daqui são alguns dados de estudo de vida real.

Após os 11 anos de idade, essas pessoas apresentam uma perda progressiva na velocidade da marcha. Após os 20 anos de idade, elas vão ter uma diminuição em média, mais ou menos, de quase dez metros no teste de caminhada de seis minutos, que é um teste em que eles precisam caminhar ao longo de seis minutos sem parar. Após os 44 anos de idade, existe um risco muito



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

aumentado da perda da marcha, ou seja, isso significa que essas pessoas vão ter que iniciar o uso da cadeira de rodas. Quando a pessoa inicia o uso da cadeira de rodas, tem uma perda progressiva da função respiratória e também da força dos membros superiores.

Existe uma escala, sobre a qual a gente vai conversar diversas vezes, hoje, durante a minha fala, que é a escala Hammersmith Functional Motor Scale – Versão Expandida. É uma escala para avaliar habilidades motoras como subir e descer escada, caminhar, levantar de uma cadeira, levantar-se do chão. E os estudos nos mostram que pessoas com AME do tipo 3 apresentam uma perda progressiva de habilidades motoras.

Este daqui é um estudo brasileiro de vida real, de Mendonça e colaboradores, que observaram, como a gente pode ver aqui no primeiro gráfico, por meio dessa linha decrescente, que representa as pessoas com AME tipo 2, que eles vão perder ao longo de dois anos, 3,4 pontos na escala Hammersmith. Essas pessoas não estão fazendo o uso da medicação.

O segundo gráfico indica as pessoas com AME tipo 3. Ao longo de dois anos, as pessoas com AME tipo 3 vão perder 4,6 pontos.

Isso significa uma mudança clinicamente diferente – pontuações acima de 3,2 pontos já mostram essa mudança significativa –; ou seja, as pessoas com AME Tipo 3, de forma geral, vão ser mais habilidosas e por isso vão ter uma pontuação na escala Hammersmith mais alta em comparação com os outros tipos de AME. Mas isso não impede uma perda progressiva e acelerada ao longo do tempo. Ao longo de dois anos, elas podem perder uma ou duas habilidades; por exemplo, não serem mais capazes de se levantar do chão, subir e descer escadas e, por exemplo, de andar.

Apesar de a AME não colocar esse risco iminente para a vida, como acontece nas pessoas com AME tipo 1 ou tipo 2, eles vão sofrer as consequências da AME associadas ao envelhecimento. Com o passar do tempo, eles vão estar muito mais suscetíveis às quedas e, por conseguinte, a fraturas e à perda da marcha; algumas pessoas, por conta de necessitarem ficar imobilizadas por uma fratura, acabam perdendo força muscular e não conseguem, por exemplo, recuperar a marcha; podem ter complicações respiratórias e necessidade do uso do suporte ventilatório. Isso significa uma diminuição na autonomia. Muitas pessoas com AME tipo 3 são



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

responsáveis por sustentar suas famílias, e isso pode implicar o afastamento do trabalho ou a necessidade do custo em relação aos cuidados especializados.

Vale lembrar que o nusinersena não é uma cura para a AME, mas é uma mudança no curso natural da doença. Essa medicação vai diminuir os impactos e as consequências da AME na vida dessas pessoas.

Aqui eu trouxe para vocês alguns dados de uma revisão sistemática com a metanálise que foi publicada neste ano sobre o uso do nusinersena em adolescentes e adultos com AME. Eles relataram que ocorreram ganhos em todas as escalas utilizadas nos estudos, que é a escala Hammersmith para avaliar as habilidades motoras; a Rulm, que é uma escala para avaliar função de membro superior; e no teste de caminhada de seis minutos, que é o teste em que a pessoa precisa caminhar ao longo de seis minutos.

Esses aqui são alguns dos dados da escala Hammersmit – a análise dos dados da metanálise. Aqui eles fizeram uma divisão por meio do tempo de acompanhamento. Então, aqui são os dados de um ano, entre um ano e dois anos, aqui entre dois anos e três anos, três anos e quatro anos.

Dos 21 estudos que foram incluídos na metanálise, 20 apresentaram mudanças na pontuação da escala Hammersmith, e essa mudança foi maior principalmente para as pessoas que andavam.

Eu não vou me alongar e me aprofundar sobre os dados da Rulm, que é para avaliação de força de membro superior, porque as pessoas com AME tipo 3 já têm uma força maior de membros superiores. Por isso, muitas vezes, elas vão atingir o que a gente chama de efeito teto na escala, ou seja, a maior pontuação. E por isso foi esperado que a mudança fosse maior nas pessoas com AME tipo 2. No entanto...

Esses daqui são os dados do teste de caminhada de seis minutos, que é um teste específico para quem anda.

Todos os estudos aqui que estão apresentados – aqui são os nomes dos autores e aqui são os resultados do estudo representados por essas bolinhas – mostraram mudanças, sendo que 52,8% dos estudos apresentaram uma mudança clinicamente significativa, principalmente entre três e quatro anos de acompanhamento.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E aí eu gostaria de destacar duas questões importantes aqui. A primeira a gente pode observar por meio desses dados sobre a heterogeneidade dos estudos, ou seja, aqui no teste de caminhada de seis minutos, a heterogeneidade foi bem menor. Outro ponto importante é que, progressivamente, ao longo do tempo que nós podemos observar aqui por meio desses dados, eles aumentaram ganhos. Por exemplo, no primeiro ano foi em média de 24m, entre o primeiro e o segundo ano foi de 22m, entre o segundo e o terceiro ano foi de 29m, e entre o terceiro e o quarto ano foi de 36m. Vale destacar aqui que alguns desfechos que são muito importantes para pessoas com AME tipo 3 ainda foram pouco explorados, como a fadiga, o equilíbrio corporal e o risco de quedas.

E, para finalizar a minha fala, uma participante do meu estudo de doutorado me disse algo que me marcou muito. Ela disse: "Existe minha vida antes do Spinraza e após o Spinraza". Após a medicação, ela relatou que existiu a diminuição do medo de cair. Outros pacientes que eu tenho acompanhado ao longo dos anos começaram a praticar esportes como jogar futebol, praticar natação, participar de competições de natação adaptada, fazer hidroginástica, balé, e aumentaram, por exemplo, o tempo de caminhada na esteira. Isso significa que essas pessoas estão saindo de um quadro de reabilitação para um estágio de prática de esporte e também de atividade física, que é tão preconizado pela Organização Mundial da Saúde. Mas existe um ponto chave nessa situação: não estamos esperando a morte dos neurônios para começar a agir.

