

PARECER Nº , DE 2015

Da COMISSÃO DE ASSUNTOS SOCIAIS, em decisão terminativa, sobre o Projeto de Lei do Senado nº 530, de 2013, do Senador Vital do Rêgo, que *institui a Política Nacional para Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde; altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre registro e importação, por pessoa física, de medicamentos órfãos; e altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para avaliação de medicamentos órfãos.*

RELATORA: Senadora **ANA AMÉLIA**

I – RELATÓRIO

Submete-se à deliberação terminativa da Comissão de Assuntos Sociais o Projeto de Lei do Senado (PLS) nº 530, de 2013, de autoria do Senador Vital do Rêgo, que *institui a Política Nacional para Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde; altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre registro e importação, por pessoa física, de medicamentos órfãos; e altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para avaliação de medicamentos órfãos.*

A proposição é composta por sete artigos.

O art. 1º institui a Política Nacional para Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) para assegurar atenção integral aos seus portadores. O parágrafo único do dispositivo define como doença rara

aquela cuja prevalência não exceda a sessenta e cinco casos por cem mil habitantes.

O art. 2º detalha, em doze incisos, as ações a serem implementadas, de forma descentralizada, integrada e articulada entre os entes federados: (i) elaboração de plano de ação anual; (ii) previsão de recursos orçamentários, em cada esfera de governo; (iii) criação de centros de referência; (iv) criação de cadastro nacional; (v) adoção de política farmacêutica que garanta o acesso dos pacientes a medicamentos com efetividade clínica; (vi) edição e atualização periódica de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas de doenças raras, conforme estabelecidos pelo art. 19-O da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990; (vii) incorporação de medicamentos com efetividade clínica comprovada destinados ao tratamento de doenças raras; (viii) adoção de critérios e instrumentos regulatórios específicos para facilitar o registro e a entrada de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras no mercado nacional e no SUS; (ix) produção e divulgação de indicadores epidemiológicos para subsidiar o planejamento, o monitoramento e a avaliação da política; (x) estímulo ao desenvolvimento científico e tecnológico voltados para prevenção e tratamento; (xi) capacitação de profissionais de saúde e de gestores para atuação no âmbito da política, bem como de cuidadores, familiares e responsáveis; e (xii) incentivo à participação social, com a realização de conferências periódicas, na forma do regulamento, para formular propostas e avaliar ações voltadas para a consolidação e o aperfeiçoamento da política.

O art. 3º do PLS adiciona um inciso XXVI ao art. 3º da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, que *dispõe sobre a Vigilância Sanitária a que ficam sujeitos os Medicamentos, as Drogas, os Insumos Farmacêuticos e Correlatos, Cosméticos, Saneantes e Outros Produtos, e dá outras Providências*, para definir *medicamento órfão* como aquele destinado especificamente ao tratamento de doença rara.

O art. 4º da proposição acrescenta novo parágrafo ao art. 10 da referida Lei nº 6.360, de 1976, de modo a permitir a importação de medicamentos órfãos, por pessoa física, para uso exclusivamente individual com base em prescrição médica. Essa importação independe de licença ou de registro da autoridade sanitária e está condicionada ao fato de o produto não se destinar à comercialização.

O art. 5º, por seu turno, determina que o art. 16 da mesma Lei nº 6.360, de 1976, passe a vigorar acrescido de um § 3º, segundo o qual o registro de medicamento órfão obedecerá a normas e critérios específicos, conforme regulamento da autoridade sanitária.

O art. 6º insere novo parágrafo no art. 19-O da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, que *dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências*, para estabelecer que o critério de efetividade clínica tenha precedência sobre o de custo-efetividade na avaliação de medicamentos e na definição de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas para o tratamento de doença rara.

O art. 7º contém a cláusula de vigência, pela qual a lei decorrente da aprovação do PLS entrará em vigor na data de sua publicação.

Na justificação do projeto, o Senador Vital do Rêgo apresenta números e informações sobre o tema. Ele destaca a inexistência, no Brasil, de uma política de saúde para as doenças raras, que afetam a vida de mais de treze milhões de pessoas. Segundo o autor, existe política apenas para as moléstias de origem genética, que são objeto da Portaria nº 81, de 20 de janeiro de 2009, mas não para aquelas de origem infecciosa, inflamatória ou autoimune. Além disso, ele aponta insuficiência de protocolos clínicos, carência de profissionais capacitados, falta de investimento em pesquisa e dificuldade de acesso aos medicamentos.

Relatado o conteúdo da proposição, informamos que ela foi distribuída às Comissões de Assuntos Econômicos (CAE) – onde foi aprovada em consonância com o parecer favorável do relator, Senador Eduardo Suplicy – e de Assuntos Sociais (CAS), onde se encontra para ser apreciada em caráter terminativo, não tendo recebido emendas.

