



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ATA DA 2ª REUNIÃO DA SUBCOMISSÃO PERMANENTE DE DIREITOS DAS PESSOAS COM DOENÇAS RARAS DA 2ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 57ª LEGISLATURA, REALIZADA EM 12 DE NOVEMBRO DE 2024, TERÇA-FEIRA, NO SENADO FEDERAL, ANEXO II, ALA SENADOR ALEXANDRE COSTA, PLENÁRIO Nº 9.

Às quatorze horas e dez minutos do dia doze de novembro de dois mil e vinte e quatro, no Anexo II, Ala Senador Alexandre Costa, Plenário nº 9, sob a Presidência da Senadora Damares Alves, reúne-se a Subcomissão Permanente de Direitos das Pessoas com Doenças Raras com a presença dos Senadores Alessandro Vieira, Alan Rick e Flávio Arns, e ainda dos Senadores Zenaide Maia, Izalci Lucas, Augusta Brito, Wilder Moraes, Angelo Coronel e Professora Dorinha Seabra, não-membros da comissão. Havendo número regimental, a reunião é aberta. A presidência anuncia a presença de diversas instituições no Plenário da Audiência. Passa-se à apreciação da pauta: **Audiência Pública Interativa**, atendendo ao requerimento REQ 88/2024 - CAS, de autoria Senadora Mara Gabrilli (PSD/SP), Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF). **Finalidade:** Debater a normatização do acesso das pessoas com doenças raras a medicamentos, dispositivos médicos e tecnologias no âmbito do SUS. **Participantes:** Ricardo Emílio Pereira Salviano, Defensor Público Federal; Messias Alves Trindade, Diretor da 2ª Diretoria da AudSaúde do Tribunal de Contas da União; Antoine Daher, Presidente da Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (FEBRARARAS); Regina Próspero, CEO da Aliança Brasileira de Associações e Grupos de Apoio a Pessoas com Doenças Raras (Aliança Rara); Priscila Gebrim Louly, Coordenadora-Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Ministério da Saúde; e Renato Benine, Diretor de Relações Governamentais do Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos (Sindusfarma). **Resultado:** Realizada. Antes de encerrar a reunião, a presidência submete à Subcomissão a dispensa da leitura e aprovação da ata desta reunião, que é aprovada. Nada mais havendo a tratar, encerra-se a reunião às dezesseis horas e quarenta e sete minutos. A presente Ata será assinada pela Senhora Presidente e publicada no Diário do Senado Federal, juntamente com a íntegra das notas taquigráficas.

**Senadora Damares Alves**

Vice-Presidente da Subcomissão Permanente de Direitos das Pessoas com Doenças Raras



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Esta reunião está disponível em áudio e vídeo no link abaixo:  
<http://www12.senado.leg.br/multimedia/eventos/2024/11/12>

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Fala da Presidência.) – Boa tarde.

Havendo número regimental, declaro aberta a 2ª Reunião, Extraordinária, da Subcomissão Permanente de Direitos das Pessoas com Doenças Raras da 2ª Sessão Legislativa Ordinária da 57ª Legislatura.

A presente reunião atende ao Requerimento nº 88, de 2024, de minha autoria e de autoria da Senadora Mara Gabrilli, para a realização de audiência pública destinada a debater a normatização do acesso das pessoas com doenças raras a medicamentos, dispositivos médicos e tecnologias no ambiente do SUS.

Informo que a audiência tem cobertura da TV Senado, da Agência Senado, do *Jornal do Senado*, da Rádio Senado e contará com serviços de interatividade com o cidadão, pela Ouvidoria, através do telefone 0800 0612211 – a ligação é de graça, 0800 0612211 –, e pelo e-Cidadania, por meio do portal [www.senado.leg.br/ecidadania](http://www.senado.leg.br/ecidadania), que transmitirá ao vivo a presente reunião e possibilitará o recebimento de perguntas e comentários aos expositores via internet.

Foi convidado para esta reunião o Ministério da Saúde, que está representado pela Coordenadora Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde, a Priscila Louly.

Foi convidada a Defensoria Pública, que está representada pelo Dr. Ricardo Emílio Pereira Salviano, que já está aqui de forma presencial. Obrigada, Dr. Ricardo, por ter vindo de forma presencial. Em um debate como este, a gente sente a necessidade de estarmos juntos, olhando olho no olho.

Foi convidado o Conselho Nacional do Ministério Público, que não respondeu ao convite.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Foi convidada a Diretoria de Saúde do Tribunal de Contas da União, o Dr. Messias Alves Trindade. Está aqui. Muito obrigada, Dr. Messias, por estar conosco.

Também convidamos a Aliança Brasileira de Associações e Grupos de Apoio a Pessoas com Doenças Raras. Está aqui, como sempre, atendendo o convite, a Regina Próspero. Obrigada, Regina.

Está conosco também a Febrararas, na pessoa do Sr. Antoine Daher, que está conosco em todos os debates – todos –, não só em audiência pública, mas em reuniões, fornecendo dados, números, está sempre conosco, ajudando com pareceres. Muito obrigada à Febrararas.

Também foram convidados o Diretor de Relações Governamentais do Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos, o Renato Benine. Obrigada por estar com a gente.

E nós também convidamos a Bioered Brasil, que mandou um documento dizendo que não participaria da reunião. E também, para nossa surpresa, convidamos o Conselho Nacional de Justiça, que disse que não viria à nossa audiência.

Está conosco, de forma *online*, também a nossa querida Senadora Mara Gabrilli, que é a Presidente da Subcomissão. A Mara ansiou por este encontro.

E a gente quer aqui agradecer imediatamente ao Presidente da Comissão, Senador Humberto Costa. Esta Comissão tem um número enorme de pedidos de audiência, mas a Comissão entendeu a necessidade de priorizar esta audiência pública. Então, nós queremos fazer esse agradecimento, esse registro ao Presidente da Comissão e a todos os membros da Comissão.

E eles fizeram isso também por conta de toda a mobilização da sociedade civil. E aqui a gente inicia esta audiência dizendo da importância da participação da sociedade civil organizada nesses grandes debates. Esta Casa funciona também por meio das mobilizações. E tem uma outra palavra que eu não gosto de usar muito, mas eu vou usar: também por meio da pressão popular. Então, parabéns às instituições que se organizaram e que demandaram os Senadores para que esta discussão acontecesse aqui hoje.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Quero agradecer a presença das instituições que estão aqui presentes, vários grupos aqui presentes. Nós temos a alegria hoje de receber inclusive a Presidente das Mães Metabólicas, que é mais um segmento que vai estar ali, sendo priorizado nesta nossa Subcomissão de Doenças Raras. Obrigada às Mães Metabólicas por estarem conosco e às demais instituições, que eu vou anunciando no decorrer da audiência.

Nós vamos informar também que a participação popular está incrível. Muita gente está nos assistindo, porque este tema mobiliza toda a sociedade. Os raros são muitos nesta nação, e a gente precisa deixar isso muito claro. Não podemos mais subestimar, não podemos mais subestimar as famílias raras no Brasil. Não é um grupo de duas, três pessoas, não. As famílias raras, as famílias das pessoas com doenças crônicas são muitas no Brasil, e a gente não pode mais subestimar o desejo, a vontade, o anseio, as expectativas das famílias raras.

É por isso que esta Comissão tem uma Subcomissão dedicada só ao tema, capitaneada pela Parlamentar que mais entende do assunto, por uma Senadora que deu a vida a este tema; uma Senadora que coloca o mandato dela inteiramente à disposição das famílias raras; uma Senadora que orgulha o Parlamento brasileiro, a nossa querida Senadora Mara Gabrilli, que, por um probleminha de saúde, não está presencialmente, mas está de forma *online*. Trabalhou muito para que esta audiência acontecesse.

Vamos iniciar esta audiência ouvindo a nossa Presidente da Subcomissão de Doenças Raras, a nossa querida Senadora Mara Gabrilli, que merece de todos nós todo o louvor e aplauso por tudo que ela está fazendo nessa pasta.

Senadora Mara, a senhora vai iniciar esta audiência. É um prazer. Estou morrendo de saudade do seu abraço. Sim, gente, a Mara abraça, literalmente, a Mara abraça. Estou morrendo de saudade de você. A audiência está acontecendo porque você trabalhou muito para que ela acontecesse hoje. As famílias raras lhe agradecem, Mara.

A palavra está com você, para a abertura oficial da nossa audiência.

**A SRA. MARA GABRILLI** (Bloco Parlamentar da Resistência Democrática/PSD - SP. Para discursar. *Por videoconferência.*) – Muito obrigada, Senadora Damares, minha amiga. Graças a



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

você está sendo possível fazer tudo isso, mesmo eu aqui com a mão quebrada. Eu tive um acidente, me quebrei e aí não pude pegar o avião.

Eu lhe agradeço do fundo da alma e agradeço a todos vocês que se dispuseram a participar, que vêm trazer muitas informações necessárias para a gente trabalhar. Então, obrigada, Senadora Damares, por toda essa sua disposição de trabalhar esse tema. Obrigada pela parceria e por presidir essa nossa audiência, principalmente pela parceria numa pauta tão importante em defesa dos direitos das pessoas com doenças raras. Você entendeu o tamanho da profundidade e quanto trabalho a gente tem pela frente, o quanto essas pessoas precisam do nosso trabalho. Então, muito obrigada a todos vocês.

Quero agradecer a presença de todos vocês e por participarem dessa discussão relevante em que a gente fala da qualidade de vida das pessoas com doenças raras, das suas famílias, da normatização do acesso a medicamentos, de dispositivos médicos e tecnologias no âmbito do SUS. Agradeço a todos os presentes.

O fato de a indústria estar presente, com o sindicato, através do Renato Benini, também é muito importante para a gente ter esse segmento próximo para conseguir avançar no acesso. A gente sabe que mais de 80% da população brasileira depende exclusivamente do SUS para ter acesso à saúde. Por isso, a gente quer avaliar o atual cenário de incorporação de novas tecnologias e medicamentos no SUS, mas também debater os avanços nos PCDTs, que são os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas, que também são fundamentais nesse processo. São os PCDTs que estabelecem os critérios para o diagnóstico e para o tratamento dessas doenças.

Ao longo desses anos, Senadora de Damares, a gente percebeu que a falta ou a morosidade na atualização ou disponibilização de novos PCDTs têm se tornado um dos grandes gargalos para que a população acesse seus direitos e possa ter uma maior qualidade de vida. E, ainda, que a incorporação de alguns medicamentos órfãos é recomendada pela Conitec com critérios extremamente restritivos, impedindo o acesso a muitos que necessitam e que poderiam se beneficiar daquela terapia. Uma das grandes queixas é quando a Conitec alega modestos benefícios clínicos que não justificam o preço.

Então, assim, para uma pessoa que está... uma criança com atrofia muscular espinhal (AME), por exemplo, pode sustentar melhor o pescoço e o tronco e reagir mais a estímulos; isso a gente



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

chama de pouco? De repente, conseguir passar de um estágio de respirar no aparelho para ter algum momento de independência desse respirador; isso a gente chamaria de pouco? A gente sabe o quanto esse ganho pode ser imensurável para uma criança e para a sua família.

Então, assim, a gente está contando com uma questão subjetiva, porque a gente não pode tratar isso dessa forma, em que, de repente, para um técnico da Conitec, isso é pouco, mas, para a família e para essa criança que tem essa doença, é um mundo, é uma mudança, é um salto de qualidade imenso.

E, por exemplo, imaginem uma melhora na deglutição, quando a pessoa passa a comer, quando ela não comia! A gente vai falar que isso é pouco?

Já promovemos uma audiência na CASRARAS, no primeiro semestre, que foi muito rica. A Senadora Damares também a presidiu, com toda maestria, a nossa Vice-Presidente da CASRARAS. Quando debatemos o desafio e os avanços após os dez anos em vigor da portaria do Ministério da Saúde nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS e instituiu incentivos financeiros para o seu custeio.

Desde então, eu vejo a Regina Próspero trabalhando muito, dando o sangue por essa portaria, o nosso Antoine também, dando o sangue por esse tema, para a gente conseguir aprimorá-lo, para a gente conseguir expandi-lo. E uma das inúmeras questões apontadas foi quanto ao acesso a exames genéticos no âmbito do SUS, por exemplo, que ainda enfrenta dificuldades e não disponibiliza toda a gama de exames necessários, e a concentração de serviços de referência de geneticistas nas Regiões Sudeste e Sul.

Por isso, a gente tem trabalhado e incentivado a disponibilização de serviços e profissionais geneticistas nas Regiões Norte, Nordeste e Centro-Oeste. E, além disso, a CASRARAS sugeriu ao Governo que promova incentivos para pesquisa e desenvolvimento de terapias, produção de reagentes e testes genéticos em nosso país por meio de parcerias com a iniciativa privada, para conseguirmos agilizar isso, porque são muitas pessoas precisando disso e esperando.

A gente quer dar visibilidade às pessoas com doenças raras e suas necessidades para que a gente continue evoluindo na atenção desses milhões de brasileiros e de suas famílias. E, mesmo que ainda não haja, no momento, no mundo, tratamento específico para a maioria das doenças



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

raras, a gente acredita que é fundamental, quando esse tratamento ou medicamento existe, que ele seja oferecido pelo SUS e que a população brasileira se beneficie dos avanços da ciência, da medicina e do bem-estar no dia a dia, mesmo que esse medicamento ainda não exista.

Cerca de 75% das doenças raras atingem crianças, muitas delas, Damares, desde o seu nascimento, e nosso compromisso é trabalhar a favor da vida dessas pessoas. E a gente quer ações concretas para prevenir o desenvolvimento das doenças, as sequelas e deficiências, que, muitas vezes, são graves, e ainda trabalhamos para oferecer cuidados, reabilitação e inclusão social.

Na nossa visita, Senadora Damares, ao Instituto Jô Clemente, que está trabalhando o teste do pezinho, trabalhando para fazer a ampliação no Brasil inteiro, a gente viu a necessidade de investir nisso, na triagem neonatal precoce.

E não se pode avaliar os medicamentos para condições raras do mesmo modo e com os mesmos critérios das análises de insumos voltadas a uma parcela grande da população, sobretudo nos casos em que não há alternativa terapêutica para os pacientes.

A gente defende a vida e a urgência de que os tratamentos disponíveis sejam incorporados pelo SUS e a existência de uma política de dispensação organizada, que vai ajudar, inclusive, a reduzir os custos para acesso a esses medicamentos.

Mas pelo que a gente mais luta é que a gente quer que a população brasileira não precise recorrer à judicialização, que, infelizmente, hoje, é a maior política pública que existe para doenças raras, que é tão sofrida e desgastante para todos nós. É sofrido para as pessoas que têm doenças raras e acaba com o nosso Ministério da Saúde.

Então, a gente precisa ouvir os nossos convidados, sempre tendo em mente que o nosso objetivo maior é oferecer aos brasileiros e brasileiras com doenças raras produtos e serviços seguros, eficazes e de qualidade e que sejam ofertados pelo SUS.

Muito obrigada, Senadora Damares. Muito obrigada a todos vocês que estão aí, predispondo-se a dar o tempo de vocês para ajudar o nosso trabalho. Então, muito obrigada!

Gratidão, Damares! Beijos! (*Palmas.*)



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Mara, você nos inspira. Você é, de fato, uma esperança para as famílias raras no país.

Eu sei, Mara, que você vai acompanhar a audiência toda. A sua equipe está aqui.

Eu quero dizer, senhores, que as equipes técnicas da Comissão, do meu gabinete, do gabinete da Mara, toda a equipe da Mara está aqui, porque esse aqui não vai ser um debate apenas para sair na televisão. Nós queremos sair com encaminhamentos desta audiência pública.

Sua equipe está toda aqui, Mara, e eu sei que você vai acompanhar a audiência, mas você fique à vontade se precisar desligar a câmara, acompanhando somente por áudio. A gente vai entender.

Obrigada, Presidente! E eu vou aqui, agora, me esforçar para te representar muito bem nesta audiência. Muito obrigada!

E a gente vai sair daqui, sim, com encaminhamentos, porque as pessoas que vieram para este debate... E aqui, Mara, eu registro que estão presentes aqui, no auditório, além das Mães Metabólicas, a Aliança Distrofia Brasil, a Fedrann, a ACDG, a RNDR; está aqui a Acamu, de Santa Catarina; a Associação das Ataxias do Brasil está aqui; está aqui a Associação do Rio Grande do Norte de Doenças Raras; a Associação Brasileira de Ataxias Hereditárias está aqui também. Várias instituições, pessoas que tiraram dinheiro do bolso, fizeram vaquinha e vieram para esta audiência. Eu quero aqui, em nome de todos os Senadores, prestar a minha homenagem a vocês pelo engajamento e pela forma como vocês estão participando desse debate. Muito obrigada.

