



SENADO FEDERAL

SF/26221.88577-72

PARECER Nº , DE 2026

Da COMISSÃO DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA, INOVAÇÃO E INFORMÁTICA, sobre o Projeto de Lei nº 3140, de 2026, do Senador Flávio Arns, que *altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 (Lei Orgânica da Saúde), para dispor sobre critérios de avaliação de tecnologias em saúde especificamente voltados às doenças raras e para instituir sistema nacional de integração de informações sobre essas condições.*

Relatora: Senadora **DAMARES ALVES**

I – RELATÓRIO

Vem ao exame desta Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática (CCT) o Projeto de Lei (PL) nº 3140, de 2026, de autoria do Senador Flávio Arns, que *altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990 (Lei Orgânica da Saúde), para dispor sobre critérios de avaliação de tecnologias em saúde especificamente voltados às doenças raras e para instituir sistema nacional de integração de informações sobre essas condições.*

O PL nº 3140, de 2026, é composto por dois artigos. O art. 1º promove duas alterações à Lei Orgânica da Saúde. A primeira acrescenta o § 4º ao art. 19-Q para determinar que tecnologias destinadas ao diagnóstico, tratamento ou acompanhamento de pessoas com doenças raras sejam avaliadas considerando suas particularidades epidemiológicas, clínicas e científicas, observando-se, em especial, a dificuldade de geração de evidências em doenças de





SENADO FEDERAL

SF/26221.88577-72

baixa prevalência, a gravidade e progressão da doença, a existência de alternativas no SUS e impactos sobre sobrevivência, funcionalidade e qualidade de vida.

Já a segunda alteração é o acréscimo do art. 47-B, que cria um sistema nacional de integração e compartilhamento de informações científicas, assistenciais e epidemiológicas sobre doenças raras, destinado à sistematização e difusão de estudos, pesquisas, registros, protocolos, experiências assistenciais e inovações desenvolvidas no País.

Por fim, o art. 2º do PL estabelece a entrada em vigor da norma após decorrido 180 dias da data de sua publicação.

Em sua justificação, o nobre autor afirma que as doenças raras desafiam os sistemas de saúde pela baixa prevalência, complexidade diagnóstica e terapêutica e dificuldade de geração de evidências científicas. Ainda, argumenta que, embora o SUS disponha de instrumentos para a atenção às pessoas com doenças raras, há limitações relevantes que dificultam a avaliação de tecnologias em saúde e a articulação do conhecimento assistencial produzido no Brasil. Assim, a proposição busca adequar a avaliação de tecnologias às especificidades dessas doenças e fortalecer a integração e o compartilhamento do conhecimento produzido por instituições de saúde, pesquisa e sociedade civil.

A proposição foi encaminhada à CCT e à Comissão em Assuntos Sociais, cabendo a esta última a decisão terminativa.

No âmbito desta CCT, não foram apresentadas emendas.

II – ANÁLISE

II – ANÁLISE

Segundo o art. 104-C do Regimento Interno do Senado Federal, compete à Comissão de Ciência, Tecnologia, Inovação e Informática opinar sobre assuntos relacionados ao desenvolvimento





SENADO FEDERAL

SF/26221.88577-72

científico, tecnológico e à inovação tecnológica, matérias diretamente alcançadas pelo Projeto de Lei nº 3.140, de 2026.