Muito obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradecemos também a você, Ana Angélica de Lima, fisioterapeuta. Parabéns pela apresentação, muito importante na fundamentação da abordagem que se está dando nesta audiência pública. Parabéns pelo trabalho!

Permita-me perguntar só de onde que você está falando. De São Paulo, Paraná, Rio?

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Eu sou de São Paulo.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – De São Paulo.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – De São Paulo.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Parabéns pelo trabalho.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (*Por videoconferência.*) – Obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Passamos, em seguida, então, para o lado da medicina.

Eu quero dar as boas-vindas também ao Dr. Felipe Franco da Graça, que é médico neurologista. E seja muito bem-vindo também, Dr. Felipe. Com a palavra.

O SR. FELIPE FRANCO DA GRAÇA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Muito obrigado, Senador.

Queria agradecer primeiro à Comissão pelo convite, aos pacientes por terem começado. Eu acho que é muito importante a gente ouvir os pacientes primeiro, porque a gente aqui vem falar muito de ciência, vem falar muito de dados, mas esses dados são todos por causa dos pacientes, né?

Queria também... Eu vi que o Dr. Natan, da Coordenação de Doenças Raras do ministério está aqui. A gente sabe da dificuldade de fazer as doenças raras acontecerem no Brasil, de fazer as coisas acontecerem.

E eu estou aqui hoje para falar um pouco de como é a experiência de quem está na ponta do tratamento desses pacientes, porque é muito importante trazer essa experiência para o ministério, trazer essa experiência para o Senado.

Vocês estão conseguindo ver minha apresentação?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Sim, estamos vendo.

O SR. FELIPE FRANCO DA GRAÇA (*Por videoconferência.*) – Tá, eu vou voltar aqui um pouquinho.

Então, meu nome é Felipe Franco da Graça. Eu sou neurologista e neurofisiologista clínico, especialista em doenças neuromusculares. Eu atuo, hoje, no Ambulatório de Doenças



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Neuromusculares da Unicamp e também no setor de saúde suplementar, e eu sou membro titular da Academia Brasileira de Neurologia.

Minha pesquisa, minha área principal de pesquisa é justamente avaliar biomarcadores em pacientes com atrofia muscular espinhal tardia ou pacientes com AME tipo 3. Então, eu vou tentar simplificar um pouquinho algumas coisas que já foram ditas, trazer um pouco de dados. Acho que a Ana já trouxe dados muito bons que corroboram a importância do tratamento, mas eu tentei trazer um pouco desses dados misturados com a minha experiência clínica aqui, hoje.

Então, só para gente voltar no que já foi dito várias vezes, a AME é uma doença que é genética, afeta 1 para cada 10 mil, mais ou menos, nascidos vivos e leva à morte prematura dos neurônios da medula responsáveis pelo movimento. O que são esses neurônios? São esses neurônios que estão destacados aí na imagem e, quando a gente dá um *zoom* e simplifica essa imagem, todos esses que são cinza aí são os neurônios motores e essas fibrinhas vermelhas são os músculos. Toda vez que a gente contrai um músculo, a gente precisa que essa informação venha de um neurônio, que são essas imagens em cinza. Em qualquer forma de AME que a gente tenha, o que acontece progressivamente é que esses neurônios vão morrendo e essas fibras musculares não recebem mais informação do neurônio, então elas param de funcionar. Então, se eu não tenho neurônio, eu não tenho fibra muscular, e isso vai acontecer com todas as formas de atrofia muscular espinhal, ou seja, tipo 1, 2, 3, todas. O que muda aqui é a taxa com que isso acontece. Então, nas formas de AME tipo 1, por exemplo, essa progressão é mais rápida; nas formas de AME tipo 3, essa progressão é mais lenta, mas o processo é exatamente o mesmo.

E quando a gente fala de tratar atrofia muscular espinhal, o que a gente quer com o tratamento? A gente quer – o tratamento a gente vai considerar como se fosse essa seta – interromper esse processo de morte. Quando a gente interrompe o processo de morte do neurônio, a gente não vai fazer com que esse neurônio se recupere. Então, daí vem a nossa urgência de tratamento – aquele neurônio que foi perdido não é mais recuperado –, mas, quando a gente consegue tratar essa doença numa certa etapa, vocês vejam aí que nessa primeira parte da imagem, quando eu tenho três neurônios sobrando, aqueles três neurônios conseguem ocupar parcialmente a função daqueles neurônios que foram perdidos, enquanto, quando eu trato essa doença numa fase mais tardia, o que vai acontecer? Eu vou tratar esse paciente, ele vai ter uma melhora, mas essa melhora não vai ser igual à do paciente que foi tratado precocemente, porque



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

aquele neurônio que foi perdido já foi perdido e aquele único neurônio que sobrou ali não vai dar conta de fazer o trabalho de vários neurônios. Então, basicamente o que a gente tem, quando a gente tem essa progressão, é essa perda neuronal, e a importância do tratamento precoce é que, uma vez que eu perdi o neurônio, ele não vai ser recuperado, e eu vou ter que me basear naqueles neurônios que sobraram para ter a minha função e para ter a melhora de função.

Aí vem a primeira coisa. Por que o paciente mais velho com AME tem uma recuperação mais lenta que a criança? Porque a criança está em fase de desenvolvimento, a criança está em fase em que eu tenho uma plasticidade neuronal muito maior. Então, a grande diferença principal vai ser que a criança vai recuperar mais rápido aquela função dos neurônios perdidos não porque ela recuperou mais neurônios, mas porque aqueles neurônios que sobraram conseguem, de maneira mais rápida, ocupar aquele espaço. No adulto, muitas vezes, essa plasticidade vai ser menor, mas, da mesma maneira, a medicação consegue evitar que eu tenha essa progressão de morte neuronal pelo menos na mesma velocidade que acontecia sem o tratamento. Então, esse é o primeiro ponto.