Mara, a gente vai dar início agora às exposições.

Nós temos seis oradores, e eu quero orientar os oradores que estão aqui presencialmente.

Nós temos um cronômetro ali, vocês podem acompanhar.

Nós vamos dar dez minutos para cada um, mas eu sou generosa e sei que o debate é palpitante.

Reduzir a dez minutos as falas, às vezes, é muito ruim. Vai tocar uma campainha, mas eu serei generosa.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A gente vai poder aumentar o tempo, mas vamos procurar trabalhar em cima de um tempo já preestabelecido.

Nós temos *online* duas convidadas, que são a Priscila, do Ministério da Saúde, e a Febrararas. O que nós vamos fazer?

Vocês vão escutar também uma campanha, mas não se assustem.

Nós decidimos estabelecer a seguinte ordem de fala: vai falar primeiro o Dr. Ricardo, Defensor Público Federal; na sequência, o Dr. Messias, do Tribunal de Contas da União; em terceiro lugar, vai falar... Aí vem a Sociedade Civil: a Regina Próspero; vai falar a Febrararas, em quarto lugar; em quinto, nós estabelecemos o Dr. Renato para falar.

E nós decidimos deixar o Ministério da Saúde por último, apenas por estratégia, Priscila, pois parte das exposições aqui, talvez você vá precisar delas, para dar as respostas de que a gente precisa. Então, o Ministério da Saúde será o último a falar, porque, com certeza, você vai querer fazer uma interação da sua fala com as falas que vão anteceder-la.

Então, na sequência, nós vamos começar ouvindo o Dr. Ricardo Emílio Pereira Salviano, Defensor Público Federal, por dez minutos.

No final, os senhores ainda terão cinco minutos, três a cinco minutos, para as considerações finais.

**O SR. RICARDO EMÍLIO PEREIRA SALVIANO** (Para expor.) – Primeiramente, eu gostaria de agradecer o convite feito à Defensoria Pública da União pela Senadora Mara Gabrilli e pela Senadora Damares Alves, na pessoa de quem eu cumprimento todo o Parlamento brasileiro.

Gostaria também de cumprimentar, aqui nesta ocasião, a Priscila Louly, que representa o Ministério da Saúde; também o Sr. Messias Alves Trindade, Diretor da 2ª Diretoria do Tribunal de Contas da União; a Sra. Regina Próspero, representante da Aliança Rara; e o Antoine Daher, Presidente da Federação Brasileira das Associações Febrararas, na pessoa de quem eu cumprimento todas as demais associações do Brasil e todos os pacientes que são portadores de doenças raras.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Vou começar com uma breve explanação a respeito da triagem neonatal. A Senadora Mara Gabrilli alertou para esse ponto, e é um tema que chama a atenção de todos nós, porque foi promulgada uma lei, em 2021, fixando uma obrigação para que o Ministério da Saúde apresentasse à sociedade um cronograma de implementação de cinco etapas para o Programa de Triagem Neonatal, e, até o momento, não foi feita essa regulamentação pelo Ministério da Saúde.

Então, a Defensoria Pública da União vai expor aqui os motivos pelos quais entende que deve ser feita a regulamentação dessa norma, e a sociedade precisa ter um cronograma para que essas etapas sejam, de fato, implementadas.

Primeiramente, a triagem neonatal é uma ação preventiva eficaz, porque permite potencializar o espectro do diagnóstico a tempo de se interferir no curso de diversas doenças, permitindo o tratamento precoce específico, minimizando as sequelas associadas a cada uma delas, e evitando até mesmo a morte prematura.

Toda criança nascida tem direito à triagem neonatal.

Para que se possa alcançar o objetivo de detectar algumas doenças, o teste deve ser feito no momento e da forma adequados, geralmente entre o terceiro e o sétimo dias de vida.

A descoberta da patologia no início da vida da criança previne o agravamento do quadro e a própria evolução dessas doenças, o que implica evidentes benefícios, amenizando problemas sociais, econômicos e emocionais para a criança e também para a sociedade e para o Estado, como a redução dos recursos financeiros que deverão ser colocados à disposição durante o tratamento da saúde ou por toda uma vida de excepcionalidade.

O que queremos alertar aqui é que a triagem neonatal é imprescindível para a saúde da criança, para evitar que a criança possa ter uma doença, ter o agravamento da doença, e também é imprescindível no sentido de a gente conseguir fazer mais com menos recursos, porque, a partir do momento em que a criança tem uma doença, ela vai ser mais dispendiosa para o Estado, porque você vai precisar ter um internamento em UTI, você vai precisar de uma equipe multidisciplinar, você vai precisar de um medicamento caro – porque geralmente os



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

medicamentos de doenças raras são muito dispendiosos... Então, o Estado acaba arcando com uma conta que poderia ser muito menor se a prevenção fosse eficaz.

O ECA tornou obrigatório o Teste do Pezinho, e, apesar de estar prevista no art. 10º, inciso III, do Estatuto da Criança e do Adolescente a obrigatoriedade do Teste do Pezinho, a gente sabe que ainda há muitos entraves burocráticos em algumas regiões do país e há dificuldade para se implementar, de fato, o Teste do Pezinho.

Apesar da previsão normativa, é factível que a prioridade da prevenção preconizada no texto constitucional ainda está longe de integrar a rotina dos usuários do SUS, principalmente dos recém-nascidos nos estados com baixo índice de desenvolvimento humano. Essa realidade torna-se perceptível ao lançarmos os olhos sobre os serviços de saúde de triagem neonatal em determinadas regiões do país, que se esforçam para alcançar padrões mínimos de qualidade e cobertura.

Por ser responsável por implementar a Política Nacional de Triagem Neonatal, o Ministério da Saúde tem por obrigação legal regulamentar a Lei 14.154, de 2021, e apresentar um cronograma à sociedade, como estabelece o art. 10º, §1º, da referida lei.

Com esse posicionamento da Defensoria, nós fizemos um questionamento para o Ministério da Saúde, por meio de um ofício, e eles responderam agora, recentemente, à pergunta, que foi a seguinte – uma das questões –: "Há um cronograma do Ministério da Saúde para avançar nas próximas etapas do Teste do Pezinho, com prazo já estabelecido para realizar a ampliação de forma escalonada, como estabelece o art. 10º, §1º, da Lei 14.154, de 2021?". A resposta: "Não há um cronograma estabelecido para ampliação do escopo de doenças do Protocolo Nacional de Triagem Neonatal, visto que as etapas previstas na lei estão sendo trabalhadas dentro do fluxo obrigatório para a inserção de novas tecnologias no SUS, que vão desde a incorporação de procedimentos, medicamentos, e criação de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas para as doenças das Etapas 2, 3, 4 e 5, por meio da Conitec, passando por uma regulamentação normativa e de financiamento para que essas incorporações possam atender à população com equidade em todo o território nacional, não havendo como mensurar, em cronograma temporal, a inserção dessas etapas".



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Aí, foi feito outro questionamento: "O SUS tem alocado recursos mais expressivos nas leis orçamentárias para atender às regiões com baixo Índice de Desenvolvimento Humano, desde a publicação da Lei 14.154, 2021? Quais são os objetivos e os incentivos do Governo Federal para o Programa Nacional de Triagem Neonatal no Plano Plurianual 2024-2027?".

A resposta: "Os objetivos planejados são implantar a reestruturação organizacional do programa e iniciar o processo de ampliação do escopo de doenças. Na reestruturação do Programa Nacional de Triagem Neonatal, pactuado pela Comissão Intergestores Tripartites, está previsto o incentivo de custeio ao serviço de referência em triagem neonatal, com valores diferenciados aos estados do Norte do país. Os valores necessários para a incorporação do procedimento de espectrometria de massas, utilizado na detecção de doenças prevista nas Etapas 2 e 3 da Lei 14.154, 2021, estão previstos".

Então, o que se vê é que há um cronograma já, para que se possa implementar as Etapas 2 e 3, diante da previsão de orçamento... Diante da previsão no Plano Plurianual – não de orçamento – de 2024 a 2027. Então, eu discordo do posicionamento do Ministério da Saúde de que não há como se precisar que se possa ter pelo menos uma estimativa do momento em que serão efetuadas essas etapas, porque a previsão, no Plano Plurianual de 2024 a 2027, será de implementação das Etapas 2 e 3.

E a perspectiva que se tem é que as Etapas 4 e 5... Diante dos recursos que estão sendo implementados e do cronograma que está sendo feito por meio da legislação brasileira, é bem provável que as Etapas 4 e 5 devam ser implementadas no Plano Plurianual de 2027 a 2031.

Então, há uma perspectiva de que a inclusão da AME só se dê em 2031, mas isso é tudo um prognóstico. Eu estou fazendo uma análise, e quem deveria fazer essa análise é o Ministério da Saúde, que deve apresentar um cronograma para a sociedade, para que, de fato, nós possamos saber se vai demorar quatro, cinco ou dez anos para ser implementado o Programa de Triagem Neonatal, que é estipulado pela lei.

Então, a Defensoria Pública da União entende a dificuldade...

*(Soa a campainha.)*



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. RICARDO EMÍLIO PEREIRA SALVIANO** – ... que o Ministério da Saúde tem, mas não vê isso como um empecilho, um impedimento para que se possa ter uma perspectiva da implementação das próximas etapas do Programa Nacional de Triagem Neonatal.

Então, a Defensoria Pública da União vai fazer uma recomendação para que o Ministério da Saúde apresente um cronograma com as próximas etapas a serem implementadas pela Lei 14.154, de 2021.

É isso.

Muito obrigado.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) –  
Maravilha, maravilha!

É muito bom a gente saber que a Defensoria da União está trabalhando dessa forma.

E, Doutor, o senhor não tem ideia de como a sua fala está soando tão bem, lá na ponta, para as famílias que pensam que estão sozinhas.

Nós só temos que registrar todo o nosso louvor à Defensoria. Leve ao Defensor Público-Geral o nosso abraço.

Mas eu queria lhe pedir uma coisa, Doutor. É possível compartilhar com a nossa Comissão o ofício que vocês encaminharam ao Ministério da Saúde e a resposta recebida? É para que a gente possa trazê-los para os nossos relatórios.

Inclusive, eu queria me dirigir às instituições que estão presentes: se alguma instituição fez alguma LAI, algum pedido de informação, por meio da LAI, ao Ministério da Saúde, compartilhe conosco o pedido que vocês fizeram e as respostas que os senhores receberam.

Nós precisamos fazer um confronto das respostas que estão chegando às instituições, da sociedade civil, às instituições públicas e a este Congresso Nacional também.

Nós, Senadores, usamos o requerimento de informação, mas a gente também usa muito acesso às informações por meio de LAI. Já temos muitas respostas, mas gostaríamos que os senhores compartilhassem conosco.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Parabéns à Defensoria. Parabéns. Vamos ficar muito felizes...

E queremos conhecer também a recomendação que os senhores vão construir – se puderem, depois, compartilhar conosco –, e a gente se compromete em enviá-la para todas as instituições aqui presentes.

Obrigada, Doutor.

Na sequência, conforme ordem estabelecida, vamos ouvir o Tribunal de Contas da União, na pessoa do Sr. Messias Alves Trindade.

Mas, Sr. Messias, antes de lhe passar a palavra, como as perguntas estão chegando, tem uma que eu vou dirigi-la ao senhor, se quiser ou puder responder-lhe.

Ela diz o seguinte: "Quais são as medidas para reduzir os processos judiciais e garantir o acesso a medicamentos de alto custo pelo SUS?".

Se não puder responder e quiser mandar essa resposta por escrito, mas essa pergunta está chegando, a sociedade está participando desta audiência... Não vamos conseguir responder a todas as perguntas, mas essa está direcionada ao senhor.

São dez minutos, e, se precisar, a gente estende o seu tempo.

Doutor, antes eu quero registrar, com muita alegria também, a presença da Dra. Vanessa de Medeiros, Presidente da Comissão em Defesa da Pessoa com Doença Rara, da OAB-DF, que também é membro da OAB Nacional e tem sido parceira também nos debates.

Doutora, muito obrigada pela sua presença, mais uma vez, nesses importantes debates.

**O SR. MESSIAS ALVES TRINDADE** (Para expor.) – Boa tarde a todos.

Meu nome é Messias. Estou aqui representando o Tribunal de Contas da União, presidido pelo Ministro Bruno Dantas.

Eu sou da Unidade de Auditoria Especializada em Saúde. Eu represento aqui o Auditor-Chefe, Marcelo Chaves Aragão, e, na medida possível, eu vou tentar contribuir para o debate.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, obrigado, Senadora, pelo convite, na pessoa da senhora e da Senadora Mara Gabrilli, que está à distância. Agradeço à Regina, que está aqui ao lado, da Aliança; ao Dr. Renato – não guardei todos os nomes –, à Priscila, do Ministério da Saúde, que está à distância também, e aos cidadãos aqui que nos prestigiam.

Eu sei que, muito embora o nome seja doença "rara", os casos não são raros. Qualquer número, para quem é acometido com uma doença dessa espécie, dificulta a vida do cidadão.

Vou-me permitir só, talvez, fazer um *disclaimer*, uma anotação breve para os senhores.

O Tribunal de Contas, como o nome sugere, faz auditorias, sejam de iniciativa do próprio tribunal ou demandadas. No caso aqui específico, devo dizer que o Congresso Nacional é o titular do controle externo, e o tribunal auxilia o Congresso nesse processo.

Logicamente, antes de vir aqui, fizemos uma pesquisa, e a gente não tem um trabalho específico sobre doenças raras.

Eu já menciono isso talvez para alinhar as expectativas, muito embora a gente tenha dois processos que eu queria destacar. Na gestão anterior, o secretário finalístico da antiga Sectics, do Ministério da Saúde, firmou um acordo de compartilhamento de risco a respeito da AME (atrofia muscular espinhal). Isso iniciou-se em 2019. O medicamento era a respeito do nusinersena. Ela é de três tipos. Então, esse acordo foi firmado para os tipos 2 e 3. Cada uma na sua sequência, nas suas dificuldades. No tipo 1, já estava incorporado.

Depois houve o abandono desse medicamento e foi-se para o Zolgensma, que é o segundo. Esse segundo medicamento, na verdade, até onde a gente pesquisou, está na fase de protocolo de intenção. Não tem um acordo propriamente firmado, mas a gente vislumbra que, com o acordo de compartilhamento de risco, esse primeiro que eu mencionei foi um projeto, se chegar a um nível de sucesso – são muitas as dificuldades, a gente deve reconhecer –, isso pode ser talvez um protótipo para outras doenças raras.

Então, eu estou talvez limitado a trazer fases, porque, regimentalmente, como estou pelo tribunal, eu só posso expressar o que o tribunal delibera. Não venho aqui expressar a minha opinião pessoal.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O que a gente se compromete, Senadora, é, em qualquer desses processos que estiverem em fase adiantada para deliberação, que eles serão encaminhados tanto aqui para a Comissão de Assuntos Sociais, no caso a Subcomissão, como para a Comissão de Saúde da Câmara dos Deputados.

Há outro trabalho que eu quero mencionar.

A gente iniciou uma auditoria, no final de 2023, na Conitec, que é hoje o principal colegiado que atua na incorporação de tecnologias de saúde. É um trabalho de fôlego, um trabalho à parte das nossas limitações de designação de auditores, afastamentos, que a gente está concluindo neste mês.

Antes o tribunal, quando concluía as suas auditorias, encaminhava direto para a deliberação do colegiado. Desde 2020, foi adotado um procedimento de resolução. Hoje a gente é obrigado – eu acho que foi uma medida acertada do tribunal –, ao concluir a auditoria, a mandar os encaminhamentos, o que a gente está propondo que a unidade direcionada faça, para comentários do gestor. Isso é para fins de fazer um contraditório, para talvez corrigir eventuais equívocos, para o gestor mencionar eventuais dificuldades que ele teria para implementar aquelas medidas sejam determinadas, sejam recomendadas pelo tribunal.

Ainda nesta semana – a gente concluiu esse relatório e já fez reunião com os gestores –, estaremos encaminhando ao Ministério da Saúde. A gente imagina que, talvez até na segunda semana de dezembro, a gente concluirá esse relatório.

