

**EMENDA Nº - CM**  
(à MPV nº 653, 8 de agosto de 2014)

Acrescente-se à Medida Provisória nº 653, de 8 de agosto de 2014, os seguintes artigos, renumerando-se o atual art. 2º como art. 8º:

“**Art. 2º** Fica instituída a Política Nacional para Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), para assegurar a atenção integral à saúde da pessoa com doença rara.

*Parágrafo único.* Considera-se doença rara, para os efeitos desta Lei, aquela cuja prevalência não exceda a sessenta e cinco casos por cem mil habitantes no território nacional.

**Art. 3º** A Política Nacional para Doenças Raras será implementada de forma descentralizada, integrada e articulada entre os entes da Federação, e abrangerá, entre outras, as seguintes ações:

- I – elaboração de plano de ação anual;
- II – previsão de recursos orçamentários, em cada esfera de governo;
- III – criação de centros de referência para a atenção à saúde de pessoas com doenças raras;
- IV – criação de cadastro nacional de doenças raras;
- V – adoção de política farmacêutica que garanta o acesso dos pacientes com doença rara a medicamentos com efetividade clínica;
- VI – edição e atualização periódica de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas de doenças raras, conforme estabelecido no 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, no âmbito do Sistema Único de Saúde;

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 Sistema Único de Saúde, assegurando-se o atendimento aos parâmetros de eficácia e segurança;

IX – produção e divulgação de indicadores epidemiológicos sobre doenças raras, de forma a subsidiar o planejamento, o monitoramento e a avaliação da Política;

X – estímulo à pesquisa científica e ao desenvolvimento científico e tecnológico voltados para a prevenção e o tratamento de doenças raras, com ênfase na produção de novos medicamentos e imunobiológicos;

XI – capacitação de profissionais de saúde e de gestores para atuação no âmbito da Política, bem como de cuidadores, familiares e responsáveis;

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 Nacional para Doenças Raras.

**Art. 4º** O art. 3º da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, passa a vigorar acrescido do seguinte inciso XXVI:

‘**Art. 3º**.....

.....

XXVI – Medicamento órfão: medicamento ou imunobiológico destinado especificamente ao tratamento de doença rara, que, para efeitos desta Lei, é aquela cuja prevalência não exceda a sessenta e cinco casos por cem mil habitantes.’ (NR)



**Art. 5º** O art. 10 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, passa a vigorar acrescido do seguinte § 2º, renumerando-se o atual parágrafo único como § 1º:

‘**Art. 10.** .....

§ 1º .....

§ 2º A importação de medicamentos órfãos por pessoa física, para uso exclusivamente individual, com base em prescrição médica, independe de licença ou de registro da autoridade sanitária, desde que não se destine à comercialização.’ (NR)

**Art. 6º** O art. 16 da Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, passa a vigorar acrescido do seguinte § 3º:

‘**Art. 16.** .....

§ 3º O registro de medicamento órfão será feito segundo normas e critérios apropriados às suas especificidades, conforme regulamento estabelecido pela autoridade sanitária.’ (NR)

**Art. 7º** O art. 19-O da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, incluído pela Lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011, passa a vigorar acrescido do seguinte § 2º, renumerando-se o atual parágrafo único como § 1º:

‘**Art. 19-O.** .....

§ 1º .....

§ 2º Em caso de medicamento destinado ao tratamento de doença rara, assim considerada aquela cuja prevalência não exceda a sessenta e cinco casos por cem mil habitantes, na avaliação de que trata o § 1º deste artigo, o critério de efetividade clínica terá precedência sobre o de custo-efetividade.’ (NR)”

## JUSTIFICAÇÃO



A Organização Mundial da Saúde define doença rara como a enfermidade cuja prevalência é de até 65 casos por 100.000 habitantes. Apesar de individualmente atingirem pequeno número de pessoas, estima-se que existam entre 6.000 e 8.000 doenças desse tipo, o que torna o contingente de pessoas acometidas significativo. No Brasil, tais doenças afetam a vida de mais de treze milhões de pessoas.

As doenças raras, em geral, têm repercussões clínicas importantes, que comprometem a qualidade de vida de seus portadores, dada a sua evolução progressiva e degenerativa que, frequentemente, leva a algum tipo de deficiência. O diagnóstico e a terapêutica são difíceis e complexos, além de requererem a inversão de grandes volumes de recursos financeiros para uma resposta efetiva.

Por essas razões, avolumam-se os problemas enfrentados pelas pessoas com doença rara, especialmente no que se refere ao diagnóstico e ao tratamento, tais como: insuficiência de conhecimento sobre essas doenças; falta de protocolos clínicos; carência de profissionais e equipes de saúde capacitados; reduzido investimento em pesquisa; dificuldade de acesso a medicamentos etc.

Assim, dada a relevância social da matéria, que poderá contribuir para a resolução dos graves obstáculos enfrentados pelos portadores de doenças raras para a obtenção do cuidado integral à saúde, solicitamos o apoio dos nobres Pares para sua aprovação.

Sala da Comissão,

Senador **VITAL DO RÊGO**