E aqui eu gosto muito desse gráfico para a gente ver, quando a gente compara a evolução de ganho de habilidades motoras e de perda de habilidades motoras nos pacientes com diferentes tipos de AME, a gente vê que a curva tem o mesmo formato em todos os tipos, ou seja, esse paciente ganha algumas habilidades e depois perde. A única coisa que muda aqui é que os pacientes com AME tipo 3 ganham mais habilidades, e a perda vai ser um pouquinho mais tardia, mas o formato, a progressão é absolutamente igual em todos os tipos, com a diferença do tempo em que isso acontece. E isso se diferencia completamente daquele indivíduo normal – lá em cima do gráfico.

Este é um gráfico que vai mostrar também muito bem aquilo que já foi dito tanto pelos pacientes quanto *(Falha no áudio.)*

... Os pacientes com tipo 3 – e aqui são vários grupos de pacientes com tipo 3 – vão evoluir de maneira diferente. A gente tem pacientes com tipo 3 que vão perder a marcha de maneira muito rápida – é esta primeira curva que a gente vê aí embaixo – e a gente tem pacientes com tipo 3 que vão perder a marcha de maneira mais lenta. A gente tem subgrupos, mas o fato é que todos vão evoluir em algum momento para perda da marcha. Então, a gente não pode dizer,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

como já foi mencionado aqui, que o paciente com tipo 3 é um paciente estável ou saudável. A AME não é uma doença estável, a AME é uma doença degenerativa.

E a piora também não acaba quando o paciente perde a capacidade de andar, a piora continua acontecendo. É que a gente usa a capacidade de andar como um marco, porque é um marco muito importante, mas para alguns pacientes, por exemplo, a dificuldade de alimentação e a dificuldade de se higienizar podem ser piores do que a perda da marcha. Isso aumenta ainda mais a dependência. Então, é importante dizer que a perda também não acaba quando o paciente perde a marcha.

E aqui eu vou trazer só dois estudos, pois eu sei que a Ana já trouxe coisa muito boa. Eu trouxe metanálises mais recentes, mas eu escolhi esses estudos um pouco mais antigos justamente para mostrar que a gente já tem dados desde 2020, mostrando a eficácia do nusinersena em pacientes com tipo 3. Isso não é uma novidade. É por isso que, desde 2020, de lá para cá, vários países têm incorporado o uso do nusinersena para AME tipo 3.

Com este dado aqui, o que a gente vê é que a grande maioria dos pacientes com tipo 3 em 14 meses, quando tratados, consegue ter uma estabilidade ou melhora. E é muito importante dizer aqui que, como a AME é uma doença progressiva, a estabilidade já é um ganho. Se a gente não está perdendo pontos todo ano, se a gente consegue manter onde aquele paciente está, a gente já está ganhando, a gente já consegue que aquele paciente consiga se adaptar às próprias limitações. Um grande problema para o paciente com AME é que ele não se adapta à limitação: ele tem uma limitação; mês que vem, ele já tem outra; no outro ano, ele tem outra; e ele não consegue se adaptar àquela alteração que ele tem de motricidade.

Este é outro estudo, só para mostrar que não é um estudo só, a gente tem vários, a Ana já mostrou. E aqui a gente consegue ver que, em todas as faixas etárias, a barrinha branca é o ganho nos pacientes que trataram, e a barrinha escura é os pacientes que não trataram. Então, a gente consegue ver que os pacientes que trataram estão sempre melhores que aqueles pacientes que não trataram. Este aqui é o acompanhamento em um ano, mas a gente já tem, como a Ana mostrou, estudos um pouco mais longos de acompanhamento.

E, para dizer que a gente não tem dado do Brasil, este é um estudo que, inclusive, adereça uma das questões que a Ana trouxe, que é a fadiga, mostrando que a fadiga é uma coisa que



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

antecede, inclusive, a perda motora. Esses pacientes, muitas vezes, não conseguem fazer as coisas, porque eles têm muito cansaço. Este é um dado do nosso grupo, comparando pacientes que fizeram o tratamento, que tiveram acesso ao tratamento, pela saúde suplementar, com pacientes que, pelo SUS, por exemplo, não tinham acesso ao tratamento. E, quando a gente compara esses dois grupos, a gente vê que o grupo que foi tratado tem uma frequência de fadiga muito menor do que aquele grupo que não foi tratado, ou seja, o grupo não tratado tem muito mais fadiga, fica muito mais cansado em comparação àquele grupo tratado. E isso a gente consegue ver já com pouco tempo de tratamento. Então, isso aqui corrobora que o remédio atua não só exclusivamente no ganho de escala, mas também na parte de qualidade de vida, porque fadiga está diretamente relacionada à qualidade de vida. Isso responde um pouquinho uma das questões que fica de que as pesquisas ainda não estão tão claras, que é justamente a piora da fadiga nesse grupo de pacientes.

E o que isso significa para os pacientes, na verdade? Então, se a gente fala de escala motora, o.k., escala motora é muito legal para gente, é muito legal para avaliar a resposta, mas eu fiz um exercício nessa semana e perguntei para alguns pacientes: o que a piora motora significa para você? E esses pacientes me responderam isto aqui. Para alguns deles, é que não conseguem planejar o futuro, ou seja, eu sei que eu vou piorar, aí como que eu vou planejar alguma coisa se eu não sei até onde eu vou chegar, se eu não sei até que ponto vai ser minha piora? Outra questão é não conseguir se adaptar às limitações. Uma coisa é o paciente, por exemplo, que sofre um acidente, tem uma perda motora e começa a se adaptar àquela perda motora. O paciente com AME sempre vai ter aquela perda motora de maneira progressiva. Ele não consegue fazer uma adaptação, porque, conforme ele se adapta àquela perda, ele já vai ter uma nova perda e ele não conseguiu nem se adaptar à perda anterior. Não conseguir ir ao banheiro ou se higienizar sozinho, isso, para uma das minhas pacientes, é o maior medo da vida dela, ela acha que é uma grande limitação. Precisar de ajuda para se alimentar... Uma questão muito importante aqui que a gente fala é que os pacientes deixam o trabalho, mas as mães e os familiares também deixam o trabalho para cuidar desses pacientes, então esse impacto econômico é muito além do paciente em si. Deixar de pintar, para uma paciente minha que é artista plástica, e, por fim, deixar de segurar o filho, para uma paciente que teve uma gestação recente.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, em conclusão, a AME é uma doença progressiva e ela é progressiva em todos os tipos quando não tratada. A gente já tem evidência em estudos randomizados sobre o benefício e em estudos de vida real. A gente tem... Os estudos randomizados são menores, o Cherish traz um pouco dos pacientes com AME tipo 3, e, nos estudos de vida real, a gente tem mais dados ainda, e os pacientes tratados têm melhoras motoras e melhoras de qualidade de vida.