Eu não posso antecipar achados e considerações exatamente porque a gente tem que submeter ao contraditório, mas a gente formulou sete questões de auditoria olhando composição da Conitec, integrantes, eventuais conflitos de interesse. A gente olhou prazos. Tem prazos legais para incorporação, para decisão do Ministério da Saúde. Após isso, tem o prazo da disponibilização daquilo que foi incorporado. A gente está olhando monitoramento, que seria o caso de eventuais alterações ou exclusões de tecnologias que talvez não devessem mais estar presentes por razões várias. Também a gente olhou avaliações econômicas. A gente olhou impacto orçamentário. É um item que talvez não possa ficar ao longe, muito embora a gente saiba dos princípios do SUS – que fala de integralidade, de equidade e de muitos outros –, e a Constituição estabeleça fatalmente a saúde, como um direito de todos e dever do Estado, mas é



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

uma discussão que se impõe, porque também temos uma questão de recursos. Talvez, por vontade de todos, seria dar tudo para todos, mas há uma questão que talvez tenha que ser sopesada, tem alguns critérios que devem ser observados.

Aproveito o ensejo e menciono que, em 2020, o tribunal fez um trabalho sobre sustentabilidade do SUS. Ele trouxe números, questão de assistência, de desassistência e fez projeções amparadas num trabalho até que o Banco Mundial tinha feito um pouco antes. Se alguém tiver interesse de ler, basta ir à página do tribunal, [tcu.gov.br/acordãos](http://tcu.gov.br/acordãos). Tem o Acórdão 1.487, de 2020, de Plenário, para aqueles que queiram consultar. E o tribunal também – acho que a gente não tem que pautar só na questão da entrada dos recursos – tem se preocupado com eficiência. Então, há cerca de quatro, cinco anos, a gente tem trabalhado uma vertente lá da eficiência na saúde. Inclusive o *site* é esse: [eficiencianasaude.org](http://eficiencianasaude.org), que tem sido liberado pelo tribunal, tem contado com a participação de tribunais de contas estaduais, e vai nesse sentido.

Então, Senadora, vou reduzir minha fala a isso, limitado pela questão, porque estou obrigado, por não poder talvez entrar em detalhes de trabalho que não foi decidido pelo tribunal ainda.

Para não fugir da pergunta, anotei aqui. Sobre a questão de reduzir processos judiciais, não sei se todos sabem, mas, no decorrer da finalização do nosso trabalho, no Supremo Tribunal Federal, há cerca de um mês e meio mais ou menos, houve uma decisão muito relevante, decidiram sobre o Tema 6 e o Tema 1.234 sobre judicialização de saúde. Então, ele estabeleceu uma série de parâmetros para que a Justiça agora decida sobre isso. Acho que vai dar uma certa organização. Não vai ficar muito sujeito talvez a que um juiz aqui ou acolá decida como quiser. Então, foram fixados parâmetros.

Quem tiver interesse também, acho que pode ler esse Tema 6 e o Tema 1.234, de repercussão geral no Supremo. E aí acho que vai dar um rumo. As pessoas podem entender talvez como as decisões virão. Por óbvio, a decisão é muito recente; então, há que decorrer relativamente um bom prazo para ver como essas decisões virão e se precisarão de ajuste. Essa decisão menciona ainda que vai ter que ser desenvolvida uma plataforma para que se estabeleçam essas decisões, itens... Vale a pena a leitura desse item.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Espero ter atendido, nesta manifestação inicial, e estou aqui disponível, Senadora, para outras questões que se apresentarem.

Obrigado.

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

Como foi feliz a ideia da Senadora Mara de trazer o TCU para este debate.

A pergunta que o senhor respondeu veio do Ceará. Foi o José, lá do Ceará, que fez a pergunta. Obrigada por ter respondido.

Sabemos que a decisão do Supremo é recente, mas não é só recente, é questionável também por todos nós que estamos aqui, e a gente vai acompanhar.

Mas aí, Doutor, eu já vou fazer um encaminhamento aqui para o TCU. Eu julgo... E queria muito que a equipe técnica anotasse isso para a gente fazer uma indicação de que o TCU tenha lá um grupo permanente sobre doenças raras. Acho que é um tribunal tão importante – tão importante! E o senhor nos trouxe uma alegria nesta tarde que o senhor não tem ideia quando o senhor disse de uma auditoria sobre a Conitec. Só esperei as instituições pularem de alegria e baterem palma em pé, porque isso merece ser aplaudido de pé. Só que nós queremos também o compartilhamento.

Tão logo o órgão responda o que vocês já apuraram, nós gostaríamos de ter o compartilhamento da auditoria, das respostas, do que vocês encontrarem e da resposta também da Conitec. Comprometo-me também a compartilhar com as instituições.

Eu acho que essa auditoria poderá, inclusive, nos nortear aqui na Casa em muitas das nossas decisões. O TCU hoje nos alegra com essa informação.

Vocês sabiam dessa informação? (*Pausa.*)

Acho que ninguém sabia dessa informação.

Então, assim, eu estou muito feliz e quero muito que a gente tenha acesso ao resultado dessa auditoria.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E aí a gente vai pedir que vocês tenham lá um grupo de trabalho, porque vocês fiscalizam a aplicação do recurso público. O recurso público destinado a doenças raras não é pequeno. Às vezes e muitas vezes, ainda é muito pequeno para as nossas necessidades, mas não é pequeno o gasto da União. Seria interessante vocês terem um grupo permanente de trabalho dentro do TCU. É mais uma instituição em que nós podemos ter uma voz. É mais uma instituição que, com certeza, poderá dar muitas respostas aos nossos questionamentos aqui.

Muito obrigada.

Leve o nosso abraço ao Ministro Presidente Bruno, por quem nós temos grande admiração nesta Casa.

Obrigada, TCU. Sintam-se muito bem-vindos nesta luta e à nossa vida! Nós vamos precisar muito de vocês daqui para frente.

Obrigada, Doutor.

**O SR. MESSIAS ALVES TRINDADE** – Eu que lhe agradeço, Senadora.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Na sequência, nós vamos ouvir a sociedade civil. Vamos começar ouvindo Regina Próspero, da Aliança Brasileira de Associações e Grupos de Apoio a Pessoas com Doenças Raras.

Para quem está ligando a televisão agora ou acessando as nossas redes sociais, esta audiência pública está acontecendo na Comissão de Assuntos Sociais do Senado e tem como objetivo debater a normatização do acesso das pessoas com doenças raras a medicamentos, dispositivos médicos e tecnologias no âmbito do SUS.

Regina, antes de você falar, nós já temos duas perguntas direcionadas a você.

Thiago, de Minas Gerais, pergunta: "A normatização incluirá a transferência de pacientes para hospitais especializados e mais bem equipados, inclusive na rede privada?".

Fique à vontade se não puder responder.

E a outra pergunta vem de Kaio, do Mato Grosso: "Quais medidas podem melhorar o acesso a medicamentos e dispositivos no SUS para diagnóstico e tratamento de doenças raras?".



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Dez minutos, mas a gente pode ampliar o seu tempo.

Obrigada por estar conosco neste debate.

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** (Para expor.) – Obrigada, Senadora, por me convidar de novo.

Eu acho que a gente tem bastante coisa para contribuir, ainda mais num tema que vem nos incomodando desde que ele foi promulgado, nessa última vez. Na verdade, já faz 17 anos que nós trabalhamos com esse tema.

Bom, eu vou falar só um pouquinho do Instituto Vidas Raras, até porque tem algumas pessoas que não sabem que nós temos 23 anos construindo histórias, transformando os futuros e salvando vidas.

Nós nascemos para cuidar inicialmente de pessoas com mucopolissacaridose, mas expandimos para pessoas com doenças raras em virtude do nosso trabalho e das pessoas que vieram nos procurar para que nós pudéssemos ajudá-las também na orientação e construção de um acesso não só para tratamentos medicamentosos, mas também para acompanhamento daquelas doenças que não têm tratamento.

O motivo é este: eu tive dois meninos, dois rapazinhos com mucopolissacaridose do tipo 6. O Niltinho nasceu em 1988 e faleceu em 1995, por conta da doença; ele seguiu o curso natural da doença. Infelizmente, não havia nada que pudesse ser feito, não tinha nenhuma informação. Isso foi na época que não tinha Google, não tinha nada – nada –, não tinha nem literatura à disposição dos pais quando nós perguntávamos onde procurar saber sobre mucopolissacaridose. A maioria dos médicos também não sabiam como lidar com a situação.

E foi o caso do Niltinho; ele faleceu por pura falta de informação. Ele já estava com uma pressão pulmonar muito alta, que já tinha pegado também a pressão periférica, e eles não sabiam como lidar com aquilo, porque naquela época nem pressão arterial se media em criança, não é? Então, quando a criança apareceu no hospital com uma pressão de 19 por 13, eles não sabiam o que fazer, demoraram um tempo para entender que a anatomia dele era diferente e, quando foram tentar entubar, já não tinha mais como fazê-lo. Ele morreu por falta de informação, e é por isso que nós do instituto precisamos de muita, muita informação.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nós temos obras publicadas de especialistas, para que pelo menos os médicos das unidades básicas possam ter um pouco do conhecimento e chegar a uma visão diferenciada para essas crianças.

E o Duduzinho? O Duduzinho está aqui com dois anos – ele é o de azul –, e ele é o que seguiu com uma motivação. Eu não pude cuidar de um, eu não pude salvar a vida de um – e isso me dói até hoje –, mas eu pude ajudar o Dudu, e o Dudu ajudar tantas outras pessoas que hoje vivem por conta do desbravamento da associação e dos pais – hoje muitos estão aqui – na luta pela mucopolissacaridose.

Mucopolissacaridose hoje é uma doença que muita gente conhece; ela deixou de ser tão desconhecida, porque a nossa luta e a disseminação da informação foram muito altas.

Bom, vou passar muito rápido. Essa é a atuação do instituto. Eu posso deixar depois aqui para vocês verem, mas nós estamos aqui agora para falar daquilo que a gente sempre fala, que são as leis específicas para o acesso equitativo dos pacientes aos cuidados de saúde. Por que eu friso bastante? Porque não adianta ter só dipirona para cuidar da dor; nem todo mundo é receptivo a uma droga. Às vezes, ele precisa de uma outra droga que também já está registrada pela Anvisa, mas não chega ao paciente. É essa discussão que eu venho propor aqui.

Reivindicamos a alteração de normas no que diz respeito ao acesso a novas drogas e tratamento, incluindo pesquisas clínicas para medicamentos órfãos, e que haja a mudança de visão e de informação de médicos e profissionais da área de saúde para a gestão integral do paciente, e não da doença. Como o Dudu diz: "Eu não tenho mucopolissacaridose, mãe. Eu sou uma pessoa. Ela está comigo, mas eu não sou dela".

Aqui foi o nascimento da Portaria 199, quando o GT foi construído, na reunião do dia 26 de abril de 2012, na qual foram escolhidas as associações e os especialistas do Ministério da Saúde, composto de 12 pessoas, para poder construir a política pública que foi depois sancionada em 2014. Depois eu vou mostrar 2014.

Estes temas aqui são os que eu trouxe para reflexão e que necessitam de ações urgentes. Eu não estou aqui para defender ninguém, nem a indústria farmacêutica, nem o Ministério da



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Saúde: eu estou aqui para defender o usuário, o paciente. Como todos nós aqui de instituições, nós precisamos cuidar dos nossos pacientes.

O que eu vejo? Para quem não sabe, eu fui Secretária de Saúde em 2021, fiquei um ano como gestora. Eu quis isso, porque eu queria saber como funcionava o lado de lá, aquele lado que a gente só cobra, cobra, cobra, cobra, e, muitas vezes, a gente não sabe o que está acontecendo. E ali eu vi que muitos pedidos que você cobra e pelos quais você até briga, porque aquela pessoa não tem boa vontade...

Não é que ela não tenha boa vontade, gente. Eu nunca me esqueço disto: eu tinha R\$1,54 milhão em uma conta para cuidar de diabéticos, em uma cidade de 43 mil habitantes onde nós tínhamos 480 diabéticos. Eu tinha R\$1,54 milhão. Eu tinha criança morrendo e eu não podia mudar. Eu não podia pegar a verba daqui e passar para lá, porque, senão, ele ia cair no meu pescoço. Eu achei aquilo tão injusto que me marcou. Em um município de 43 mil pessoas, eu poderia usar aquele dinheiro para tanta coisa, mas eu não podia.

Eu peguei justamente a época da pandemia, a gestão de vacina. Eu fiz uma gestão de que até eu me orgulhei no final. Fiz uma negociação com a promotoria e conseguimos verba para expandir a nossa usina de oxigênio. O Município de Itápolis foi um dos únicos em que não se precisou morrer de falta de ar. E nós conseguimos sustentar, inclusive, outros municípios.

Por que eu estou dizendo isso? É o volume de ação pedindo o básico.

Tinha uma família a que nós tínhamos que dar 78 litros de leite Tetra Pak, porque a pessoa da família não se alimentava de nada além do leite. Mas aí eu pergunto: "Tá. Ele não come lanche?" "Não." "Come pizza?" "Não." "Come arroz e feijão?" "Não". Então, por que a gente tem que dar o leite? A família não pode comprar o leite? O leite de vaca? "Ah, Rê, mas a gente foi judicializado, a gente tem que dar." Então, isso para mim era o cúmulo do absurdo, porque se o pai e a mãe não puderem prover 78 litros de leite para uma pessoa que não come nada... Isso é abuso, eu acho que é abuso.

Houve pedido de fralda Huggies. "Eu não quero fralda comum, eu quero fralda de marca". Isso é abusivo. Então, eu acho que, de certa forma, o Tema 6 veio para tirar isso, só que, no meio do caminho, todo mundo entrou junto.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Uma das coisas de que eu tenho reclamado bastante: compra por bloqueio de verba. Gente, é uma economia muito burra. Se fizer a compra para várias pessoas, existe uma economicidade. Se for comprar por bloqueio de verba, aquele paciente não vai comprar o mesmo quantitativo que o Ministério da Saúde compra, ou seja, ele vai ter uma redução, ele vai precisar de remédio mais rápido.

Eu reclamei já muito disso, não vejo solução e ninguém me responde.

A incorporação de outros produtos para a mesma doença, dando oportunidades para pacientes, porque nem tudo serve para todos. E quando você diz, Doutor, que gostaria muito de dar tudo para todos, eu sou contra, porque existem deveres e existem direitos. Se eu não cumprir com os meus deveres, eu não posso exigir os meus direitos. Se aquele pai não compra nem 78 litros de leite para o filho, que é o dever dele, o Estado tem que dar o quê? Tudo? Não, o Estado tem que dar aquilo que ele não pode comprar. É disso que nós estamos falando.

Eu não posso comprar o remédio do meu filho, a maioria que está aqui não pode comprar o remédio que precisa. É disso que nós estamos falando. Então, não é dar tudo para todos, é dar aquilo que ele precisa, numa situação em que ele não pode pagar.

Agora, se existe uma doença que tem três opções terapêuticas, uma incorporada, mas essa uma não dá para todos os pacientes porque ela não é eficaz para todos os pacientes, essa é uma economia burra, porque ele vai incidir numa hiperdose e não vai fazer efeito. Então, o Ministério da Saúde está gastando um valor para comprar um medicamento "para inglês ver". Aquele paciente só tem aquele remédio, o médico acaba prescrevendo porque é um alívio para o paciente, mas ele já não faz mais efeito para o paciente, porque o medicamento que ele precisa a Conitec rejeitou. Então, a equidade fica onde?

Eu até acredito que a Conitec pode entrar com todos aqueles requisitos, contanto que ela incorpore mais produtos para que seja feita a equidade com os pacientes. Então, se ela incorpora, ela até pode exigir, de certa forma, que as ações judiciais caiam, porque ela está dando a oportunidade, mas ela não está incorporando e ela está tirando a oportunidade das pessoas.

Se eu estou em quimioterapia, o remédio não faz mais efeito para mim, eu vou ficar com ele só porque eu não posso ir para uma outra terapia porque a Conitec não incorporou? De que



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

adianta eu ficar tomando uma droga se o efeito não está mais fazendo nada para mim? Eu só vou ser uma drogada e gastando dinheiro. Então eu preciso de mais oportunidades.

A nossa sugestão: incorpore, depois exija. Por isso que eu falo que muita coisa é economia burra, é "para inglês ver". "Não, mas eu estou dando tal remédio para esse rol de pacientes." Mas não faz mais efeito, ele já passou da janela, o que ele precisa agora é da segunda linha, para que ele possa ter a sobrevivência como merece. Está aí a incorporação de produtos e tecnologias para a mesma doença, sim. Se existem quatro ou cinco oportunidades para aquela mesma doença e o ministério não está me dando, só me dá uma, e para mim não faz efeito, eu tenho que buscar, senão eu vou morrer e vou gastar um ônus enorme do governo, que não vai ter isso de volta.