A proposição enfrenta questão de crescente relevância para os sistemas de saúde. Embora individualmente caracterizadas pela baixa prevalência, as doenças raras, quando consideradas em conjunto, atingem parcela expressiva da população. O Ministério da Saúde estima que cerca de 13 milhões de brasileiros convivam com alguma doença rara, dimensão que evidencia não se tratar de questão marginal para a saúde pública nacional. Dados oficiais também apontam que estudos internacionais estimam que entre 3,5% e 5,9% da população mundial possa ser afetada por alguma doença rara ao longo da vida, o que corresponderia a centenas de milhões de pessoas.¹

O cenário internacional confirma a magnitude do desafio. Em maio de 2025, a Assembleia Mundial da Saúde aprovou sua primeira resolução dedicada especificamente às doenças raras, reconhecendo-as como uma prioridade global de saúde. Segundo a Organização Mundial da Saúde, mais de 300 milhões de pessoas vivem com uma das mais de 7 mil doenças raras existentes no mundo, muitas delas com início ainda na infância. A resolução internacional recomendou aos países, entre outras providências, o aprimoramento do diagnóstico e da assistência, a promoção da pesquisa e da inovação e a ampliação do acesso aos tratamentos.²

A situação é particularmente relevante quando se considera a natureza dessas enfermidades. Segundo dados da Comissão Europeia, existem atualmente entre 6 mil e 8 mil doenças raras distintas, aproximadamente 80% delas são de origem genética e 70% começam na infância. Somente na União Europeia, estima-se que entre 27 e 36 milhões de pessoas vivam com alguma dessas condições.³ Os números demonstram um aparente paradoxo: cada enfermidade

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. *Doenças Raras*. O Ministério estima cerca de 13 milhões de brasileiros com alguma doença rara e informa que estudos internacionais situam a prevalência conjunta entre 3,5% e 5,9% da população mundial.

² WORLD HEALTH ORGANIZATION. *Seventy-eighth World Health Assembly – First-ever rare diseases resolution underscores equity and inclusion*. 24 maio 2025.

³ EUROPEAN COMMISSION. *Rare diseases*. Dados sobre prevalência, quantidade de doenças, origem genética e manifestação na infância.





SENADO FEDERAL

isoladamente alcança número reduzido de pacientes, mas, em conjunto, as doenças raras constituem problema de saúde de grande dimensão social.

Essa característica repercute diretamente na produção de conhecimento científico. Populações reduzidas de pacientes dificultam o recrutamento para ensaios clínicos, a formação de grupos suficientemente numerosos e a obtenção do mesmo volume de evidências disponível para doenças de maior prevalência. A dificuldade não significa, necessariamente, inexistência de benefício clínico, mas exige metodologias de avaliação capazes de considerar as peculiaridades epidemiológicas e científicas dessas condições sem afastar a necessária demonstração de segurança e benefício das tecnologias avaliadas.

É justamente nesse aspecto que se revela um dos principais méritos do PL nº 3.140, de 2026. Ao determinar que as tecnologias destinadas ao diagnóstico, ao tratamento ou ao acompanhamento de pessoas com doenças raras sejam avaliadas considerando as dificuldades inerentes à geração de evidências científicas, a gravidade e a progressão da enfermidade, a existência de alternativas disponíveis no SUS e os impactos sobre sobrevivência, funcionalidade e qualidade de vida, a proposição permite que a avaliação tecnológica seja adaptada às características concretas dessas doenças.

A medida adquire ainda maior importância diante das limitações terapêuticas existentes. A própria experiência internacional demonstra que o avanço científico não se distribui uniformemente entre as milhares de doenças raras conhecidas. Essa realidade reforça a necessidade de estimular pesquisa, inovação e desenvolvimento tecnológico, ao mesmo tempo em que se aprimoram os instrumentos utilizados pelo poder público para avaliar novas alternativas diagnósticas e terapêuticas.