Mas os pacientes podem voltar a piorar depois de um tempo? Podem, porque o envelhecimento faz a gente piorar. Todo mundo perde com o envelhecimento, só que não adianta a gente deixar o envelhecimento se somar à doença. A gente precisa trabalhar no que a gente consegue, e o que a gente consegue hoje é tratar a doença.

É isso, agradeço e muito obrigado.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradecemos também a sua participação, muito importante, muito didática, Dr. Felipe, Ana Angélica, bem como as demais pessoas foram assim muito... A compreensão certamente das pessoas que nos acompanham pelo Brasil ficou bastante clara com todas as explicações. Inclusive eu quero ressaltar que o material fica disponível na página da Comissão de Direitos Humanos, e vamos até depois organizar esse material, que é tão bom, tão interessante, para fazermos uma publicação do Senado para podermos enviar ao STF, até para mostrar as dificuldades, porque o STF continua acompanhando isso. Inclusive, o Ministro Fachin, atual Presidente, é muito ligado à área da doença rara, particularmente a mielomeningocele – ou espinha bífida –, a família dele. E vamos mandar também para o Ministro Padilha, para a Conitec, para mostrar que... Quer dizer, temos um conjunto de explicações que corroboram a necessidade de dar a atenção devida a isso, inclusive com pareceres da Conitec, que, talvez por desconhecimento – certamente por desconhecimento – da causa e por outras razões, eventualmente olhando para a parte financeira... Isso vem em detrimento de direitos humanos, de cidadania e de efeito efetivo na qualidade de vida das pessoas.

Muito bem, Dr. Felipe, sempre desejo também um belo... Sabe que nós estamos debatendo esse assunto na Comissão de Ciência e Tecnologia também, que eu tenho a honra de presidir. E gostaria, Dr. Felipe, Ana Angélica e todos, de, do ponto de vista da pesquisa, também colaborar com a área de doenças raras, não só do ponto de vista aqui da dispensação do medicamento,



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

que é essencial, mas como que essa pesquisa vem acontecendo numa instituição, inclusive tão renomada, como a Unicamp. Que bom, mas ficamos à disposição.

Finalmente, como última fala, passamos a palavra a Natan Monsores de Sá, que é Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde. Com a palavra, Natan.

O SR. NATAN MONSORES (Para expor. *Por videoconferência.*) – Bom dia, Senador Arns. Em sua pessoa, cumprimento a todos aqui, todos e todas presentes.

Sim, eu estou aqui, ouvi os depoimentos de todos, tentando, com muita empatia aqui, com muita seriedade, indicar aqui mecanismos ou caminhos para gente poder apoiar a demanda de vocês, mas, antes de eu falar um pouquinho do que a gente tem feito aqui, na Coordenação-Geral de Doenças Raras, Senador, eu acho importante só diferenciar um pouquinho papéis.

Então, eu sei que, neste momento, eu represento o Ministério da Saúde, sou a cara do Ministério da Saúde aqui, nesta audiência, mas é importante salientar que a Conitec é um fórum que tem certa independência, né? Ela trabalha assessorada aqui pelo Ministério da Saúde, mas ela é composta por diversos órgãos aí do nosso ecossistema da saúde, né? Então, tem o Conselho Nacional de Secretários de Saúde, o Conselho Nacional de Secretários Municipais, enfim, o Conselho Federal de Medicina, algumas representações acadêmicas. O processo de tomada de decisão lá, na Conitec, segue um regramento baseado em lei e diz respeito ao nível das evidências que vão ter que ser avaliadas, ao mecanismo de custo-efetividade.

Eu sei que esse é um debate recorrente nesta Casa. O Senado tem feito reiteradamente essa discussão, mas só para, enfim, salientar, por mais que a gente, enquanto área finalística, a Coordenação de Doenças Raras, se expresse internamente, esse processo de tomada de decisão não é nosso. Não é a Coordenação de Doenças Raras que decide se o medicamento vai ou não vai ser disponibilizado na rede, vai estar disponível para os pacientes ou para as equipes clínicas fazerem uso, mas a gente tem uma outra responsabilidade nesse processo.

E aí, Senador, antes de eu avançar para a outra responsabilidade, só queria destacar: como o debate sobre a disponibilização de medicamentos para a AME ainda está acontecendo no cenário da Conitec, os representantes da Conitec, por uma questão de legalidade e de ética, infelizmente não podem antecipar a posição final do plenário antes de cumprir todo o rito



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

previsto em lei. Então, essa é a razão deles não estarem aqui; o Departamento de Gestão de Incorporação de Tecnologias, que é o DGITS, não está aqui com a gente hoje, tá? Então, só estou trazendo esse esclarecimento, mas o Ministério da Saúde não se furta a estar aqui, com vocês, conversando.

Então, o que é que a gente tem feito em relação às demandas dos familiares, das pessoas que vêm com AME aqui à Coordenação Geral de Doenças Raras?

Todos sabem dos anúncios recentes em relação à disponibilização de tecnologia, principalmente para crianças, para bebês de até seis meses de vida, mas a gente tem trabalhado aqui na Coordenação de Doenças Raras, uma série de especialistas – neurologistas, equipes de genética, fisioterapeutas, enfim... –, a gente tem trabalhado em documentos internos, e nesse momento, a gente tem feito isso, no sentido de tentar construir e ofertar para a população uma linha de cuidados voltada para as diferentes faixas etárias de pessoas que vivem com AME, hoje, no Brasil. Então, isso inclui orientações desde a tenra idade, a identificação precoce da AME, passando pelo Programa de Triagem Neonatal, que é algo que a gente tem trabalhado aqui internamente, que tem sido uma pauta inclusive com o Ministro Padilha... Nós temos trabalhado na expansão da triagem neonatal, nós temos trabalhado na questão dos programas de suporte aos pacientes também...