Aí eu leio esta notícia ontem: "Governo zera imposto de importação para [...] [medicamentos] usados no tratamento de câncer". Gente, e nós aqui? Doenças raras também, precisamos disso!

Às vezes, a família até pode comprar, mas a incidência de imposto é tão alta que ela não pode mais comprar. Então, é a equidade. Eu louvo essa ação. Que se faça para todas as situações, assim como para nós. É uma das coisas que eu peço.

Eu estou com uma paciente do Ministério Público, ela tem DOT (doença ocular da tireoide); eles ficam assim, gente, o olho fica saltado. Por quê? Porque o revestimento atrás do globo ocular incha e cria uma estenose. Então, o olho não tem mais como voltar para a órbita normal. Isso dói muito – dói muito –, fora a estética. Fica tão inchado que elas ficam só de óculos de sol o tempo todo, porque até as pessoas assustam. E hoje de manhã, essa paciente do Ministério Público, que foi a favor de dar o medicamento, mesmo com o Tema 6 e com o 1.234... O Ministério Público foi a favor, mandou cumprir em 48 horas. O Rio de Janeiro entrou com recurso e pediu para ela entrar com uma ação contra a União. Só que ela começou a chorar, ela falou: "Faz dois anos que eu estou esperando esse remédio". E esse remédio tem um tempo, uma janela; passou daquela janela, não vai mais fazer efeito, e ela ainda está na janela.

Então, o Tema 1.234 e o Tema 6 já começaram a prejudicar muita gente, certo? Então, é uma das coisas que... Isso não é estética só, isso é dor, é uma dor muito severa. E a única terapia que se tem hoje é tirar o globo ocular, fazer uma raspagem no músculo e pôr o globo de volta no lugar. Só que, quando você vai pôr o globo no lugar, você não vai conseguir colocar ele certinho.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, ela vai ficar com visão dupla, ela vai acabar ficando uma pessoa com invalidez, sendo que o remédio é de dose única e corrige tudo isso.

ONU. Chegamos à ONU com o exame do pezinho, Dr. Ricardo. A nossa campanha atingiu um patamar e chegou à ONU, e muitos países, inclusive, quiseram copiar a nossa campanha, que veio depois a culminar na lei que, com a Primeira-Dama, se sancionou no dia 26 de maio de 2021 e que era para estar acabando agora. Não são dez anos, são quatro; e, até agora, nada.

Bom, agora eu vou contar uma coisa boa: a fundação da Casa de Saúde Nossa Senhora dos Raros em Taubaté. O Padre Márlon é paciente de RTD (deficiência de transportador de riboflavina). Ele é uma pessoa com o atestado de óbito já formado, porque ninguém sabe como ele está vivo até hoje, e ele é nosso assistido. E ele falou assim: "Eu tenho um espaço e, se vocês entrarem conosco, tanto a equipe médica como o Instituto Vidas Raras, eu vou reformar o espaço e nós vamos fazer um hospital-dia". E ele começou já a funcionar no dia 28 de fevereiro e nós já atingimos mais de 800 consultas totalmente de graça em todo o território nacional.

Era para atender só o Vale do Paraíba, mas nós não tivemos coragem de não aceitar outros pacientes.

Nós não temos ainda recurso nenhum vindo de SUS, só mesmo de campanhas e doações, mas nós temos sobrevivido bem, por enquanto, porque agora a gente vai fazer mais um prédio de quatro andares para poder receber mais pessoas. Então, eu convido a todos que queiram fazer uma visita a Taubaté para conhecer a nossa casa e ver como está funcionando.

Eu tenho muito orgulho disso, Senadora.

Ah, uma das coisas que eu esqueci, ainda bem que eu anotei: quando se fala de compartilhamento de risco, por que não fazer para as outras doenças também? Incorpora os tratamentos e entra no compartilhamento de risco. Se a empresa tem tanta credibilidade no remédio que fabrica, ela não vai negar, certo? Então, por que não? Em vez de não incorporar, incorpora com algumas regras e, assim, ninguém sai perdendo. Quem vai sair ganhando é o paciente, e é este o nosso foco: cuidar dele.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Enfim, essas são as nossas redes sociais. Tem também agora a Casa Nossa Senhora dos Raros, se vocês puderem seguir, acompanhar o nosso Padre Márlon, que é um serelepe. O filme dele foi lançado ontem: Milagre Vivo.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. *Fora do microfone.*) – Milagre Vivo?

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** – É. É um documentário que está muito bem construído. Dudu é muito chato e gostou bastante. Eu ainda não assisti, mas eu vou ver se assisto esta semana.

Se vocês puderem ir, eu agradeço. Eu acho que é um marco para todos nós.

Obrigada, Senadora. (*Palmas.*)

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Regina, você não tem ideia de como a gente estava na expectativa para a ouvir.

Eu vou repetir uma fala que eu já fiz em duas audiências anteriores, mas eu preciso fazer o tempo todo esta fala, especialmente para quem não ouviu.

Alguns anos atrás, nós não tínhamos um espaço, como nós temos hoje, no Parlamento. Eu fui família rara, eu sou família rara, e um dos motivos pelos quais eu vim trabalhar... larguei a minha carreira e vim trabalhar no Congresso como uma assessora jurídica era também ser voz dos raros, em 1998.

E a gente batia na porta dos Parlamentares; eles nunca tinham ouvido falar do que era raro.

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** (*Fora do microfone.*) – Não, não tinham.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Isso em 1998, 1999, 2000.

A gente andava nos corredores, e eu então como assessora, junto com as instituições, éramos ignorados. E depois eu comecei a acompanhar os meus Parlamentares em reuniões com o Ministério da Saúde, e assessor não fala. Ah, se assessor pudesse falar, não é, Irlane?

E eu ficava na cadeira de trás, enquanto os Parlamentares estavam na mesa com ministros, secretários, e eu tinha que ouvir, mas eles são muito caros.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** (*Fora do microfone.*) – São poucos.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – São poucos, são caros.

Imagina eu, de uma família rara, sentada calada atrás, tendo que ouvir, e o Parlamentar não entendendo nada. Até que a gente começou a falar: "Nós não somos caros, nós somos raros".

E hoje o que nós temos? Nós temos um grupo enorme de Parlamentares envolvidos, mas isso foi trabalho da sociedade civil, por isso que a gente está o tempo todo, eu e a Mara, rendendo homenagens a vocês.

Nós hoje temos frente parlamentar, nós temos uma Subcomissão permanente no Senado. Gente, esta Subcomissão não é temporária; ela é permanente, para os direitos das pessoas com doenças raras. Nós estamos aprovando legislação. Todo dia, a gente aprova alguma coisa no Congresso Nacional. E o convencimento hoje é fácil de fazer, mas foi trabalho da sociedade civil. Foram as famílias raras que tiveram coragem.

A gente sai, em 30 anos de anônimos, ignorados, para cadeira no Congresso. Agora a gente quer cadeira no TCU, ouviu, doutor? A gente quer cadeira em todo lugar. Porque nós não somos caros, nós somos raros.

E aí, Regina, nesse sentido, eu já vou pedir à minha assessoria que faça um requerimento de uma diligência da nossa Comissão ao hospital, para conhecer o padre e assistirmos juntos ao documentário. Então a gente vai fazer uma diligência, eu acho oportuna e necessária, para a gente dar visibilidade ao trabalho do hospital. E quem sabe essa boa prática... Nós temos muitos Senadores que já foram Governadores. Quem sabe essa boa prática pode ser compartilhada depois com outros estados?

Parabéns pelo trabalho de vocês.

Sim?

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** – Um item que eu esqueci: cadê o protocolo de Fabry? Eu já mandei vários pedidos para saber qual é o *status* do protocolo de Fabry. Sem esse protocolo, o remédio não vai para o SUS, e os juízes estão achando que já está no SUS, e eles estão fazendo



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

com que as famílias vão até o posto de saúde para retirar o seu medicamento do posto de saúde, sendo que ele ainda não está lá.

Então, por favor, tirem da gaveta. O protocolo clínico de Fabry tem que aparecer. Essas famílias anseiam por isso. E Fabry é uma doença com muitas especificidades. Então é necessário que isso aconteça.

Várias famílias estão aguardando. Nós pedimos até que não entrassem com ação judicial, porque não havia necessidade, pois já estava na iminência de ser publicado. E até agora, nada.

Obrigada.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dra. Priscila, eu acho que a senhora está com a caneta aí, anotando tudo, não é? Entendeu por que ficou por último.

Nós vamos continuar.

Excelente a sua colocação, a sua indagação agora. Precisávamos ter nos lembrado deles, com certeza.

Na sequência, nós vamos ouvir agora a Febrararas, Dr. Antoine, que é um parceiro do Parlamento, desta Comissão, nos debates, na construção de legislação, no aperfeiçoamento.

E aí, as instituições que estão aqui, talvez tenha alguma que veio pela primeira vez... Deixe-me explicar uma coisa: nós precisamos de vocês o tempo todo. Deixe-me explicar uma coisa: o Parlamentar é muito eclético, trabalha com muitos temas. E às vezes, são vocês que têm o domínio do tema. Ajudem-nos. A gente tem encontrado, na Regina e no Dr. Daher, muita ajuda na busca de pareceres, na busca de sugestões, na discussão do projeto de lei com a gente, mas a gente quer ter essa interação com todas as instituições. Às vezes, a gente toma uma decisão errada, porque a gente não tem informação.

Então, que as instituições se sintam parte desta Comissão, ajudando-nos, como algumas já estão fazendo.

Doutor, é uma alegria recebê-lo de novo. Dez minutos para sua exposição, mas já percebeu que eu sou generosa, não é? Muito obrigada por ter aceitado o convite mais uma vez.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. ANTOINE DAHER** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Boa tarde a todos. Eu gostaria de expressar minha imensa e profunda gratidão à Senadora Damares e também à Senadora Mara Gabrilli pelo apoio contínuo e dedicado à causa das doenças raras.

Também gostaria de cumprimentar a Dra. Priscila Louly, do Ministério da Saúde; o Dr. Ricardo Salviano, Defensor Público Federal; o Dr. Messias Trindade, do Tribunal de Contas; a Dra. Regina Próspero, do Instituto Vidas Raras; o Dr. Renato Benine, representando a Sindusfarma; enfim, todos os que estão assistindo a esta audiência tão importante.

Eu acredito que nós estamos aqui porque algo está errado. Nós estamos enfrentando uma crise referente a acesso, e isso era óbvio. Quem puder acompanhar a trajetória das doenças raras no Brasil, infelizmente, irá prever que a gente vai chegar a um momento em que vamos ter problemas. Mesmo o Ministério da Saúde querendo ajudar, querendo resolver o problema de um nicho ou de outro das doenças raras, não ia poder fazer – ou ter um plano nacional de enfrentamento às doenças raras da forma que está sendo conduzida hoje.

Eu gostaria de falar de vários aspectos.

Primeiro, o aspecto regulatório. Nós temos e conseguimos, desde 2017, um *fast track* para as doenças raras na Anvisa, Resoluções 204 e 205; depois, para as terapias avançadas, as Resoluções 260 e 338. Lembro que a Anvisa foi a primeira agência na América Latina que estabeleceu o critério para registro das terapias avançadas, e isso é graças às pesquisas que nós trouxemos naquela época.

Só que não adianta a gente ter uma prioridade, um *fast track*, na agência nacional sem ter um *fast track* e prioridade no Ministério da Saúde. Não tem cabimento a Anvisa fazer o trabalho dela de forma célere e rápida se o Ministério da Saúde não prioriza as doenças raras.

Outro ponto de que a gente vai falar, passando pela triagem neonatal e também pela incorporação dos medicamentos. Eu posso chamar isso de incorporação de qualidade de vida para os pacientes, não dos medicamentos. Nós temos que incorporar linhas de cuidados, porque nós, quando falamos de medicamento, estamos falando de apenas de 3% de tratamentos no mundo das doenças raras. Só que nós podemos incorporar linha de cuidados para grupos de



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

doenças, o que muda totalmente a qualidade de vida desses pacientes e pode trazer sustentabilidade para o sistema, independentemente do medicamento, se existe ou não.

Hoje o paciente leva em torno de cinco anos e quatro meses para ter o diagnóstico. Essa é a média no Brasil no Sistema Único de Saúde. Enquanto, no primeiro centro do mundo que temos aqui no Brasil, no Rio Grande do Sul, a Casa dos Raros, que atende 100% gratuitamente e tem convênio com a Secretaria de Saúde, nós comprovamos que podemos reduzir esse *average* para 41 dias.

O Sistema Único de Saúde gasta em média de R\$30 mil a R\$50 mil para o paciente até chegar ao primeiro especialista – ainda não tem diagnóstico, não tem nada, zero. Ele gasta todo esse dinheiro.

Então enquanto a gente tem um projeto de lei ainda não implementado, nós estamos gastando muito, porque no momento que eu faço o diagnóstico, eu tenho um plano de manejo para o paciente. Eu evito muitas internações inadequadas, evito muitos procedimentos e cirurgias inadequadas, eu consigo construir um plano de manejo correto para aquele paciente, dando um mínimo de qualidade de vida, independentemente do tratamento medicamentoso ou não.

Falando do tratamento medicamentoso, também chegando à Conitec, não adianta eu incorporar – com todo o respeito, Priscila – um medicamento, colocando o critério de que esse medicamento vai ser incorporado para os pacientes até seis meses de idade ou até um ano de idade, se não incorporo o diagnóstico.

Mesmo tendo o teste do pezinho, no Brasil, para seis doenças, sete doenças, em alguns estados para 50, nós sabemos que muitos, especialmente nas Regiões Norte e Nordeste, não realizam o teste do pezinho ou até realizam, mas não têm o diagnóstico revelado, que não chega para eles. Então, imagine sem ter o teste do pezinho como ficaria difícil para uma família ter um diagnóstico de doença rara. Como vou incorporar um medicamento sem incorporar o diagnóstico? Isso faz parte da linha de cuidado.

Muitos PCDTs existem, mas não têm tratamento medicamentoso. Muitos tratamentos medicamentosos são incorporados, mas sem ter linha de cuidado. Então, o que falta hoje, no meu ponto de vista? Falta a estruturação do ecossistema completo para as doenças raras, para facilitar



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

a vida do paciente, para facilitar a vida do Ministério da Saúde. Seja *risk sharing*, seja qualquer tratamento, o Ministério da Saúde quando tem uma estrutura completa, centros adequados... Não estou falando dos centros habilitados, porque nem todos os centros habilitados são adequados para atender doenças raras. A maior prova é a Portaria 199, que foi muito legal, muito bem-vinda, mas não cumpriu o dever dela, não mudou a qualidade de vida do paciente, não mudou a fila desses pacientes, que continuam morrendo na fila. Então, nós queremos uma resposta adequada para esses pacientes para que o sistema gaste menos e tenha respostas eficientes. Para isso, precisamos de uma estruturação completa, de centros adequados.

Chega de a gente tratar as doenças raras nas margens das outras doenças. As doenças raras precisam de um manejo completo, multidisciplinar, de uma abordagem interdisciplinar em que você tem pesquisa, tem capacitação, tem equipes que trabalham juntas, tem discussão de caso e todos os profissionais discutem o mesmo caso. Dessa forma não precisa judicializar. Quando vocês têm um centro adequado, tipo Casa dos Raros, vocês não precisam judicializar mais, tudo será via administrativa, porque quando se tem um relatório tão bem feito, tão completo da vida do paciente, o acompanhamento total da vida do paciente sem precisar pedir, tudo fica mais fácil, seja para o paciente, seja para o Ministério da Saúde, seja para a própria Anvisa, que dá um registro, às vezes, provisório ou faz um registro baseado em um número pequeno de pacientes, na fase dois, quando se trata de doença rara.

Nós estamos aqui pedindo para todos os envolvidos e agradecendo, mais uma vez, essa oportunidade. Acredito que chegou o momento de a gente criar um trabalho mais sério que vise à sustentabilidade do sistema, que mostre onde estão os gargalos dentro do Sistema Único de Saúde para podermos, juntos, modernizar esse sistema. Não precisamos, acreditem em mim... Nós submeteremos os dados da Casa dos Raros, de um ano e meio de trabalho, à publicação. Todos esses dados, em breve, serão publicados mostrando que, com pouco dinheiro, com muito pouco, nós podemos fazer a diferença na vida do paciente, enquanto hoje se gastam milhões e a resposta é inadequada.