No Brasil, já existe importante estrutura de atenção às pessoas com doenças raras no âmbito do SUS. O Ministério da Saúde informa atualmente a existência de 65 documentos publicados entre Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas, Protocolos de Uso e Diretrizes Brasileiras ou Nacionais relacionados à abordagem e ao





SENADO FEDERAL

cuidado das doenças raras.⁴ Apesar desses avanços, o próprio Ministério reconhece uma limitação diretamente relacionada ao segundo eixo da proposição: os sistemas de informação disponíveis não permitem identificar adequadamente o número de pessoas em acompanhamento por determinada condição ou consolidar integralmente os atendimentos realizados.⁵

Nesse contexto, mostra-se especialmente relevante a criação do sistema nacional de integração e compartilhamento de informações prevista pelo projeto. A fragmentação dos dados é particularmente prejudicial nas doenças de baixa prevalência, pois informações produzidas por poucos centros especializados, quando isoladas, possuem alcance limitado; quando integradas, podem constituir base valiosa para pesquisa, avaliação de tecnologias, desenvolvimento de protocolos e planejamento das políticas públicas.

A experiência europeia oferece referência importante nesse sentido. A União Europeia estruturou as Redes Europeias de Referência, redes transfronteiriças que conectam hospitais, centros de referência e especialistas dedicados a doenças raras e condições complexas. O modelo parte precisamente da constatação de que, diante da escassez simultânea de pacientes e especialistas, é necessário reunir conhecimento que se encontra disperso. A Comissão Europeia destaca que o compartilhamento de expertise e informações permite concentrar recursos escassos e melhorar o acesso dos pacientes ao diagnóstico e à assistência especializada.⁶

A sistematização prevista pelo PL nº 3.140, de 2026, poderá produzir efeito semelhante no âmbito nacional. Ao integrar estudos, pesquisas, registros, protocolos, experiências assistenciais e inovações desenvolvidas no País, o sistema poderá permitir a identificação de lacunas de conhecimento, facilitar a formação de redes de pesquisadores e centros especializados, favorecer estudos

⁴ BRASIL. Ministério da Saúde. *Quais são as Doenças Raras que possuem PCDT?* Informação atualizada em 10 jun. 2026.

⁵ BRASIL. Ministério da Saúde. *Quantas pessoas com Doenças Raras existem no Brasil?* Informação atualizada em 10 jun. 2026.

⁶ EUROPEAN COMMISSION. *Rare diseases and European Reference Networks*. Informações sobre as Redes Europeias de Referência e integração de centros especializados.



SENADO FEDERAL

SF/26221.88577-72

multicêntricos e produzir evidências nacionais capazes de subsidiar futuras decisões sobre incorporação de tecnologias ao SUS.

Há, portanto, uma relação virtuosa entre as duas principais medidas propostas. De um lado, reconhece-se que a raridade das doenças dificulta a produção convencional de evidências científicas; de outro, cria-se instrumento destinado justamente a reunir informações hoje dispersas e ampliar a capacidade brasileira de produzir essas evidências. O sistema nacional poderá, ao longo do tempo, contribuir para reduzir a própria limitação científica que justifica a adoção de critérios diferenciados de avaliação.

Mais do que números ou estatísticas, entretanto, cada caso de doença rara representa uma pessoa e uma família submetidas, muitas vezes desde a infância, a uma longa trajetória de busca por diagnóstico, tratamento e acompanhamento adequado. A ciência e a inovação somente cumprem plenamente sua finalidade quando colocadas a serviço da vida e da dignidade humana. Ao permitir que o Estado conheça melhor essas condições, reúna o conhecimento produzido no País e avalie com maior precisão tecnologias capazes de preservar a vida, ampliar a autonomia e reduzir o sofrimento, o projeto fortalece também as famílias que diariamente assumem parcela significativa dos cuidados dessas pessoas. Nenhum brasileiro deve tornar-se invisível para a ciência ou para o sistema de saúde simplesmente porque a sua doença é rara.

É sob essa perspectiva de defesa da vida, proteção das crianças, atenção às pessoas mais vulneráveis e amparo às suas famílias que entendemos meritória a aprovação do Projeto de Lei nº 3.140, de 2026.

III – VOTO

Diante do exposto, o voto é pela **aprovação** do Projeto de Lei nº 3140, de 2026.





SENADO FEDERAL

Sala da Comissão,

, Presidente

, Relatora