Enfim, uma série de ações estão em construção neste momento, inclusive com escuta das associações de pacientes. Diversas vezes recebemos aqui, no Ministério da Saúde, as representações das associações de AME, a gente tem ido aos eventos de neurologia, de neurogenética, ouvir os especialistas também sobre o que tem acontecido aí no cenário de mundo real, para tentar, a partir disso, discutir como que a gente pode avançar.

Então, enquanto coordenação de raras – eu não posso falar aqui do dossiê da Conitec tá, Senador? –, enquanto coordenação de doenças raras a gente está aberto a essa discussão em relação ao uso do nusinersena, de maneira estendida, para adultos.

A gente sabe que o perfil clínico que tem sido relatado dentro dos estudos clínicos, como os colegas que me antecederam disseram, nos traz algum perfil de melhora discreta para pacientes adultos com AME tipo 3, já tem algum perfil de segurança boa trazido dentro dos



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

estudos, mas, aí a gente esbarra num problema que é importante para o rito da Conitec, que é a questão da força e a disponibilidade da evidência.

Eu não queria enveredar para isso, mas, infelizmente, hoje, – ou felizmente, hoje –, dentro dos ritos, esses aspectos precisam ser considerados, para o bem ou para mal. Mas, para as linhas de cuidado, a gente consegue avançar.

Eu sei que o pedido de vocês aqui é diretivo para nusinersena, mas, para a rede de apoio dentro do SUS, a gente tem tentado melhorar e qualificar os profissionais de saúde do SUS para tentar colher melhor esses pedidos e tentar ser diretivo também, no sentido de tentar aportar algum grau de orientação clínica, suporte no que se refere à fisioterapia...

Eu sei que isso está muito distante ainda do pedido que vocês trazem aqui hoje, mas a Coordenação de Doenças Raras está aberta a acolher essa demanda e, internamente – tá, Senador Arns? –, levar isso ao conhecimento do Ministro Padilha também, para tentar, de alguma forma, juntar coro aos personagens de saúde, aos pacientes, para que, à medida que evidências não sejam suficientes, a gente construa canais para que essas evidências cheguem ao Pleno da Conitec e possam entrar também no debate.

Então, eu queria deixar aqui meu compromisso para a Juliana, para a Vanessa, para a Andréa, que tem um filho que é meu xará também, trazer aqui o nosso compromisso de solidariedade, enquanto Coordenação de Doenças Raras, para acolher... Eu tomei nota aqui de várias falas de vocês em relação a esse relato de mundo real, de já terem tido algum grau de acesso à terapia, mas foge à minha capacidade de tomar decisão o fornecimento por via judicial, o fornecimento que não aquele orientado pela Conitec, tá? Mas eu deixo aqui o meu compromisso, para encerrar minha fala, Senador, de sempre estar aberto a ouvir.

Aí peço ao Felipe e à Ana Angélica também para que, na medida do possível, façam contato com a gente aqui na Coordenação de Doenças Raras, encaminhem essas evidências, e aí a gente vai tentar construir internamente aqui um dossiê, um documento, uma nota técnica e endereçar isso para tentar fortalecer ou pelo menos não deixar este debate ser perdido aqui no interior do Ministério da Saúde.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Doença rara não afeta só a criança, isso é uma coisa que eu tenho dito nos eventos também. Há muitos adultos que vivem com doenças raras neurológicas, imunomediadas, reumatológicas, que precisam também do nosso olhar empático, atento, humanizado. Então, a gente está aqui disposto a acolher.

Juliana, Vanessa, Andréa, se quiserem também pedir aqui uma conversa conosco, o *e-mail* da Coordenação de Doenças Raras é público: cgraras@saude.gov.br – cg é coordenação-geral. Vocês podem pedir aqui para a minha equipe um momento de conversa. A gente vai acolher vocês, vai ouvi-los, vai ouvir os especialistas, e aí, juntos, a gente pode tentar construir um cenário mais favorável para este debate. Eu sei que às vezes a discussão na Conitec é árida, fica na questão de evidências, custo-efetividade, mas a gente pode tentar construir outras alternativas aqui também, como cenários de acesso gerenciado, chamar a empresa para conversar sobre propostas de compartilhamento de risco, enfim, esse não é um cenário fechado, a gente está aberto a fazer isso, está bom?

Então, Senador, eu mantenho aqui a coordenação à disposição do Senado, à sua disposição. Mães aqui, a gente está à disposição também para ouvir. Infelizmente, eu não posso me comprometer aqui na oferta da terapia, porque ela precisa dessa decisão da Conitec, mas a gente está aberto a, junto com vocês, fazer este debate e tentar manter essa pauta viva aqui para a gente tentar construir alternativas, está bom?

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradecemos a você, Natan Monsores de Sá, que é Coordenador-Geral de Doenças Raras.

Eu, como Senador, e certamente as pessoas que estão participando desta audiência pública e todos e todas que nos acompanham pelo Brasil, nós entendemos perfeitamente que, sobre essa decisão, a área de doenças raras, que o senhor preside, não é a área que decide pela incorporação do medicamento. Tudo isso deveria tirar o seu sono, dizendo que algo tão injusto, tão inadequado, tão distante da realidade está acontecendo dentro do ministério do qual V. Exa. é parte, quer dizer, uma desconsideração em relação às pessoas, às famílias, aos profissionais. Isso não é aceitável sob hipótese alguma.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então a sua proposta de falar, de colaborar para falar com as pessoas da Conitec é perfeitamente aceitável, lógico, mas, claro, quando você pensa que tem que qualificar as pessoas, tem que diagnosticar a doença, tem que ter terapias, isso da sua parte é muito importante, mas, ao mesmo tempo, é preciso ter acesso ao medicamento, não é? Como foi comprovado na audiência pública, é essencial, e alguém chegar e dizer "não, não tem eficácia comprovada" é um absurdo absoluto, considerando o quadro mundial de abordagem da doença.