II – ANÁLISE

Compete à CAS, na forma do art. 100 do Regimento Interno do Senado Federal, opinar sobre os temas concernentes à proteção e defesa da saúde, matéria de que trata o PLS nº 530, de 2013.

Assinale-se o fato de não termos vislumbrado óbices constitucionais, jurídicos e regimentais à aprovação do projeto.

Chamamos a atenção, no entanto, para o fato de que o PLS nº 530, de 2013, foi apresentado antes da edição da Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014, do Ministério da Saúde, que *institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio*.

Na ocasião de apresentação do projeto, somente existia a *Política Nacional de Atenção Integral em Genética Clínica*, instituída pela Portaria nº 81, de 20 de janeiro de 2009, do Ministério da Saúde. Apesar disso, cabe ressaltar que tal política voltava-se, sobretudo, às pessoas com doenças raras, pois 80% dessas doenças têm origem genética. Além disso, já estava implantado naquela época o *Programa Nacional de Triagem Neonatal*, que oferece exames para diagnóstico precoce de doenças genéticas em crianças recém-nascidas.

Com a publicação da Portaria nº 199, de 2014, contudo, foi criada uma política específica de atenção às pessoas com doenças raras. Desse modo, a grande maioria das disposições do PLS nº 530, de 2013, foi assegurada mediante a edição de norma infralegal.

De fato, as principais diferenças existentes entre a Portaria nº 199, de 2014, do Ministério da Saúde, e o PLS nº 530, de 2013, são relativas aos *medicamentos órfãos*, usados para tratar doenças raras. Tal denominação decorre do fato de a indústria farmacêutica ter pouco interesse financeiro em desenvolver e comercializar esse tipo de produto, por ser destinado a um número muito restrito de doentes.

Vale dizer que a portaria não faz menção a medicamentos órfãos. O projeto de lei que analisamos, por sua vez, define medicamentos órfãos (art. 3º); facilita a sua importação para uso pessoal (art. 4º); propõe adequar as normas de registro de medicamentos às especificidades desses produtos (art. 5º); e estabelece que o critério de efetividade clínica tenha precedência sobre o de custo-efetividade na elaboração de protocolo clínico ou diretriz terapêutica para o tratamento de doença rara (art. 6º).

A portaria, por seu turno, apenas determina que os medicamentos para doenças raras sejam submetidos ao processo vigente de incorporação tecnológica ao SUS, estabelecido pelo *Capítulo VIII – Da assistência terapêutica e da incorporação de tecnologia em saúde*, da Lei Orgânica da Saúde (Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990).

Outras diferenças entre os dois textos residem no fato de que a portaria detalha as atribuições de cada esfera de governo na atenção às pessoas com doenças raras, sistematiza a organização do cuidado, estabelece incentivos financeiros e define recursos orçamentários, bem como determina os mecanismos de fiscalização e o controle desses recursos.

Isso significa que a portaria tem escopo mais abrangente no que tange à formulação da política e à especificação das diretrizes para a *Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras*, conforme é esperado de norma infralegal originada do Executivo, Poder que tem competência privativa para dispor sobre organização e funcionamento da administração.

A despeito de as disposições do PLS não serem conflitantes com as da portaria e de a existência da portaria não invalidar a edição de lei sobre a matéria, entendemos como adequado que a definição da política sobre doenças raras permaneça no âmbito infralegal. A nosso ver, a criação, por lei, de políticas e programas sobre doenças ou grupos de doenças – considerando a enorme gama de moléstias existentes – pode contrariar a economicidade e a racionalidade do processo legislativo, só se justificando em casos específicos de inoperância ou ausência do poder público.

O projeto, no entanto, tem escopo maior no que tange aos medicamentos órfãos. Nesse campo, consideramos que os dispositivos nele contidos podem aprimorar as normas sanitárias vigentes sobre tais medicamentos – importação e registro – e, possivelmente, sobre a incorporação deles ao arsenal terapêutico disponível no SUS.

Por tal razão, entendemos que essa parte da proposição merece ser apoiada por esta Comissão e aprimorada para atender a sugestões oferecidas por especialistas, associações de pacientes e empresas fabricantes de medicamentos órfãos, que abrangem os seguintes pontos:

i) as limitações dos estudos clínicos originadas do pequeno número de pacientes portadores de doenças raras não devem ser motivo para inviabilizar o registro de medicamentos órfãos;

ii) as especificidades econômicas do mercado de medicamentos órfãos devem ser consideradas como fundamento para a adoção de critérios diferenciados na fixação do preço desses produtos pela Câmara de Regulação de Mercado de Medicamentos (CMED);

iii) é preciso aumentar o acesso dos pacientes aos medicamentos órfãos;

iv) é fundamental proporcionar a participação de especialistas e associações de pacientes no processo de elaboração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas para assistência aos portadores de doenças raras;