Não precisamos de mais financiamento. A gente escuta todos os gestores, especialmente os políticos, executivos, que falam: "Não, mas não dá. Precisamos de mais financiamento". Não, eu não concordo com isso. Nós precisamos de um plano nacional de enfrentamento, precisamos de ter não apenas coordenadoria de raras. A gente já sugeriu para o Ministério da Saúde, no início



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

deste mandato, que tenhamos a secretaria de atenção especial às doenças raras para podermos ter um plano nacional e definir um orçamento. A gente monta um plano adequado com um orçamento correto e, se precisarmos de mais dinheiro, depois discutimos com o Congresso como arrumamos mais dinheiro. Mas eu tenho certeza de que vamos ter sobra a partir do momento em que a gente colocar o ponto na ferida e quiser, de verdade, resolver o problema do paciente na ponta e o problema do sistema.

Só que, do jeito que está hoje, o sistema sofre: não se tem previsibilidade, gasta-se da forma errada. E o paciente paga com a própria vida e as mães, especialmente, perdem a dignidade, numa esperança do que não vem nunca.

Então, meu apelo aqui é que se forme, Priscila, junto com o Ministério da Saúde, um grupo de trabalho sério com todos os interessados, com todos os que estão aqui e outros também, para a gente realmente mostrar que temos soluções. Nós trabalhamos com isso e estudamos sobre isso, temos publicações que demonstram que podemos resolver o problema das doenças raras no Brasil da melhor forma possível. Nós não estamos falando de teoria. Nós temos dados que comprovam, na prática, que tem solução.

Existem muitas soluções. Para as doenças raras, não há apenas terapias avançadas que custam milhões. Acabou de ser assinado, nós trouxemos, o primeiro acordo do mundo de terapia avançada entre uma empresa americana e a Fiocruz. A Casa Hunter, junto com a Casa dos Raros, que fez este acordo. Acabou de ser assinado, um mês atrás. O Ministério da Saúde é que vai bancar. Seis doenças. Nós vamos fazer a pesquisa na Casa dos Raros e vai custar muito barato, tipo você ter uma Ferrari no preço de um BYD. Pela primeira vez no mundo, o Brasil vai exportar conhecimento e vai ser sustentável na terapia avançada.

Então, nós temos soluções. Só que precisamos sentar e conversar, ter diálogo sobre elas. Se cada um fechar a porta, não vamos dialogar juntos sobre quais são as melhores soluções para ambos e nós não vamos chegar a lugar nenhum.

É esse o meu recado a todos.

Espero que dê certo!

Estamos juntos.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Febrararas. Obrigada. Desafiadora a sua fala.

Deixe-me falar uma coisa, Dr. Daher.

Assim como a Regina, eu também fui para o Executivo, porque eu cansei de ficar aqui nos bastidores do Legislativo, gritando, cobrando. Aí eu fui para o Executivo. Eu fui como Ministra da pasta, do tema. E eu achei que ia fazer tudo, Regina.

Eu achei que fosse chegar lá, famílias raras... Nós tínhamos um Governo aberto ao tema, tanto que, dentro do Ministério dos Direitos Humanos, nós entregamos para o Brasil uma coordenação nacional dos direitos. Nós entendemos que este assunto é transversal, não tem que ficar só no Ministério da Saúde. Nós entendíamos e entendemos assim.

Hoje está tudo com o Ministério da Saúde. É difícil. O Ministério da Saúde tem que trabalhar é com medicamentos, com suprimentos, com as terapias, e os direitos estariam lá em outro ministério. E aí a gente achava que ia resolver todos os problemas, e nós encontramos o gargalo que é a administração pública, exatamente o que a Regina falou, exatamente o que o representante da Febrararas falou. É tudo engessado, gente! É tudo engessado. A máquina pública, no Brasil – eu vou fazer esse desabafo publicamente –, é cara, lenta e engessada. E aí a gente tem os órgãos de controle, que também nos fiscalizam, porque eles têm essa atribuição, eles são obrigados a nos fiscalizar. Nós ficamos engessados, com orçamentos prontos e entregues, que a gente recebe, sem flexibilidade.

Essa coisa de vamos combater a corrupção fica muito mais cara, porque a gente não modernizou a máquina – a gente não modernizou a máquina. Do que nós estamos precisando? Gestão, governança, integridade, eficiência e transparência. No dia em que a gente conseguir alcançar tudo isso, a máquina pública vai entender que vocês não são tão caros assim – não são tão caros– e que a gente tem dinheiro, sim.

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** (*Fora do microfone.*) – Se a gente está caro, é porque a gente não foi atendido lá atrás.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Exatamente! Não fomos atendidos lá atrás e, agora, estamos caros – não tão caros, tá, governo?



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Então, deixem-me dizer para vocês: eu acho que a criação de um grupo de trabalho... E acho também, Antoine... Nós temos um Comitê Interministerial de Doenças Raras na Esplanada. Até queria ouvir da Priscila como é que está o comitê, quem está na liderança do comitê. O comitê pode capitanear um grupo de trabalho desse, mas o Parlamento pode colaborar muito por meio desta Subcomissão, trazendo a sociedade civil para a Subcomissão e apresentando propostas.

Quem muda a lei é esta Casa! Hoje, nós estamos reféns de uma decisão do STF, porque não ousamos mudar algumas coisas, porque nós ficamos parados no tempo. Esta Casa pode dar o norte. Não quero mais ficar refém de uma decisão. Inclusive, durante o debate, antes da decisão final, as instituições estavam aqui, nós fizemos uma mobilização, nós estivemos com o Ministro no Supremo, pedimos ao Ministro Kassio que ele solicitasse vistas. Ele fez o que a gente pediu, mas o prazo foi muito curto. A gente não conseguiu influenciar, como a gente queria, naquela decisão. Estamos reféns de uma decisão que questionamos, mas o Supremo teve que tomar a decisão, porque o Supremo observou que tinha muitas falhas, muitas brechas. Mas esta Casa não pode se omitir mais! E vou dizer, Priscila: o Executivo também não pode mais se omitir. Nós vamos ter que nos encontrar. E acredito que a receita é governança, transparência, gestão, integridade e eficiência. Se a gente caminhar nessa direção, a gente se encontra e a gente vai dar as respostas.

A sua fala, Antoine, é desafiadora. Vou levar isso como um dos encaminhamentos para a nossa Subcomissão. E, se a gente não puder contar com o Executivo, com o comitê, nós temos a Frente Parlamentar Mista no Congresso Nacional e uma Subcomissão. A gente pode começar por aqui, convidando o TCU para a reunião, a Defensoria Pública. Acho que a CGU também tem que participar. A CGU tem que estar com a gente nessa luta, porque é missão da CGU a governança, a transparência e a integridade. Vamos conversar com a CGU. Eu acho que dá, sim.

Aquilo que eu e Regina queríamos fazer, como gestoras, e nós não conseguimos, porque a máquina é engessada, dá para a gente rever o que precisa ser revisto lá na gestão pública.

Obrigada, Febrararas, pela participação!

Nós vamos ouvir agora o Diretor de Relações Governamentais do Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos, o Sindusfarma. Nós não podemos discutir doenças raras sem os laboratórios estarem conosco. Eu vejo muita gente colocando-os numa posição de vilão. Eles não são vilões; eles encontraram muitas das respostas de que nós precisamos. Nós fazemos isso de



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

forma transparente, numa audiência pública. A gente ouve, sim, a indústria farmacêutica – a gente ouve –, porque está lá a solução de muitos dos nossos problemas.

Então, é com muita alegria que nós o recebemos, e a gente vai ficar no tema que foi proposto: a discussão da incorporação de medicamentos, terapias e equipamentos pelo SUS. Muito obrigada por estarem conosco.

**O SR. RENATO BENINE** (Para expor.) – Muito obrigado, Senadora. Queria agradecer à senhora e à Senadora Mara Gabrilli pelo convite, por convidar o nosso Presidente Executivo, o Dr. Nelson Mussolini, para estar aqui presente – eu o represento aqui hoje nesta audiência.

Queria cumprimentar os demais participantes dessa mesa e também dizer que é um prazer enorme estar de volta a esta Casa. Eu, que fui desta Casa... Trabalhamos muito, Senadora, em outras ocasiões, quando a senhora era Ministra e eu, assessor da Senadora Mara Gabrilli. Então, é um prazer enorme estar aqui e rever vários rostos conhecidos.

Hoje, eu estou na indústria farmacêutica, levando um pouco da minha experiência e, talvez, um pouco da minha sensibilidade, construída ao longo de tantos anos aqui também no atendimento às pessoas que vivem com doenças raras. Eu sempre gosto de dizer que prefiro dizer "pessoas que vivem com doenças raras", para a gente, de fato, trazer destaque às pessoas e à vida dessas pessoas. Que a gente não foque tanto na doença, mas foque na pessoa e foque na vida.

Falando um pouco do Sindusfarma: o Sindusfarma é o Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos. A gente tem na nossa base 600 associados. A gente tem toda a cadeia de valor farmacêutico, à exceção do varejo. São mais de 200 laboratórios farmacêuticos, indústrias farmacêuticas nacionais e multinacionais. Se é indústria instalada no país, é associada ao Sindusfarma. A gente tem 95% do *market share* representado pelo Sindusfarma, que movimenta aí 100 mil empregos diretos e 800 mil empregos indiretos.

Falando agora propriamente do tema, falando sobre acesso a medicamentos para pessoas que vivem com alguma doença rara, esse caminho é um caminho muito longo, de fato, e, para a indústria, ele começa bem lá atrás. São anos para o desenvolvimento de uma pesquisa; são anos para a descoberta de uma molécula; são muitas as moléculas que são ali pesquisadas para que a



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

gente alcance uma molécula. Segundo dados do Inca, são mais de 10 mil moléculas para que se encontre uma comercialmente viável. São 10 anos, 15 anos de investimentos, de pesquisas. São US\$16 milhões a US\$1,5 bilhão muitas vezes utilizados e despendidos para identificar uma única molécula.

E aí a gente tem a pesquisa clínica, o momento de testar esses medicamentos, comprovar a eficácia desses medicamentos. E aí começa uma luta pela busca de pacientes. O Brasil hoje ainda é o 20º país... Em que pese sejamos o décimo mercado da indústria farmacêutica, a gente é o 20º em pesquisa clínica. Isso se deve ao fato de que, até muito recentemente, a gente não tinha um marco legal para as pesquisas clínicas, algo conquistado muito recentemente com a Lei nº 14.874, sancionada em 28 de maio de 2024.

Essa lei ainda está pendente de regulamentação, e esta é uma outra demanda – viu, Senadora? – que a gente pode colocar nos pedidos, que é: tentar compreender em que momento essa regulamentação sairá. Em tese, a norma já está vigente, mas a gente ainda carece de regulamentação.

Tem um veto também, o Veto 13, que está para ser apreciado por esta Casa, pelo Congresso Nacional, que estabelece o prazo de cinco anos para o fornecimento pós-estudo. Esse é um veto cuja derrubada, para a indústria, é fundamental, porque a gente compreende que... Inclusive, esse veto, o dispositivo que foi vetado garante direito ao paciente. O texto que a gente tem na lei já garante que o fornecimento do medicamento pós-pesquisa clínica é por um prazo determinado. Na ausência dessa disposição, esse prazo pode ser de um ano, dois anos, mas, se a gente conseguir derrubar o veto, esse prazo será de, no mínimo, cinco anos. Então, a gente precisa da retomada desse dispositivo para garantir segurança jurídica, tanto para a indústria como também para o paciente, para que ele tenha acesso ao fornecimento pós-estudo por pelo menos cinco anos do início da comercialização desse produto. Então, a gente precisa de e aguarda uma sessão para que se possa deliberar a derrubada desse veto.

Um outro ponto bastante importante de que a gente tem que falar, em relação à pesquisa clínica, é que esses medicamentos são todos tributados. Nos medicamentos destinados hoje à pesquisa clínica, só para a senhora ter uma ideia, Imposto de Importação é de 16,20%; IPI, 15%; PIS, 2,10%; Cofins, 9,65%; ICMS, 18%. Quem traz medicamento e pesquisa clínica para um país



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

com toda essa carga tributária que a gente tem? Esta é uma demanda do setor em relação à reforma tributária: a gente precisa desonerar medicamentos destinados à pesquisa clínica. Essa é uma forma de a gente garantir acesso, e pesquisa clínica é acesso antecipado a tecnologia, é acesso antecipado a inovação – sobretudo nos raros, quando você tem as pessoas que vivem com uma doença rara, que buscam uma vida digna e encontram ali, na pesquisa clínica, talvez a única alternativa terapêutica a uma doença sem nenhuma outra alternativa. Então, a gente precisa pensar em como tornar isso cada vez mais eficiente, também, para ser o Brasil um país atrativo para a pesquisa clínica, garantindo mais acesso a medicamentos inovadores para as pessoas que vivem com doenças raras.

Regulação sanitária e regulação econômica: aqui a gente vive – já falei isso numa outra audiência aqui – entre o progresso e a assimetria. Na regulação sanitária, a gente tem vários avanços, como o próprio Antoine colocou – você já tem registros de medicamentos concedidos em Fase II de pesquisa clínica; você tem o *fast track*, como disse o Antoine; tem a Anvisa iniciando debates para aproveitar evidências de mundo real no registro e nas análises regulatórias, sobretudo considerado esse universo muito limitado de pacientes que compõem o universo de pessoas que vivem com doenças raras –, mas, na regulação econômica, a gente tem uma regulação econômica, uma regulação de preço de medicamentos que é datada de 2004.

A Resolução 2, da Cmed, é de 2004, quando sequer se falava em doença rara, terapias avançadas... Então, a gente precisa avançar na regulamentação, nas discussões. A gente tem tido uma discussão já com a Cmed, com a Secretária da Cmed, para avançar nessas discussões; a gente sabe que eles estão num processo, também, de construção dessa regulamentação, mas a gente ainda vive uma assimetria: enquanto, do lado da regulação sanitária, a gente vê progresso, na regulação econômica, a gente vivia uma certa estagnação, e agora conta com passos que vêm sendo dados pela secretária para tentar aprimorar a Resolução nº 2, que regula a precificação. Do contrário, a gente fica com, no caso das terapias avançadas, a maioria delas enquadradas como caso omissis, não tendo ali, de fato, uma regulação clara e transparente. E previsibilidade e segurança jurídica são dois elementos essenciais para os negócios, qualquer negócio, não só para o negócio da indústria farmacêutica, mas para qualquer negócio; até mesmo para a gestão pública, a previsibilidade e segurança jurídica são essenciais.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Falando agora da incorporação, a incorporação é o desfecho final do acesso a esse medicamento, o que a gente está falando aqui principalmente. No caso de doenças raras, no que tange à avaliação de tecnologias em saúde, a gente precisa encontrar formas alternativas para a incorporação desses medicamentos; precisa, nas tomadas de decisão, avaliar, por exemplo, o uso da análise de decisão multicritérios (MCDA), que já é utilizada por diversos países; a gente precisa avançar em pensar na adoção de acordos de risco compartilhado. A gente tem um acordo de risco compartilhado que está, neste momento, aguardando a deliberação do Ministério da Saúde, justamente para o caso de AME, que é o risco compartilhado para acesso do Zolgensma.

E a gente tem a decisão do Supremo, recente, as Súmulas 60 e 61, que são decisões tomadas no âmbito do Tema 6 e do Tema 1234. E eu queria registrar que a indústria farmacêutica sempre foi e sempre será contrária à judicialização. Isso é princípio da indústria farmacêutica. Não há como a gente defender a judicialização, porque ela não é boa para ninguém: ela não é boa para a indústria farmacêutica, ela não é boa para o paciente e ela não é boa para o Governo. Ela é incapaz de garantir, sobretudo pensando nas decisões precárias que a gente tem... São medidas liminares cassáveis a qualquer momento. Então, a gente não pode pensar que ela é boa para garantir acesso. Não é mecanismo de acesso. Como a própria Senadora Mara falou, infelizmente, ela tem sido a política pública adotada no acesso a doenças raras, mas não deveria ser. E ela também não é boa para os governos, porque também se perde previsibilidade, também se perde segurança jurídica e elevam-se os custos da manutenção desses tratamentos.

O Supremo talvez tenha acertado em dizer que a judicialização é um mecanismo excepcional de acesso, sobretudo quando a gente tem ali situações em que os mecanismos usuais de acesso, os mecanismos usuais de incorporação falham, seja porque o medicamento não foi incorporado, seja porque o medicamento, embora tenha sido incorporado, está indisponível. Nesse caso, a gente precisa lançar mão da judicialização – não digo a gente, indústria, mas o paciente tem total direito de lançar mão da judicialização, porque ele está tendo um direito violado. Mas acho que o Supremo talvez tenha falhado, tenha se equivocado nos critérios que ele utilizou para definir ali a restrição à judicialização.