E o que é pior: sobre a Conitec, que havia sido convidada para participar, recebi da Secretaria da Comissão a informação de que ela declinou do convite – declinou do convite. Declinou significa "eu não quero participar, eu não desejo participar". Isso é inaceitável de uma comissão nacional, da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Estão os pacientes aqui, as pacientes, os pacientes de uma maneira geral, as famílias, os profissionais da área, o Senado: "Não, eu declino do convite". E depois a Aspar, a Assessoria Parlamentar, veio com o argumento de que não se pode, que a Conitec não participa, não pode participar da discussão quando ainda a incorporação do medicamento está sendo analisada. É exatamente o contrário, não é? Quer dizer, esse é um pensamento atrasado, arcaico, que não leva em consideração as necessidades da população e em desacordo, inclusive, com a Lei 15.120, que nós aprovamos no Senado Federal.

As pessoas têm que ser ouvidas, têm que participar, têm que ouvir. Não é o técnico encastelado lá no seu gabinete, no Ministério da Saúde, na Conitec que vai decidir, não é? Tem que escutar as famílias, as pessoas, olhar as pesquisas, caso não conheça tudo. A Ana Angélica, o Dr. Felipe e a Proclame trouxeram aqui um relatório. "Não. Declino de ouvir ou de participar". Isso é impossível. A pessoa que falou que declina tinha que ser, de imediato, exonerada para o bem do Brasil, para o bem das pessoas.

Então anota a nossa nota, a nossa fala de indignação pelo desprestígio para a doença. E nós esperamos com o senhor, como Coordenador da área de doenças raras – para não ficar enxugando também gelo, quer dizer, derretendo também – que também haja colaboração. Mas nós vamos falar para o Ministro Padilha tudo isso por escrito, para o Supremo Tribunal Federal por escrito, para saber o que está acontecendo depois da decisão que... Não é essa a decisão. A decisão, inclusive, induz para que – nós vamos estudar isso direito – haja uma inversão de rota nesse sentido do desprestigiamento da cidadania. Infelizmente, eu lastimo, porque o Ministro



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Padilha é uma pessoa tão atenta às necessidades, e tem uma assessoria tão distante daquilo que todos nós achamos que seja justo e adequado.

Então, a nossa nota de profunda indignação e repulsa a isso que aconteceu.

Muito bom, então, passamos em seguida... Eu passo de novo para todas as pessoas, para alguma consideração final, mas vamos tomar todas essas providências. Eu digo isso particularmente para a mãe, Andréa, para a Juliana, que falou em seguida, para a Vanessa, que representa tão bem a área, para a Ana Angélica, que é uma fisioterapeuta de alta qualidade, e o Dr. Felipe, que é um pesquisador e, além de tudo, médico, atende, pesquisa, ensina, participa, e ressaltando que nós também, na Comissão de Ciência e Tecnologia, queremos abordar a doença rara sob o ponto de vista... Até o Dr. Felipe, eu penso, a Ana Angélica, a Proclame, todos, enfim, que nos acompanham poderiam apontar as pesquisas, depois, no Brasil, também nesse sentido.

Mas só para valorizar também as perguntas... Várias delas já foram respondidas no decorrer das falas.

Carla, de São Paulo: "Quais critérios de elegibilidade devem ser adotados para incluir pacientes AME 3 na terapia com nusinersena?".

João, de Pernambuco: "Seria necessário [...] mover todo o aparato legislativo a toda inclusão de um tratamento novo no sistema SUS ou existe uma maneira à parte?". É isso que a gente está debatendo, né?

Marcos, de São Paulo: "O que a experiência de outros países pode ensinar sobre o uso do nusinersena na AME 3?". Eu acho que isso foi bem abordado também nas exposições todas.

Yasmine: "Quantas pessoas vão se beneficiar da inclusão do medicamento?".

Então, para alguma ideia final, para nós irmos nos direcionando para a conclusão, passo, em primeiro lugar, para a Andréa Joana da Silva Gomes – acho que está presente ainda –, que é mãe de crianças, filhos com AME.

A SRA. ANDRÉA JOANA DA SILVA GOMES (Para expor. *Por videoconferência.*) – É isso mesmo, a gente... A minha luta é particular, pelos meus filhos, mas em geral, por todos os



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

pacientes com AME, que hoje não têm um tratamento digno para poder ter uma qualidade de vida melhor.

Foi colocada muito bem aí a questão de não somente sobreviver, e sim, viver, né? Vamos continuar lutando de mãos dadas, unidos, com a força, como familiar, que nós temos, para que consigamos, para que cada um, cada pessoa com AME tenha o direito de ter esse tratamento digno, cada um deles.

Agradeço muito a participação.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Obrigado de novo, Andréa Joana da Silva Gomes. Que a sua luta seja a nossa luta também, de todos nós.

Passo, em seguida, a palavra para Juliana Pereira França Ferreira, que é paciente com AME 3, sempre lembrando: atrofia muscular espinhal (AME).

Com a palavra, Juliana.

A SRA. JULIANA PEREIRA FRANÇA FERREIRA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigada, Senador.

Na consideração final, eu queria pedir ao Ministério da Saúde, à Conitec, a todos que pensem e reflitam a respeito desse pedido de incorporação, porque a gente precisa de uma análise justa e profunda dos dados que estão disponíveis hoje a respeito do nusinersena, que façam a seguinte reflexão: talvez os dados não sejam robustos o suficiente porque estão olhando para o lugar errado. Talvez estejam olhando para dados desatualizados. Então, é preciso que a análise seja feita de uma forma muito profunda, porque não é justo que uma decisão como essa seja baseada em estudos que não levam em consideração escala, observações que tenham a nossa realidade, que reflitam a realidade da pessoa com AME 3. E são diferentes. A gente viu aqui, o Dr. Felipe mostrou, a Dra. Ana Angélica mostrou, e nós temos ciência de que esses dados existem. Então, é preciso que seja feita de uma forma profunda.