v) é necessário flexibilizar a dispensação de medicamentos para o tratamento de doenças raras, permitindo aos pacientes apresentar prescrições originadas de profissionais e serviços de saúde privados; muitas vezes, esses pacientes já estão aos cuidados de médicos que aprofundaram seu conhecimento sobre a doença ao longo do tempo em que se dedicaram ao seu caso específico; nessas situações, obrigar os doentes a se transferirem para centros de referência recentemente estruturados pode representar perda na qualidade da atenção que eles recebem;

vi) é imperioso garantir a dispensação imediata e o fornecimento ininterrupto do medicamento órfão prescrito, para evitar atraso e descontinuidade do tratamento, que podem acarretar o agravamento acelerado do estado do paciente.

Assim, para contemplar todas as sugestões, foi necessário consolidá-las em um Substitutivo ao PLS nº 530, de 2013.

III – VOTO

Pelas razões expostas, o voto é pela **aprovação** do Projeto de Lei do Senado nº 530, de 2013, na forma da seguinte emenda:

EMENDA Nº 1-CAS (SUBSTITUTIVO)

PROJETO DE LEI DO SENADO Nº 530, DE 2013

Altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre o registro e a importação, por pessoa física, de medicamentos órfãos, a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, e a Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, para especificar que, na definição e no reajuste de preços de medicamentos órfãos, a comparação de preços deve-se restringir aos medicamentos dessa categoria.

O CONGRESSO NACIONAL decreta:

Art. 1º Os arts. 3º, 10 e 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, passam a vigorar com a seguinte redação:

“**Art. 3º**.....

.....

XXVI – Medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, considerada aquela cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento. (NR)”

“**Art. 10.**
.....

§ 1º Compreendem-se nas exigências deste artigo as aquisições ou doações que envolvam pessoas de direito público e privado, cuja

quantidade e qualidade possam comprometer a execução de programas nacionais de saúde.

§ 2º A importação de medicamentos órfãos por pessoa física, para uso exclusivamente individual e não comercial, com base em prescrição médica, independe de licença ou de registro da autoridade sanitária. (NR)”

“**Art. 16.**

.....

§ 3º O registro de medicamento órfão será feito segundo normas e critérios apropriados às suas especificidades, de forma a evitar que as limitações originadas do pequeno número de pacientes participantes dos estudos clínicos inviabilizem o registro desses medicamentos, conforme regulamento estabelecido pela autoridade sanitária.

§ 4º As especificidades econômicas do mercado, explicitadas pelas informações constantes do inciso VII, deverão fundamentar a adoção de critérios diferenciados na fixação do preço de medicamento órfão. (NR)”

Art. 2º Os arts. 19-M, 19-N, 19-O, 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passam a vigorar com a seguinte redação, renumerando-se o atual parágrafo único do art. 19-O como § 1º:

“**Art. 19-M.**

.....

Parágrafo único. A dispensação de medicamentos órfãos obedece às seguintes diretrizes:

I – cadastramento do paciente em base de dados nacional;

II – atendimento da prescrição, acompanhada de relatório médico, realizada por profissional de saúde legalmente habilitado e em exercício no Sistema Único de Saúde ou em serviços privados de assistência à saúde;

III – obrigatoriedade de renovação da prescrição a cada seis meses;

IV – dispensação imediata e fornecimento ininterrupto, para evitar atraso ou descontinuidade do tratamento. (NR)”

“**Art. 19-N.** Para os efeitos do disposto neste Capítulo, são adotadas as seguintes definições:

.....

III – medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, considerada aquela cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento. (NR)”

“Art. 19-O.

§ 2º Em caso de medicamento órfão, o critério de efetividade clínica terá precedência sobre o de custo-efetividade na avaliação de que trata o § 1º. (NR)”

“Art. 19-Q.

§ 3º A incorporação de medicamentos órfãos pelo SUS deve aumentar o acesso dos pacientes a esses medicamentos, ocorrer em articulação com as atividades de registro ou autorização de uso e visar ao atendimento da demanda de especialistas e associações de pacientes. (NR)”

“Art. 19-R.

§ 1º.....

V – realização de fóruns de discussão com especialistas e associações de pacientes, se o protocolo clínico ou a diretriz terapêutica referir-se a doença rara.

..... (NR)”

Art. 3º Os arts. 3º, 4º e 7º da Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, passam a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 3º.....

VI – medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, considerada aquela cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento.

..... (NR)”

“Art. 4º.....

§ 10 No caso dos medicamentos órfãos, a comparação de preços para o cálculo do fator de ajuste de preços relativos intra-setor ficará restrita aos medicamentos da categoria de medicamentos órfãos, em conformidade com o inciso VII e o § 4º do art. 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e na forma do regulamento. (NR)”

“**Art. 7º**

.....