E cabe a esta Casa, cabe à sociedade civil, cabe ao Governo a discussão desses critérios de maneira democrática, de maneira transparente, que a gente consiga pensar em quais são os mecanismos necessários para o aprimoramento da Conitec, quais são os mecanismos necessários



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

para o aprimoramento da incorporação, quais são os mecanismos necessários para a gente prover formas alternativas de financiamento do sistema.

A gente tem, sim, Senadora, que garantir acesso, mas a gente também tem, sim, que pensar em como resolver o subfinanciamento do sistema. A gente vivencia isso. A gente tem aí o PLP do Senador Romário, trazendo algumas ideias para a gente, o PLP 149, de 2024; há outros PLs que tratam da criação de fundos para manutenção dos tratamentos para pessoas com doenças raras; enfim, temos uma infinidade de proposições que precisam ser estudadas, pensadas, talvez no âmbito desse grupo de trabalho, como a senhora colocou, para que a gente encontre saídas realmente que garantam acesso a esses medicamentos.

Judicialização, de fato, não é o caminho. Judicialização, de fato, não é a forma de garantir, não é política pública. A gente precisa pensar na construção de política pública e que seja previsível para todos: previsível para o paciente, previsível para o Governo e previsível para a indústria.

São essas as minhas palavras.

Obrigado. (*Palmas.*)

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

Obrigada, Dr. Renato.

Gente, para mim é muito difícil chamá-lo de Dr. Renato, porque nós éramos colegas nos corredores, na Câmara, no Senado. Éramos assessores que sonhávamos. E muita, muita legislação foi construída aqui, com a gente, com os gabinetes unidos. E depois eu fui ser Ministra, ele continuou assessor, e me ajudou muito na interlocução com o Congresso, muito! E hoje eu vejo o Renato na diretoria dessa relação institucional. Você levou para lá essa visão do Legislativo e você consegue também fazer esse diálogo com o Executivo. Então, Dr. Renato, eu estava olhando aqui muito orgulhosa de você, muito orgulhosa. E é muito bom saber que nós temos você lá para esse diálogo. Que Deus te abençoe na sua nova jornada! E tem um monte de assessor aqui te mandando abraço, viu? Um monte de assessor.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Gente, os assessores dos demais Senadores não vêm ao Plenário, porque eles querem deixar as cadeiras para os convidados, mas os gabinetes estão todos conectados. Nós temos um circuito interno de televisão. Quero mandar um abraço para todos os colegas dos gabinetes que estão acompanhando e também vão trabalhar conosco nos encaminhamentos.

Então, Renato, seus colegas estão mandando abraço, tá? Obrigada.

Por último, nós vamos ouvir o Ministério da Saúde. Mas aí, Priscila, antes de lhe passar a palavra, eu vou ler algumas perguntas que chegaram e estão direcionadas. Você pode respondê-las agora, usá-las para fazer a formatação da sua fala ou, depois, respondê-las por *e-mail*.

Ellen, do Distrito Federal, pergunta o seguinte, Priscila: "Como tem sido o trabalho de conscientização da população e dos trabalhadores do SUS [...] [quanto a] pessoas com doenças raras?". Eu vou repetir: "Como tem sido o trabalho de conscientização da população e dos trabalhadores do SUS [...] [quanto a] pessoas com doenças raras?".

A pergunta que vem do Rio de Janeiro, por meio de Giovana, diz o seguinte: "Por que [...] as fórmulas especiais para erros inatos do metabolismo [ainda não foram incorporadas ao SUS, sendo essenciais para o tratamento]?". Inclusive, temos mães metabólicas aqui.

E aí temos mais uma pergunta. Deixe-me ver. É mais uma para você, Priscila: "Precisamos da aprovação do medicamento [...] para Ataxia de Friedreich, que é uma doença rara devastadora!". Nós temos muitos representantes aqui. Essa pergunta vem de Amanda, do Distrito Federal.

Priscila, são dez minutos, mas você já percebeu que eu dou um prazo maior. E estamos todos numa grande expectativa para te ouvir, Priscila. Muito obrigada por estar participando da audiência.

**A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Boa tarde. Eu queria agradecer, Senadora Damares, pelo convite. É muito importante a gente sempre participar dessas audiências. Sempre que recebemos convite, estamos presentes. É muito importante esse diálogo.

Cumprimento a Senadora Damares, a Senadora Mara Gabrilli e os demais participantes aqui convidados: o Dr. Ricardo, o Dr. Messias Trindade, a Regina, o Dr. Daher e o Renato.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Eu mandei uma apresentação. Não sei se posso compartilhar por aqui ou se vocês podem passar por aí.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Você mesma pode começar a exibição.

**A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY** – O.k.

Eu vou responder a algumas falas, a alguns questionamentos que foram falados aqui, mas eu falarei apenas do que disser respeito à Conitec, ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde.

Então, no que diz respeito a acesso e implementação de tecnologias, eu não posso falar, porque não diz respeito, não cabe a mim, pois não é da minha competência.

Eu vou tentar passar a apresentação de uma forma breve.

Vocês estão me ouvindo?

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

**A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY** – Eu estou compartilhando. Então, não estou mais vendo. Se alguém quiser falar, pode só me interromper.

Bom, vou falar um pouco sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec), que foi criada por lei em 2011. Antes da Conitec, a gente tinha a Citec, que era a Comissão de Incorporação de Tecnologias. A Citec havia sido criada por meio de uma portaria do Ministério da Saúde.

Essa lei trouxe alguns avanços, como principalmente o estabelecimento de prazos para análise, alguns critérios que são obrigatórios para que uma tecnologia seja avaliada pela Conitec e seja incorporada; e também a composição dessa comissão e alguns atores importantes envolvidos nela. A Conitec é um órgão colegiado integrante do Ministério da Saúde, que tem como objetivo assessorar o Ministério nos assuntos relativos a incorporação, exclusão ou



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

alteração de tecnologias no SUS e também sobre a constituição e alteração de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).

Para que uma tecnologia seja avaliada, é necessário que seja considerada a evidência científica, a evidência de eficácia e segurança, e também estudos de avaliação econômica, os estudos que a gente chama de custo-efetividade, estudos de impacto orçamentário. A lei trouxe um ponto extremamente importante: todos os temas e todas as avaliações da Conitec devem passar por consulta pública. Então, todas as avaliações da Conitec passam por consulta pública, exatamente para poder ouvir a sociedade, ouvir as necessidades tanto dos pacientes como dos serviços de saúde a respeito daquela tecnologia que está sendo avaliada.

O prazo é de 180 dias, prorrogável por mais 90. E ela veda o uso de tecnologias sem registro na Anvisa e de procedimentos experimentais. Procedimentos que são considerados experimentais e as tecnologias que não têm registro não podem nem ser avaliadas, não podem nem ser objeto de avaliação pela Conitec.

Também a lei traz que as incorporações devem ser efetivas mediante PCDT. O PCDT só pode ser demandado, só pode ser pedido pelo próprio Ministério da Saúde. Então, são as próprias áreas do Ministério da Saúde que solicitam a elaboração de um novo PCDT ou a própria Conitec. Então, quando há a incorporação de uma nova tecnologia que não existe em PCDT – uma linha de cuidado ou uma diretriz –, a Conitec estabelece, solicita, pede ali, solicita, que seja realizado, elaborado um protocolo.

A Conitec hoje tem uma estrutura um pouco diferenciada de quando foi criada. Houve uma alteração extremamente importante, que foi a criação de comitês temáticos. Então, nós temos um Comitê de Medicamentos, um Comitê de Produtos e Procedimentos e um Comitê de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Essa estrutura foi bastante importante, porque a gente conseguiu qualificar as discussões. Decisões, por exemplo, relativas a produtos e procedimentos se tornaram mais qualificadas e mais efetivas.

A Secretaria-Executiva da Conitec é realizada pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde, que é o departamento do qual eu faço parte. Quanto à composição dos comitês, hoje, são 15 membros. Então, em relação à composição desse comitê, alguns membros já constavam na lei e outros foram incluídos por meio de decreto. Hoje nós temos



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

representantes de cada uma das secretarias do Ministério da Saúde, representantes da Agência Nacional de Saúde Suplementar, da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e do Conselho Nacional de Saúde – isso é extremamente importante, porque a gente entende que a representação da sociedade na composição dos comitês é bastante importante, e o Conselho Nacional de Saúde tem esse papel. Então, hoje nós temos representantes ali com direito a voto e que são representantes de pacientes. Desde o início da Conitec, havia sempre um representante de paciente, pelo Conselho Nacional de Saúde –, o Conselho Nacional de Secretários de Saúde (Conass); o Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde (Conasems), o Conselho Federal de Medicina, a Associação Médica Brasileira e um representante de métodos, que entende de metodologia, dos Núcleos de Avaliação de Tecnologias em Saúde, que representa o núcleo da Rebrats (Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde).

O fluxo de incorporação de tecnologia inicia quando a Conitec recebe um pedido, ou seja, a Conitec só atua quando é demandada, seja por uma área técnica do Ministério, seja por uma demanda interna, ou seja por uma demanda externa. Normalmente, as demandas externas são as que vêm das indústrias, das empresas que fabricam os medicamentos, e a gente tem cada vez mais recebido demandas externas vindas de sociedades médicas e também de associações.

Então, a partir do momento em que a gente recebe esse pedido, é feita uma análise, e tem critérios para que seja enviada a documentação. Se estiver tudo o.k., esse processo segue para a análise e, após a análise, vai seguir para duas reuniões da Conitec. A primeira reunião é uma recomendação. O comitê faz uma recomendação inicial, preliminar. Esse parecer, esse relatório, vai para a consulta pública e, após essa consulta pública, retorna novamente para a Conitec, para reunião, para que o comitê ou altere a recomendação preliminar ou mantenha, se não houver nenhum fato novo na consulta pública.

Esse momento também é importante, porque a gente tem, cada vez mais, tentado incluir todos os atores responsáveis e interessados no processo de incorporação de tecnologias. Então, nesse momento, também participa na reunião de retorno de consulta pública, a gente também chama e convida um representante do demandante externo, de quem fez essa demanda. Então, a empresa, quando demanda, tem também a possibilidade de falar ali, no momento da reunião, para mostrar a proposta de incorporação e falar sobre a tecnologia. Quando é uma sociedade médica, por exemplo, ela também pode estar ali presente para fazer essa fala.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

O secretário, então, tem o poder da decisão. Após a recomendação da Conitec, o secretário decide se incorpora ou não. Ele publica a decisão em portaria ou pode solicitar uma audiência pública, se julgar necessário, para colher alguma informação a mais para auxiliá-lo nessa decisão.

O fluxo de incorporação de tecnologias em saúde leva, na fase de análise, 180 dias, prorrogáveis por mais 90 dias. Nessa fase, a gente considera os estudos das evidências científicas e de avaliação econômica. Após a portaria, a gente tem, pelo prazo do decreto, 180 dias para a disponibilização pelo SUS.

Bom, aqui tem alguns requisitos para avaliação. Acho que eu já falei um pouco deles. No caso de medicamento, além de ter registro na Anvisa, ele precisa ter o preço fixado pela Cmed e previamente ser demandado para a Conitec.

Todo esse processo de avaliação leva em consideração o que a gente chama de avaliação de tecnologias em saúde, que é um processo multidisciplinar que usa métodos para determinar o valor de uma tecnologia em diferentes momentos do ciclo de vida dessa tecnologia e tem o objetivo de trazer informação na tomada de decisão, considerando todos os fatores – equidade, eficiência e qualidade – para o sistema de saúde e para a sustentabilidade. Então, todos estes parâmetros – clínico, econômico, relacionado ao paciente e à própria organização – são levados em conta para a tomada de decisão.

Como até a Regina e a própria Senadora Damares falaram, pontos que acabam sendo mesmo levados em consideração são a questão orçamentária e a questão de organização do sistema para que aquela tecnologia possa ser incorporada. Então, são fatores que realmente são considerados dentro do processo de tomada de decisão, mas são alguns desses fatores. Tem outros que são tomados em conta também, principalmente em relação ao paciente, o impacto que aquela nova tecnologia causa na vida dos pacientes.

Todos os relatórios são tomados como modelo. A gente tem um modelo em que tem todos os requisitos que devem ter nesse relatório. Esse relatório é publicado, e todos eles ficam no *site* da Conitec.

Para fazer esses estudos, a gente segue todos os métodos que constam nas Diretrizes Metodológicas do Ministério da Saúde. Essas diretrizes são realizadas pelos núcleos da Rebrats



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

(Rede Brasileira de Avaliação de Tecnologias em Saúde). Hoje temos 120 Nats, 120 núcleos, que elaboram essas diretrizes metodológicas, mas, além disso, eles hoje têm um papel extremamente importante, porque também fazem as análises das demandas de incorporação solicitadas à Conitec e elaboram os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas. Esses NATS estão presentes em universidades, nos hospitais de ensino e hospitais de renome do nosso país.

Até hoje, nós recebemos cerca de 1,2 mil demandas de análise, a grande maioria delas é de medicamentos e de várias áreas – enfim, a maior parte – de infectologia e oncologia. Foram 290 tecnologias não incorporadas, mas 472 incorporadas. A gente tem aí que 55% das tecnologias que a Conitec avaliou foram incorporadas e 85 delas foram excluídas.

Falando um pouquinho aqui e só fazendo uma fala bem rápida e específica para doenças raras, das 46 tecnologias incorporadas nos dois últimos anos – eu trouxe algo mais recente –, 15 foram para doenças raras. É um tema de preocupação não só da sociedade, mas é um tema de preocupação, sim, do Ministério da Saúde. É um tema muito desafiador para a Conitec, porque o próprio processo de análise é diferenciado, e ele tem características que são tanto desafiadoras quanto bem específicas.

Tendo em vista – até já foi falado aqui – a questão do registro acelerado, esse, por um lado, é um ponto positivo, mas, quando a gente fala em termos de avaliação de tecnologias de saúde, ele acaba trazendo dúvidas e, para o processo de tomada de decisão, pode gerar um pouco de dúvida no momento dessa decisão. Ele acaba sendo um complicador. Por quê? Porque os estudos acabam não sendo maduros o suficiente para atestar, de fato, a eficácia e a segurança daquele produto. Então, como os estudos ainda não foram finalizados, eles ainda não estão completos, e a gente não consegue saber se, de fato, aquilo que foi observado até aquele momento do estudo vai se manter e por quanto tempo ele vai se manter. E muitas doenças raras, quando a gente vê, têm desfechos e têm resultados na vida do paciente por toda a vida dele, não é momentaneamente. Então, a gente precisaria de um estudo com um tempo de mais longo prazo.

O próprio desenho desses produtos acaba sendo inadequado, do ponto de vista de avaliação da eficácia e da segurança, pelo fato de se ter uma amostra pequena, pelo fato de, muitas vezes, não se ter um comparador que seria o comparador ideal – às vezes eles são estudos de braço único. E, além de tudo isso, a gente tem, cada vez mais, o alto custo dos produtos, dos



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

medicamentos, e a gente acaba não tendo como avaliar se, de fato, aquele alto custo se justifica pelo benefício que ele vai trazer para os pacientes, qual o valor real agregado que aquela tecnologia traz e se realmente ela vai trazer algum benefício para o paciente maior do que o risco. Esse é um ponto importante.

Bom, falando das consultas públicas, todos os nossos temas são enviados para consulta pública, todos os relatórios, todas as análises; a gente analisa todas as contribuições que a gente recebe. É feito também um relatório com uma linguagem mais acessível para a sociedade, para que a sociedade possa participar da consulta pública – a gente também publica relatórios para a sociedade –, e, a partir de 2020, nós começamos a incluir na reunião a perspectiva do paciente.

Então, nós abrimos uma chamada pública, para que um paciente daquele tema possa participar e fazer seu relato ali na reunião sobre como é conviver com aquela condição de saúde, como é conviver com ou sem a tecnologia, porque, às vezes, tem pacientes que já tiveram acesso àquela tecnologia que está sendo avaliada. Ele explica ali como que está sendo a vida dele após o uso daquela tecnologia e, muitas vezes, até sem a tecnologia também. Isso traz informações importantes que complementam a tomada de decisão, e tem sido uma experiência bastante exitosa e muito rica ter esse momento, na reunião, de fala do paciente.