Só para finalizar, eu queria dizer que nós não somos invisíveis e que nos ignorar, ignorar a nossa existência não vai fazer a gente sumir. A gente continua existindo, né? Mas a gente vê cada



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

dia, tanto no mundo real, nas nossas experiências, como nos estudos, com as escalas corretas, com a abordagem correta para AME 3, a gente vê que a AME, a atrofia muscular espinhal, pode ter o seu curso mudado.

É com isso que eu queria contribuir na minha consideração final aqui.

Obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradeço, Juliana. Muito boa a fala, assim como a da Andréa e demais pessoas. E vamos em frente. Estamos juntos aí na luta – luta por dignidade, cidadania e atendimento adequado.

Passo, em seguida, a palavra à Vanessa Nicolao, que é representante da Proclame – só vou ler aqui o nome, porque é bem interessante –, Associação de Pacientes Residentes do Instituto de Apoio e Cuidados às Pessoas com Atrofia Muscular Espinhal.

Com a palavra, Vanessa.

A SRA. VANESSA NICOLAO (Para expor. *Por videoconferência.*) – Então, eu só queria, primeiro, agradecer a oportunidade, Senador, que foi muito importante para nós.

Eu sei, eu entendi a palavra do Sr. Natan, respeito muito a capacidade e o profissionalismo deles. Nós entendemos muito bem a função da Conitec e a função do Ministério da Saúde. O que nós estamos questionando é justamente o fato de a Conitec não estar sendo fiel aos dados que estão sendo apresentados. Eles estão apresentando uma análise que parece quase "desprofissional", que não está entendendo o que está sendo apresentado nos laudos que foram entregues, nas pesquisas. Nós conseguimos analisar isso com muita profundidade como pacientes – nós temos os médicos, os especialistas nos auxiliando – e a verdade é que muitos estudos foram excluídos de uma forma sistemática, procurando achar um resultado negativo. É isso que nós vimos. Então, nós não sermos ouvidos nesse momento da Conitec, antes de uma decisão final, é injusto, porque eles estão tapando a nossa voz para não ouvir onde estão os erros. Nós queremos ser ouvidos antes da tomada final de decisão.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

É por isso que eu peço a ajuda do Ministério da Saúde e do Senador para que esta reunião chegue até eles. Nós queremos que a nossa voz seja ouvida, a nossa opinião e a nossa vontade sejam consideradas no que está sendo decidido sobre nós. Então, nós sabemos que esses dados existem, que esses dados de eficácia comprovada existem. A questão do custo-benefício está demonstrada porque não há custo. Nós conhecemos a proposta da farmacêutica. Então, nós queremos ser ouvidos antes de uma decisão final.

E, por fim, só para dizer o que o Senador já falou, o que justifica essa insistência sistemática em dizer que não há dados robustos se agências internacionais do mundo inteiro já aprovaram? Então, assim, se não for aprovado dessa vez, nós não vamos ficar calados. A Juliana falou que nós não vamos ficar calados, nós vamos partir para outras atitudes, porque nós não estamos mais... Nós já fomos ignorados durante cinco anos. Então, a Conitec ignorar a opinião do usuário, do cidadão, que é quem vai receber a medicação, para tomar uma decisão, não é justo.

Enfim, peço desculpas se às vezes a gente se exalta, mas a gente tem convivido com essa dor há muito tempo e a gente está cansado. A gente já está muito cansado. Nós queremos que pessoas, que crianças como o Natan e a Noemy não passem pelo que eu passei na minha vida e que as pessoas adultas com AME tenham o direito a ter dignidade de erguer um garfo para comer, de respirar sozinha, de segurar o pescoço. Isso é o que é justo. Isso é o que está dentro da lei e é um direito nosso.

Agradeço aos presentes, aos colegas que estão aqui, ao Senador e aos representantes do Ministério da Saúde pela oportunidade.

Era isso.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradecemos a você de novo, Vanessa Nicolao. Parabéns pelo trabalho, pela caminhada, pela união de pessoas!

E o que você falou... Justamente você falou que não estão sendo ouvidos e não eram ouvidos e não são ouvidos. Por isso é que nós aprovamos a Lei 15.120, de 7 de abril de 2025, em que está escrito claramente: "O assento destinado ao representante de organização da sociedade civil de caráter nacional é de ocupação rotativa e será preenchido pela entidade cuja



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

representatividade seja afeta à condição de saúde analisada". Então, vocês tinham que estar lá juntos e apresentando todos os detalhes disso para orientar a própria decisão da Conitec, né? Está na lei agora, porque justamente não se escutava a sociedade, sejam os pais, sejam os pacientes.

A vocês, parabéns, porque têm documentos muito robustos e organizados nessa área! Parabéns!

Passo, em seguida, a palavra a Juliana Pereira... Aliás, desculpem, a Juliana já falou, né? Para a Ana Angélica de Lima, que é fisioterapeuta.

Com a palavra, Ana Angélica.

A SRA. ANA ANGÉLICA R. DE LIMA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Para essa finalização, como fisioterapeuta e também como pesquisadora, gostaria de dizer que a fisioterapia é essencial para qualquer pessoa com AME. No entanto, a fisioterapia não tem a capacidade de parar a degeneração do neurônio motor inferior. Hoje o melhor cenário que nós temos é a junção da fisioterapia, o atendimento com a equipe interdisciplinar, mais a medicação. Então, o acesso a esses dois acompanhamentos é essencial para essas pessoas.

E quero dizer também que eu estou à disposição no que eu puder colaborar.

Obrigada.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradecemos também à Ana Angélica, parabéns pelo trabalho. Novamente, quero reiterar isto, né? Muito bom. E muito clara, muito didática.

Passo, em seguida, a palavra ao Dr. Felipe Franco da Graça, médico neurologista. Com a palavra, Dr. Felipe.

O SR. FELIPE FRANCO DA GRAÇA (Para expor. *Por videoconferência.*) – Muito obrigado a todos, novamente, pelo convite.

Queria agradecer pela possibilidade de estar aqui falando um pouco desses dados, porque como eu disse, a gente está sempre na ponta e é muito bom poder trazer essa informação para



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

quem toma as decisões; e dizer também que a gente está à disposição, como pesquisador, como médico, para fazer a contribuição.