§ 3º Na definição dos preços iniciais de medicamentos órfãos, serão consideradas as especificidades econômicas do mercado e qualquer comparação de preços ficará restrita aos medicamentos da categoria de medicamentos órfãos, em conformidade com o inciso VII e o § 4º do art. 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e na forma do regulamento. (NR)”

Art. 4º Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação.

Sala da Comissão, 8 de julho de 2015

Senador EDISON LOBÃO, Presidente

Senadora ANA AMÉLIA, Relatora

TEXTO FINAL

PROJETO DE LEI DO SENADO Nº 530, DE 2013

Altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre o registro e a importação, por pessoa física, de medicamentos órfãos, a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, e a Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, para especificar que, na definição e no reajuste de preços de medicamentos órfãos, a comparação de preços deve-se restringir aos medicamentos dessa categoria.

O CONGRESSO NACIONAL decreta:

Art. 1º Os arts. 3º, 10 e 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, passam a vigorar com a seguinte redação:

“**Art. 3º**.....

.....

XXVI – Medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, considerada aquela cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento. (NR)”

“**Art. 10.**
.....

§ 1º Compreendem-se nas exigências deste artigo as aquisições ou doações que envolvam pessoas de direito público e privado, cuja quantidade e qualidade possam comprometer a execução de programas nacionais de saúde.

§ 2º A importação de medicamentos órfãos por pessoa física, para uso exclusivamente individual e não comercial, com base em

prescrição médica, independe de licença ou de registro da autoridade sanitária. (NR)”

“**Art. 16.**

.....

§ 3º O registro de medicamento órfão será feito segundo normas e critérios apropriados às suas especificidades, de forma a evitar que as limitações originadas do pequeno número de pacientes participantes dos estudos clínicos inviabilizem o registro desses medicamentos, conforme regulamento estabelecido pela autoridade sanitária.

§ 4º As especificidades econômicas do mercado, explicitadas pelas informações constantes do inciso VII, deverão fundamentar a adoção de critérios diferenciados na fixação do preço de medicamento órfão. (NR)”

Art. 2º Os arts. 19-M, 19-N, 19-O, 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passam a vigorar com a seguinte redação, renumerando-se o atual parágrafo único do art. 19-O como § 1º:

“**Art. 19-M.**

.....

Parágrafo único. A dispensação de medicamentos órfãos obedece às seguintes diretrizes:

I – cadastramento do paciente em base de dados nacional;

II – atendimento da prescrição, acompanhada de relatório médico, realizada por profissional de saúde legalmente habilitado e em exercício no Sistema Único de Saúde ou em serviços privados de assistência à saúde;

III – obrigatoriedade de renovação da prescrição a cada seis meses;

IV – dispensação imediata e fornecimento ininterrupto, para evitar atraso ou descontinuidade do tratamento. (NR)”

“**Art. 19-N.** Para os efeitos do disposto neste Capítulo, são adotadas as seguintes definições:

.....

III – medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, considerada aquela cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento. (NR)”

“**Art. 19-O.**

§ 2º Em caso de medicamento órfão, o critério de efetividade clínica terá precedência sobre o de custo-efetividade na avaliação de que trata o § 1º. (NR)”

“**Art. 19-Q.**

§ 3º A incorporação de medicamentos órfãos pelo SUS deve aumentar o acesso dos pacientes a esses medicamentos, ocorrer em articulação com as atividades de registro ou autorização de uso e visar ao atendimento da demanda de especialistas e associações de pacientes. (NR)”

“**Art. 19-R.**

§ 1º.....

V – realização de fóruns de discussão com especialistas e associações de pacientes, se o protocolo clínico ou a diretriz terapêutica referir-se a doença rara.

..... (NR)”

Art. 3º Os arts. 3º, 4º e 7º da Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, passam a vigorar com a seguinte redação:

“**Art. 3º**.....

VI – medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, considerada aquela cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento.

..... (NR)”

“**Art. 4º**.....

§ 10 No caso dos medicamentos órfãos, a comparação de preços para o cálculo do fator de ajuste de preços relativos intra-setor ficará restrita aos medicamentos da categoria de medicamentos órfãos, em

conformidade com o inciso VII e o § 4º do art. 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e na forma do regulamento. (NR)”

“**Art. 7º**

.....

§ 3º Na definição dos preços iniciais de medicamentos órfãos, serão consideradas as especificidades econômicas do mercado e qualquer comparação de preços ficará restrita aos medicamentos da categoria de medicamentos órfãos, em conformidade com o inciso VII e o § 4º do art. 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e na forma do regulamento. (NR)”

Art. 4º Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação.

Sala da Comissão, 5 de agosto de 2015.

Senador **EDISON LOBÃO**
Presidente da Comissão de Assuntos Sociais