Nós temos 183 diretrizes e protocolos publicados, 34% deles para doenças raras, e nós também aumentamos a transparência e a comunicação. Em todos esses anos da Conitec, a gente tem promovido o diálogo com a sociedade e com os atores que estão interessados na incorporação. Nós fizemos três fóruns de ATS para poder ouvir em que a gente poderia melhorar o nosso processo. Então, muitas evoluções que a gente conseguiu seguir em todos esses anos foram por conta disso, ouvindo a sociedade e ouvindo o que a gente poderia melhorar: uma delas foi a participação do paciente e a outra foi o aumento da transparência e a melhoria na comunicação.

Hoje, todas as reuniões da Conitec são gravadas, disponibilizadas no YouTube. Em poucos dias depois da reunião, elas já estão disponíveis, as pautas e as atas da reunião, inclusive com a pauta em tempo real. A partir do momento em que o tema está sendo tratado na Conitec, ele já tem o resultado e já vai para o *site* com ele. A gente tem uma lista de todas as demandas que estão em avaliação no momento, os dossiês dos demandantes também são disponibilizados, e a



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

gente tem todas as outras informações ali no *site*, de consulta pública, enfim... Está aí o *site* para quem ainda não o conhece.

Bom, desculpem-me se eu demorei um pouco além do tempo, mas acho que era importante ter esse panorama do que é a Conitec, do que a gente faz aqui.

Em relação a algumas perguntas que fizeram, o PCDT é iniciado por pedido do próprio Ministério da Saúde ou por incorporação de uma tecnologia. E, quando a gente tem esse PCDT iniciado, ele é elaborado e passa também pela Conitec. Depois de passar pela Conitec, a norma já diz – isso está estabelecido nas normas – que esse PCDT deve ir para as outras áreas. Então, a Regina perguntou aí do PCDT de Fabry. Ele já foi aprovado pela Conitec e foi enviado para a área técnica responsável, para que ela se manifeste.

Eu não sei se tem mais alguma coisa, mas estou aqui à disposição.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Dra. Priscila. Dentro da sua atribuição e do que você faz no ministério, você foi brilhante. Agradeço à sua secretária, ao seu secretário, ao diretor e à Ministra por tê-la enviado, mas a gente esperava a Ministra da Saúde nesta reunião, a gente esperava a secretária, a gente esperava a diretora... Eu sei do esforço que você fez para representá-los aqui. A gente percebe que você é uma técnica comprometida, extremamente aplicada, e trouxe informação, sobre a Conitec, extremamente interessante. Obrigada por ter vindo, por não ter deixado esse lugar do Ministério da Saúde vazio, mas a gente esperava a Ministra.

Eu preciso registrar isso aqui, porque, Priscila, as famílias têm pressa, as pessoas com doenças raras não podem esperar – não podem esperar!

E, nesse sentido, eu quero informar à Priscila e aos demais convidados que a gente vai precisar caminhar com uma certa urgência. O PLP do Senador Romário está, desde o dia 21 de outubro, na Comissão de Constituição e Justiça, aguardando um Relator, os filhos de vocês não podem esperar tanto. A gente tem um dissabor com esse PLP porque ele entrou no sistema, as famílias printaram quando ele entrou no sistema e ele desapareceu do sistema do Senado. Nós tivemos que fazer uma luta interna para que ele voltasse para o sistema. Depois, uma luta enorme para que o Presidente do Senado distribuisse. Ficou lá na mesa, sem distribuição. Vocês não têm



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

ideia, todos os Senadores pegavam o microfone na tribuna e diziam: "Distribua, é só o senhor distribuir". Distribuiu para a CCJ desde o dia 21/10 e está aguardando o Relator. A gente quer aprovar na CCJ, já pedir regime de urgência e ir para o Plenário.

Então, assim, as famílias têm pressa. Esta Casa está tomando a iniciativa, estamos cumprindo parte do nosso papel, podemos fazer muito mais, é claro, e vamos fazer, mas o PLP está parado. E aqui as instituições podem nos ajudar mandando lá um *e-mail* para a Comissão de Constituição e Justiça, para o Presidente, para que ele acelere. Inclusive, com o encaminhamento dessa audiência pública, eu vou pedir à Secretaria que faça um ofício desta Comissão para a CCJ pedindo que um Relator seja designado o mais breve possível, porque as famílias estão desesperadas.

Estamos indo para o final da nossa audiência. Algumas respostas não nos foram dadas e a gente vai caminhar da seguinte forma: cada expositor vai ter de três a cinco minutos para agradecimentos e considerações finais e, depois, vocês não estão inscritos para falar, mas eu vou conceder três minutos para a OAB, três minutos para taxias e três minutos para as mães metabólicas. É só o que eu posso fazer, porque o nosso horário já está esgotado. O.k.?

Os expositores na ordem de fala. Nós começamos com o nosso defensor público e nós queremos lhe passar por mais três a cinco minutos para agradecimentos e considerações finais.

**O SR. RICARDO EMÍLIO PEREIRA SALVIANO** (Para expor.) – A Defensoria Pública da União agradece o convite do Senado Federal. É uma honra participar aqui deste debate e nos colocamos à disposição para todas as associações, para toda a sociedade civil organizada que queira procurar a Defensoria Pública da União para subsidiar nossa atuação com pareceres técnicos, com informações que possam subsidiar a nossa atuação. É muito importante que todos possam contribuir e apresentar dados para que a gente possa postular junto ao Ministério da Saúde, junto aos órgãos responsáveis, para auxiliar todos na luta das doenças raras.

Tem um ponto aqui de que a Febrararas chamou a atenção e que eu já tinha colocado na minha fala, e quero ressaltar aqui que é oportuno. Em relação a essa questão da AME tipo 1, porque foram aprovados os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas para que a criança até seis meses de idade tenha a oportunidade de receber a medicação. Só que, diante da impossibilidade de ela ser submetida a uma triagem neonatal no momento do seu nascimento, isso acaba inviabilizando o diagnóstico e impossibilitando-a de ter acesso ao nascimento, porque



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

é uma corrida contra o tempo. A criança, sem o diagnóstico preciso, logo ali no momento do seu nascimento, sem ter a possibilidade da suspeita e depois os testes confirmatórios para confirmar o diagnóstico por meio até de geneticista e depois uma avaliação clínica, não vai ter o acesso à medicação, porque essa demora vai impedir que ela tenha acesso à medicação, já que o prazo é muito curto.

Então, a Defensoria Pública também defende a antecipação da quinta etapa, prevista na lei da triagem neonatal, para que se possa tornar essa política pública de tratamento da AME tipo 1 eficaz...

*(Soa a campainha.)*

**O SR. RICARDO EMÍLIO PEREIRA SALVIANO** – ... porque senão vai ser inoportuna e não vai fazer efeito. Então, a minha fala é no mesmo sentido da exposição do Presidente da Febrararas.

É isso. Gostaria de agradecer a minha participação.

Muito obrigado.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Defensoria Pública. Eu só queria fazer um alerta aos defensores públicos que estão lá na ponta: Conitec não cria lei, Conitec não toma decisão, Conitec é um órgão consultivo. Então, que os senhores considerem sempre essa realidade. Parabéns! Obrigada, Defensor. Leve um abraço ao Defensor-Geral.

Na sequência, o Dr. Messias Alves Trindade, do Tribunal de Contas, de três a cinco minutos para agradecimentos e considerações finais.

**O SR. MESSIAS ALVES TRINDADE** (Para expor.) – Mais uma vez, Senadora, obrigado pelo convite.

Reafirmo: acho que a gente pode contribuir. Quero reafirmar o que eu disse no início: a gente vai encaminhar esse relatório tão logo ele seja apreciado pelo tribunal. Foram valiosas considerações que a gente colheu aqui. Eu acho ainda possível ver como a gente considera o nosso relatório, porque a versão que a gente tem ainda é preliminar.

Obrigado pela atenção.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

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

Na sequência, Regina, para os agradecimentos finais.

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** (Para expor.) – Senadora, vou aproveitar aqui a carona no rabo do cometa. Falando do diagnóstico de AME, Dr. Ricardo, as mucopolissacaridoses têm, no protocolo clínico, sendo a primeira forma de cura – "cura" se é que a gente pode chamar assim – , o transplante de células-tronco hematopoéticas, mas ele só pode ser realizado até os 24 meses. Só que não existe o exame neonatal, ele não está incorporado, ele não está na lista. E nós deixamos a mucopolissacaridose até de lado naquele momento, porque seria inviável que se passasse pelas Comissões o exame do pezinho como ele está.

Então, aí vem a pergunta. As crianças chegam para nós após os 24 meses, porque é quando elas começam a mostrar a forma neurodegenerativa. Já não adianta mais, eles já queimaram o tempo deles. A janela que seria útil para eles já passou. Então, a gente precisa trabalhar de forma que também algumas doenças, assim como a mucopolissacaridose e a AME, tenham o seu diagnóstico precoce, e tantas outras também que a gente sabe que vão fazer total diferença se tiverem o exame do pezinho já implantado e eficaz para que as crianças tenham a saúde como elas merecem.

A acidúria glutárica, por exemplo, está no exame do pezinho, mas ainda não entrou. Ela está no pago, só que também, por falta de informação, as famílias, muitas vezes, não são informadas de que existe essa triagem neonatal paga e não a fazem, sendo que elas têm dinheiro para pagar.

Então, nós precisamos trabalhar com a informação e com a incorporação de forma rápida. Faz 12 anos que eu escuto o Ministério da Saúde dizer...

*(Soa a campainha.)*

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** – ... a seguinte frase: "Nós não temos condições de absorver todas as doenças, o SUS vai surtar", mas eles tiveram 12 anos para fazer isso, veio uma pandemia... Nós não tivemos sucesso com a pandemia? O Brasil não conseguiu trabalhar? Como é que o Brasil não consegue trabalhar com doenças raras? Isso para nós é muito ruim.

Senadora, eu posso responder às perguntas, ainda dá tempo?



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

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

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** – O Gabriel, da Bahia: "De que maneira as desigualdades regionais afetam o acesso de pacientes com doenças raras a medicamentos e tecnologias no SUS?"

Muito, muito. O Brasil é um continente, nós temos boa parte da saúde no Sul e Sudeste, o que diferencia é que, por exemplo, Amazonas e Amapá não têm geneticista. Então, nós precisamos trazer a igualdade para essas regiões, assim como nós temos aqui no Sul. Não sei como fazê-lo. Eu acho que a gente precisa de um estudo para que isso aconteça, mas é preciso que aconteça para que os pacientes do Amapá não sejam colocados em um barco por 24 horas para chegar a Belém ou a Santarém para eles terem a saúde. Aqueles pacientes que não podem entrar no barco e que não podem ser transportados por avião vão morrer ali.

Isso é inconcebível para um país com tanta... O Brasil é rico. O Brasil é rico, ele só não tem, muitas vezes, boa vontade.

E a outra é: "Quais [as] medidas [que] podem melhorar o acesso a medicamentos e dispositivos no SUS para diagnóstico e tratamento de doenças raras?"

A gente deve continuar cobrando, a sociedade civil, juntamente com os pacientes, porque nós temos regramento jurídico para isso, nós temos condições de fazê-lo, mas falta, muitas vezes, a disposição do gestor local e as condições para que tudo isso aconteça e traga uma melhor saúde para o paciente.

Obrigada.

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

Antoine, Febrararas, seu tempo para considerações finais e agradecimentos.

**O SR. ANTOINE DAHER** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Obrigado, Senadora.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Já que falamos agora do processo da Conitec, eu gostaria de falar algumas coisas rápidas e também pedir desculpa a todos que estão nos assistindo porque eu vou falar algumas coisas bem reais.

Infelizmente, a nossa Ministra da Saúde, com todo o respeito, comemorou, alguns dias atrás, uma decisão totalmente equivocada que estabelece umas restrições inadequadas ao acesso democrático dos pacientes a tratamentos de doenças raras.

Como a Priscila falou... Concordo com 90%, mas com algumas coisas eu não concordo, Priscila, referente a algumas avaliações. Quando se trata de vida real do paciente, nós estamos falando de mais de 120 medicamentos registrados na Anvisa, menos de 40 incorporados, em torno de 200 registrados no mundo.

A Conitec comete o mesmo erro que muitos cometem quando ela pede a contribuição dos pacientes, da sociedade civil, da sociedade médica, mas não leva em consideração. Porque 90% dos medicamentos não incorporados têm 100% de aprovação da sociedade médica e civil para a incorporação. Mesmo assim, não é levado em consideração.

Também a Conitec não pode depender de apenas um avaliador técnico, um avaliador técnico médico ou não médico, que seja. A Conitec precisa ter informação mais robusta, centros mais adequados, que podem fornecer tudo para a Conitec, não apenas alguns dados referentes a um tratamento de seis meses, de um ano. A vida do paciente inteira. Nós estamos falando aqui de uma terapia também avançada, só para deixar claro, precisa-se de estabelecer um protocolo de pré-aplicação, um protocolo de pós-aplicação de 15 anos acompanhando o paciente, de 15 anos.

Como o Ministério da Saúde está fazendo esse trabalho? Ele não está fazendo. Esse trabalho, ele não consegue, volto a falar, enquanto não criar um ecossistema. Volto a falar, a Ministra comemorou o quê? A prova de que o sistema não funciona? Porque enquanto não...

Eu concordo com os arts. 1º, 2º, 3º, 4º, mas com o 6º, não. Quando vou dar a chancela para a Conitec, com todo o respeito pelo trabalho técnico que todos fazem na Conitec, mas quando vou dar a chancela para a Conitec, para ela decidir a vida do paciente? Sem a Conitec ter a estrutura e a independência, independência política, porque hoje ela é dependente política, é



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

conflitante... Sem ela ter a estrutura que pode avaliar da forma correta, no nosso ponto de vista, como a ANS – como a ANS. A ANS é uma agência independente. Se a Conitec fosse uma agência independente, eu concordaria plenamente com essa decisão. Mas hoje a Conitec não tem como ser, vamos dizer assim, a última chancela para o paciente.

Nós estamos falando de maioria dos medicamentos órfãos. Se 70 medicamentos não são incorporados, então todos esses pacientes, na avaliação da Conitec, vão ficar sem receber medicamento via judicialização. Sabe o que significa isso? Que a nossa Ministra, com todo o respeito, deve comemorar uma única coisa: o aumento de fabricação de caixões no Brasil para 2025. Essa é a única comemoração que pode ter, na área de indústria, não na área de saúde. Com todo o respeito.

Então esse é um recado para a nossa Ministra. Ela precisa responder quais são os critérios que hoje o Ministério da Saúde coloca para ter acesso aos medicamentos não incorporados.

Minha pergunta para a Sra. Priscila: como a Conitec hoje está se estruturando para responder a milhares de juízes no país, referente a esses tipos de medicamento que tiveram avaliação negativa pela Conitec? Como vai ser o acesso daqui para frente? Qual é o trabalho da Conitec? Porque todo mundo aqui está perdido, juízes também estão perdidos, não sabem como está a situação. Muita gente está recebendo já a negativa, de uma forma equivocada.

Eu te garanto, a única certeza que eu tenho hoje: nós vamos ter mais crianças morrendo aqui que na Faixa de Gaza ano que vem. E quem vai ser responsabilizado por essa conta desses pacientes, dessas crianças?

Obrigado. (*Palmas.*)

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Antoine, é para te aplaudir em pé. Eu aqui sou só uma facilitadora. Vocês são os legítimos para falar do assunto. A voz é de vocês. Eu só facilito, para vocês terem esse espaço para falar. Mas quem está sentindo na pele são vocês, Antoine. Quem tem pressa são vocês.

E nós temos muitos Parlamentares que ecoam a sua fala aqui nesta Casa. Mudou muita coisa no Brasil, o Parlamento não se curva mais. Então, Antoine, é o seu desabafo.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

E, Priscila, entenda que é um desabafo de pacientes, é um desabafo de famílias, não é uma crítica a você, Priscila. Você veio como uma técnica brilhante; dentro da sua área, você foi brilhante, você tem uma eloquência perfeita e nós ficamos felizes que você tenha vindo. A crítica não é à técnica e à servidora Priscila, que fez, de forma brilhante, a participação. A crítica é ao sistema. E talvez não seja nem só a essa Ministra, mas é a tudo que vem. A gente não aguenta mais, Priscila. E nesse tema não cabe mais diplomacia, não cabem palavras bonitas. É o desespero que fala mais alto.

Obrigada, Antoine, por ter sido voz das milhares e milhares de famílias desta nação.

Nós vamos para o último expositor, que foi o Benine, o Renato Benine, Dr. Renato Benine – ai, que lindo.

Dr. Renato Benine, para as considerações finais, agradecimentos.

Depois vamos ouvir três intervenções do Plenário e a gente já encerra, porque já está começando a Ordem do Dia.