Felizmente, o Brasil tem um número muito grande de pesquisadores em AME, de médicos especialistas que têm bastante experiência, de profissionais com bastante experiência, isso em todo o país. Então a gente está aqui para contribuir. E eu espero que realmente, no futuro breve, a gente possa oferecer o tratamento aos nossos pacientes, que já colaboram tanto com a gente nas pesquisas, né? Importante dizer que, mesmo sem o tratamento, esses pacientes topam participar das pesquisas, eles se deslocam até os centros universitários, mesmo que a gente não possa oferecer para eles o que a gente gostaria de oferecer em termos de tratamento.

Então, queria também aproveitar este momento para agradecer a todos os pacientes que têm participado das pesquisas clínicas aqui no Brasil.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR) – Agradeço de novo ao Dr. Felipe, parabéns pelo trabalho da universidade, de ensino, de pesquisa que é desenvolvida. Ficamos à disposição da extensão, como é agora nessa articulação com a sociedade, que são vertentes importantes das instituições de ensino superior. Foi um prazer conhecê-lo também.

Passo em seguida a palavra ao Dr. Natan Monsores, que é Coordenador-Geral de Doenças Raras do Ministério da Saúde.

O SR. NATAN MONSORES (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigado, Senador Arns.

Enfim, só reiterando para as pessoas presentes aqui, para quem nos ouve, né? A Coordenação de Doenças Raras está aberta, Vanessa, enfim, os colegas aqui que são professores universitários, como eu também sou, para que encaminhem para a gente, tá? Eu já tenho o banco de dados aqui com os estudos clínicos, com algumas informações, mas é importante essa manifestação específica, principalmente dos pacientes, das pessoas que vivem com AME.

Então, Vanessa falou do dossiê algumas vezes. Vanessa, se você puder nos encaminhar aqui na Coordenação de Doenças Raras, a gente vai acolher, te chamaremos aqui para uma conversa. Se também a equipe do gabinete do Senador Arns quiser participar, está convidada também, para



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

a gente entender um pouquinho melhor esse cenário que vocês trazem de discordância em relação ao que está sendo discutido na Conitec, tá?

Senador, só reiterando aqui também, né? Eu, enfim, eu não sou um burocrata, eu sou um pesquisador, professor da Universidade de Brasília, pesquisador no campo das doenças raras há mais de 20 anos, trabalhando sempre aí muito próximo aos movimentos de pacientes, aos colegas do campo científico também. E em razão dessa proximidade com as associações de pacientes, a gente tenta sempre trazer aqui na Coordenação de Doenças Raras essa postura aberta, empática, inclusive para discussão dessa questão das evidências, um tema que reiteradamente a gente tem tratado aqui dentro do Ministério da Saúde.

O nível, a discussão sobre evidências para doenças raras tem outras características, muito diferentes das doenças prevalentes, das doenças transmissíveis prevalentes. Então, é essa a sensibilização que a gente tem feito aqui internamente, no Ministério da Saúde, tá?

Senador, novamente, eu me coloco à disposição do seu gabinete, à disposição do Senado, desta Comissão de Direitos Humanos, para em conjunto a gente ir remodelando esse ecossistema de cuidados, atendimento e direito das pessoas com doenças raras – e, nesse caso aqui, das pessoas que vivem com AME, tá?

Então, quero só reiterar aqui a nossa abertura sempre ao diálogo democrático, aberto sobre qualquer tema que esta Casa queira trazer aqui para a gente na Coordenação de Doenças Raras.

O SR. PRESIDENTE (Flávio Arns. Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSB - PR. *Por videoconferência.*) – Agradeço novamente ao Dr. Natan Monsores de Sá.

É uma interface de várias Comissões, né? Aqui, na de Direitos Humanos, a gente está discutindo, porque é um direito humano, é cidadania, é dignidade, respeito. Ao mesmo tempo, quando se fala de qualificação, de atendimento, de terapias, é Comissão de saúde, a CAS (Comissão de Assuntos Sociais). Muitas dessas crianças precisam de um atendimento, de uma modificação na educação, que seria a Comissão de Educação, também atenta para as necessidades específicas das pessoas. E lá, como eu falei, na Ciência e Tecnologia, que eu presido, eu tenho muito interesse – e a Comissão também – na pesquisa, no desenvolvimento do trabalho, particularmente, das universidades e de outras instituições, para o desenvolvimento de



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

medicamentos, de terapias e de tanta coisa importante que está acontecendo. Então, a gente agradece; agradeço novamente.

E qual vai ser o passo seguinte? Vamos organizar esse material da audiência pública – há tanta informação boa que, inclusive, pode servir como publicação do Senado –; vamos entrar em contato, como eu disse, e eu vou mostrar para os expositores e expositoras aí o material também; vamos falar com o Ministro da Saúde; vamos enviar para a Conitec; vamos enviar para o Dr. Natan e também para o Supremo Tribunal Federal, para que todos tomem conhecimento do que foi feito aqui; e vamos acompanhar os desdobramentos. Estamos pedindo essencialmente aquilo que a gente fala na pessoa com deficiência, mas que serve para doenças raras: "Nada sobre nós, sem nós". Quer dizer que as *(Falha no áudio.)* ... representativas da área sejam escutadas. Só isto que se está pedindo: que haja um diálogo, que haja sensibilidade, conscientização. Isso serve para todas as áreas, para o comércio, para a agricultura, para a indústria... Se a gente fizer isso, não haverá problemas maiores, porque o bom senso prevalecerá. E tem tanto documento tão bom da área – não é? –, e dos profissionais da área, que pode servir de subsídio!

Agradeço, então, de novo – e me permitam chamá-los pelo primeiro nome –, ao Felipe, à Juliana, à Ana Angélica, à Vanessa, à Andréa, ao Natan.

Agradeço também à Secretaria da Comissão, aos meios de comunicação do Senado, que permitem que este debate vá para o Brasil inteiro.

E vamos em frente, vamos juntos, contem com o Senado Federal!

Tenho absoluta convicção de que Senadores e Senadoras estão, todos nós, solidários com esse assunto.

Nada mais havendo a tratar, então, declaro encerrada a presente audiência pública.

Obrigado.

(Iniciada às 10 horas, a reunião é encerrada às 12 horas e 04 minutos.)