**O SR. RENATO BENINE** (Para expor.) – Eu queria simplesmente agradecer, Senadora, em nome do Sindicato da Indústria de Produtos Farmacêuticos (Sindusfarma), a oportunidade de estar aqui. Quero dizer que a gente está à disposição, o sindicato tem uma gerência de acesso e precificação que está liderando atualmente um processo de discussão sobre mecanismos alternativos de incorporação, sobre risco compartilhado, novas formas de financiamento do Sistema Único de Saúde, enfim, pensando alternativas para, de fato, a gente garantir acesso com sustentabilidade ao sistema.

Então, eu queria só colocar, realmente, o sindicato à disposição e agradecer à Senhora e à Senadora Mara Gabrielli pelo convite.

Obrigado.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, Renato. Lembro que a gente tem uma batalha agora, na reforma tributária, e conte com os Senadores desta Comissão.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**O SR. RENATO BENINE** – Inclusive, a gente precisaria garantir a desoneração dos medicamentos destinados a pessoas que vivem com doenças raras.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Acho que isso tem que ser prioridade nas discussões nos próximos dias.

Priscila, eu falei que ele era o último, mas o último dos expositores aqui.

São três a cinco minutos para agradecimentos e considerações finais.

**A SRA. PRISCILA GEBRIM LOULY** (Para expor. *Por videoconferência.*) – Eu agradeço o convite.

E, Senadora, eu entendo, sim, entendo a voz de todos, não carrego isso para mim apenas. Sei das minhas responsabilidades, apesar de saber que não é nada pessoal, mas tenho minha responsabilidade aqui também, entendo isso. Estou aqui como, digamos, uma pessoa que vai levar o que vocês também disseram aqui para os gestores, como meu papel.

Há apenas uma questão que eu queria falar, em relação ao que o Dr. Daher falou. Nós estamos, sim, nos preparando em relação a essa questão do Judiciário. O que eu entendo – e aí eu estou falando bastante aqui do que nós discutimos internamente em relação a essa questão do STF, a decisão do 234 e do tema 6 – é que o que houve foi uma deferência ao marco regulatório. No nosso entendimento foi isso.

E, quando há uma negativa da Conitec, os critérios que estão ali postos para essa negativa é que deveriam ser considerados para que o juiz tenha em conta. Não necessariamente é uma decisão daquela ação especial, até porque a recomendação da Conitec foi, provavelmente, para outro tipo de perspectiva, que não a individual daquele paciente que está ali pedindo naquele momento da ação judicial. Então, só para... Acho que a gente precisa deixar isso um pouco mais claro porque o juiz vai observar o que foi dito, o que foi avaliado ali, mas entende que há particularidades de cada um, individuais, que devem ser levadas em consideração naquela ação.

Então, era isso que eu queria falar.

Muito obrigada, mais uma vez.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

A gente está sempre à disposição para o que precisarem. A gente está sempre aqui. Em relação à Conitec, a gente tem um diálogo muito aberto para a melhoria dos nossos processos.

O Dr. Antoine Daher também falou algumas coisas em relação à melhoria, a mudanças, enfim, no que a gente puder dialogar, a gente está aberto para isso. A gente sempre escutou a sociedade, sempre escutou todos os interessados. Então, estamos aqui à disposição.

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

Nós vamos ouvir agora a Dra. Vanessa, da OAB-DF, Comissão dos Direitos da Pessoa com Doença Rara, que também é membro da OAB Nacional. Na sequência, a gente vai ouvir as Mães Metabólicas. Eu vou pedir que a assessoria as ajude com o microfone e, depois, uma representante do Movimento de Ataxias.

Dra. Vanessa, obrigada por estar com a gente.

**A SRA. VANESSA MEDEIROS FERNANDES** (Para expor.) – Obrigada por esta audiência pública muito bem estruturada. Quero agradecer a todos aqui e quero me solidarizar com o Defensor Público Ricardo e com a fala do Antoine.

O nosso trabalho é de escuta da população, então a sociedade vem até a gente para todas essas questões de doenças raras. Não tem como, hoje, não falar que nós ficamos muito nervosos com a decisão do Supremo. Foi muito chocante mesmo, porque nós perdemos muito com essa decisão, que, para a gente, foi equivocada, mas enfim, e não quero deixar, nesta oportunidade, de falar da Conitec. Eu vou falar aqui numa escuta de paciente.

A Conitec, para o paciente, hoje, traz sempre burocracia, lenta avaliação, morosidade, principalmente para o paciente que precisa de uma intervenção rápida. Que há falta de conhecimento aprofundado sobre doenças raras é o que eles dizem da Conitec. A Conitec não incorpora porque o medicamento não é exatamente... Muitas vezes ele é eficaz, mas o que limita é a limitação orçamentária. Então, o que a gente está defendendo aqui como OAB? A gente defende o quê? A dignidade, a vida, a saúde. Uma limitação orçamentária é uma coisa assim: é um tratamento eficaz, mas que a limitação orçamentária bloqueia. Então, a gente tem que,



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

realmente, ouvir o paciente. E ele tem razão. Mesmo que aquele medicamento tenha um impacto positivo na vida do paciente, a limitação orçamentária vai bloquear aquele acesso.

A falta de transparência e de participação nos processos decisórios da Conitec continuam ainda sendo um tema de discussão entre os pacientes e a falta de inclusão do medicamento órfão.

Então, quero reafirmar aqui o que o Antoine já havia dito, que é a dificuldade que ele tem. Ficam em cima do custo elevado, do mercado que é limitado e tal, e a gente está defendendo aqui a saúde, a vida e a dignidade.

É só isso que eu queria deixar marcado aqui.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Dra. Vanessa, só me responda uma pergunta: todas as seções da OAB no Brasil inteiro têm a comissão dos direitos da pessoa com doença rara?

**A SRA. VANESSA MEDEIROS FERNANDES** – Não, essa comissão começou no Ceará. Eu não sei exatamente se na Bahia continua, mas na Paraíba iniciou, no DF... Eu acho que só esses quatro estados que estão com essas comissões dentro da OAB.

Aí eu consegui entrar como membro da OAB nacional. Mas também só sou eu lá.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Olha! Um braço necessário e importante.

Eu vou fazer mais um encaminhamento à Secretaria, tão logo passe a eleição – nós estamos em dias de eleição, não dá para conversar sobre isso –, para nós encaminharmos um documento para a OAB, para que essa seja uma prática em todas as seções. A parceria de vocês com a Defensoria Pública lá na ponta vai ajudar muitas famílias.

Parabéns pela comissão aqui no DF!

Meu DF é o DF, não é? O nosso quadradinho é o nosso quadradinho. Diferenciado.

Parabéns, Dra. Vanessa!

E obrigada por estar nesta audiência com a gente.



SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. VANESSA MEDEIROS FERNANDES** – Senadora, os advogados que estão na minha comissão aqui do DF são do Brasil todo.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Do Brasil todo?

**A SRA. VANESSA MEDEIROS FERNANDES** – É.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Ótimo. Muito bom.

Vamos continuar agora com as mães metabólicas.

Três minutos para uma manifestação.

E obrigada por estarem conosco nesta audiência.

**A SRA. SIMONE AREDE** (Para expor.) – Boa tarde.

Agradeço à Senadora por dar o espaço para a gente falar, porque somos um grupo pequeno.

Só, a princípio, eu vou dizer assim: nós somos um grupo de doença que precisa fazer dieta com restrição de proteína. E eu mesma sofri esses dias com um processo do meu filho com relação à fórmula que o juiz negou.

Mas eu queria saber assim. Agora a Conitec vai responder. Eu vou dar dois exemplos da Conitec.

Vamos começar pelo exemplo do meu filho. Ele tem PCDT desde 2020. A fórmula foi aprovada em 2019. Até hoje não foi pactuada. Ela não está no SUS. A Conitec funciona? Essa é a minha pergunta.

Na outra, vou falar de outra doença, a fenilcetonúria. Em 2010, ela tinha um PCDT que já falava... porque a gente tem muito problema com fórmulas não palatáveis. Isso aí já está sendo muito falado. Ela falava em fórmulas em barras como esta. Ela falava em fórmulas com baixo teor de fenilalanina, que é o GMP. Esta fórmula é um GMP. Já tinha tudo isso no PCDT de 2010. Aí ela foi lá, fez, em 2019, uma atualização no PCDT. Tirou tudo isso e pegou um remédio que a Anvisa



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

aprovou para todos os pacientes acima de três anos, ou cinco, não sei, porque a Anvisa mudou a idade... São dois anos agora. A Anvisa aprovou para todos os pacientes que eram responsivos acima de dois anos. Mas aí a Conitec só aprovou para as meninas grávidas, porque elas não poderiam ter um filho com uma deficiência.

Então, eu queria saber o que é a Conitec? A Conitec realmente funciona? Ela é eficaz para a gente? O juiz vai perguntar a ela as coisas? Para mim, ela não funciona, porque eu dei dois exemplos das duas doenças que eu defendo, uma delas é a do meu filho, e ela não funciona. Esses dias, a juíza falou num processo do meu filho que não poderia dar a fórmula a ele, que não ia fazer o sequestro da verba para comprá-la, porque só assim que eu consigo a fórmula há anos, e anos, e anos.

O que aconteceu? Como eu já sou uma pessoa que estou sempre aqui, que conheço... Quando teve... Naquela foto da Portaria, da 199, eu estou ali naquela foto também. Eu era pequenininha, mas eu já estava ali participando e tudo. Sempre fiz tudo isso, porque eu não queria a judicialização. Eu nunca quis isso.

Quando o STF fez lá, em 2009, eu acho, um monte de audiências públicas, eu fui a todas elas durante duas semanas, um monte! Eu fui a todas e, ali, eu fui entendendo: eu não posso depender da judicialização. Fiquei anos e anos aqui para o meu filho ter o PCDT, a doença, e adiantou de alguma coisa? Nada!

A fenilcetonúria, que hoje também eu defendo, está resolvendo a Conitec? Ela pega um remédio, dá só para as meninas, não dá para os meninos. Eu tenho uma mãe, que é daqui de Brasília, que está com uma depressão muito forte por causa disso, porque ela tem três filhos com fenil: uma das filhas é pequenininha, então, ainda está indo, mas a outra, que já é uma moça, está tomando remédio, e o menino não está tomando. Então, ela está em depressão, não está saindo de casa, está passando mal, tudo por conta de uma decisão da Conitec.

Então, eu não sei o que é a Conitec, para que ela serve, se ela é boa, se ela é ruim. Eu não sei. Eu queria muito essa resposta.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Obrigada, mãe. Obrigada pela sua participação.



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Espero que a Priscila tenha anotado também, Priscila, mais uma angústia aqui, e uma angústia que não custa R\$16 milhões uma dose. Uma angústia que não é tão cara.

Por último, nós vamos ouvir o Movimento de Ataxias, e a gente já vai para o encerramento desta audiência.

Lamento não poder conceder a palavra a todas as instituições, mas a gente tem uma norma para seguir e a nossa Ordem do Dia já está começando.

**A SRA. MARLA** (Para expor.) – Boa tarde! Meu nome é Marla, estou aqui representando a Associação Brasileira de Ataxias Hereditárias e Adquiridas, Abahe, e sou mãe também de um atáxico. Como a Abahe engloba várias ataxias, as espinocerebelares também, a gente tem, em média, quatro mil pacientes cadastrados, só que, de ataxia de Friedreich, 750.

E, como eu venho como mãe e como representante da diretoria, pegando o gancho da fala dela, quando fala que a gente não sabe o que a Conitec faz, eu acho que a principal reflexão que fica para a gente é que o principal destinatário disso tudo é o paciente. Então, ele não vai ser ouvido? Como se poderia fazer para que o paciente fosse ouvido?

Nós estamos com uma tecnologia já aprovada nos Estados Unidos há mais de ano e está na Anvisa uma medicação que deve ser aprovada até dezembro, se Deus quiser, mas aí vai começar esse problema com a Conitec. E é mais de ano que nossos pacientes estão deixando de ter uma desaceleração da evolução da doença, já que a doença é neurodegenerativa.

Então, já que a gente tem este espaço, que a gente está sendo ouvido, queria sensibilizar: e o paciente? Quem pensa no paciente? Em que momento o paciente vai ser consultado? Eu acho que deveria fazer parte, inclusive, do corpo da Conitec, o paciente, sabe?

Então, é isso que eu gostaria de falar e eu queria dar a palavra aqui para o nosso mascote, que é o Lucas, nosso caçulinha, que pediu para falar também. Assim, queria deixar ele falar por um tempinho aí se ele quiser.

Vamos lá, Lucas!

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Lucas, seja bem-vindo!



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

Nós estávamos aqui olhando você, que participou da audiência inteira, ouvindo tudo com muita atenção. Você foi a pessoa que mais participou desta audiência. Parabéns! E a gente quer te ouvir, a gente quer te ouvir muito.

**O SR. LUCAS BRASIL DE CARVALHO E MELO** (Para expor.) – Bem, eu só tenho a agradecer por todos que estão aqui, não é? Eu tenho a agradecer pela atenção, pelo carinho.

Eu vou ser breve e curto. Eu só quero o remédio da ataxia de Friedreich aqui no Brasil. *(Palmas.)*

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF) – Lucas, é por você que nós estamos aqui. Todas as vezes que você quiser falar, venha aqui. Você vai ter o microfone aberto para você. Tem mais três lá atrás, não é?

*(Intervenção fora do microfone.)*

Mais três, não é? Muito obrigada por terem vindo.

Semana passada, Lucas, uma menina de dez anos se sentou aqui, nesta cadeira. Ela que fez a exposição sobre lúpus e emocionou o Brasil inteiro. O vídeo dela está com milhões de acessos. E ela falou exatamente isso: ela trouxe para cá, senhoras e senhores, a realidade de que nós estamos com crianças com lúpus morrendo no Brasil por falta de hidroxiquina.

Aqui, eu tenho familiares que tem remédios caros. Mas eu tenho crianças e mulheres no Brasil morrendo, especialmente na região da Amazônia, por falta de hidroxiquina. Temos muito a fazer.

Obrigada por ter vindo, você deixou a nossa audiência mais importante. A participação mais importante aqui foi a sua. Muito obrigada por ter vindo à nossa audiência.

Regina, um minuto para a gente encerrar. Vai lá.

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** (Para expor.) – Eu só quero dizer uma coisa: o crime que incide na falta de um medicamento para investir... Não desmerecendo a idade mais velha, não, mas deixar de investir numa criança...

*(Soa a campainha.)*



## SENADO FEDERAL

Secretaria-Geral da Mesa

**A SRA. REGINA PRÓSPERO** – ... é cruel.

**A SRA. PRESIDENTE** (Damares Alves. Bloco Parlamentar Aliança/REPUBLICANOS - DF. Fala da Presidência.) – Eu só quero registrar o nome do Lucas para ficar na ata: Lucas Brasil de Carvalho e Melo. Muito bonito, viu, Lucas.

Senhores, eu quero agradecer a presença de todos, obrigada. Mas não vai ser só uma audiência para ficar no arquivo. Nós temos encaminhamentos, e nós vamos dar respostas aos senhores. Obrigada a todos que vieram, às pessoas que vieram de outros estados. Algumas pessoas vieram de ônibus, por horas viajando. Obrigada.

São atitudes como essas que nos motivam a continuar na luta. Nós ainda temos muitos desafios, não é, Renato? Muitos. Mas eu acho que, quando a gente olha para 30 anos atrás e a gente olha agora, a gente tem avançado por conta de vocês e pela forma como vocês estão se organizando.

Agradeço também à nossa audiência. Muitas perguntas via internet, não dá tempo de responder todas. Agradeço às famílias que nos acompanharam; ao Presidente da Comissão; à nossa Presidente Mara, que se esforçou tanto para fazer a fala inicial – vocês não têm ideia do esforço dela –; aos gabinetes dos demais Senadores, membros da Comissão; à Secretaria, essa Secretaria valorosa; e à equipe técnica dos gabinetes.

Antes de encerrarmos os nossos trabalhos, proponho a dispensa da leitura e a aprovação da ata desta reunião.

As Sras. Senadoras e os Srs. Senadores que aprovam queiram permanecer como se encontram. *(Pausa.)*

A ata está aprovada e será publicada no *Diário do Senado Federal*.

Nada mais havendo a tratar, declaro encerrada a presente reunião, sem antes dizer: não somos caros, somos raros!

Muito obrigada. *(Palmas.)*

*(Iniciada às 14 horas e 10 minutos, a reunião é encerrada às 16 horas e 47 minutos.)*