



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 1684/2023/ASPAR/MS

Brasília, 24 de outubro de 2023.

A Sua Excelência o Senhor
Senador da República Rogério Carvalho
Primeiro-Secretário do Senado Federal

Referência: Requerimento de Informação nº 274/2023

Assunto: informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao **Ofício nº 963/2023** (0036663205), proveniente da Primeira Secretaria do Senado Federal, referente ao **Requerimento de Informação nº 274/2023**, de autoria da Senhora Senadora da República Senadora Mara Gabrilli (PSD/SP), por meio do qual são requisitadas informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, por meio da NOTA TÉCNICA Nº 41/2023/SEI/GPBIO/GGBIO/DIRE2/ANVISA (0035728472).

2. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

NÍSIA TRINDADE LIMA
Ministra de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Nísia Verônica Trindade Lima, Ministra de Estado da Saúde**, em 26/10/2023, às 16:04, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0036872596** e o código CRC **10546535**.

Referência: Processo nº 25000.121222/2023-91

SEI nº 0036872596

Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br

Agência Nacional de Vigilância Sanitária
Gabinete do Diretor-Presidente
Assessoria Parlamentar

OFÍCIO Nº 122/2023/SEI/ASPAR/GADIP/ANVISA

A Sua Excelência a Senhora
Senadora **Mara Gabrilli - PSD/SP**
Senado Federal
70165-900 - Brasília/DF
E-mail: sen.maragabrilli@senado.leg.br

Assunto: **Informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe.**
Processo nº 25351.926124/2023-62

Senhora Senadora,

Cumprimentando-a, em atenção ao Ofício nº 560/2023 - GSMGABRI (2518893), no qual Vossa Excelência solicita informação sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe, encaminho Nota Técnica nº 41/2023/GPBIO/GGBIO/DIRE2/ANVISA, elaborada pela Gerência-Geral de Produtos Biológicos, Radiofármacos, Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Produtos de Terapias Avançadas, área técnica desta Agência a que o tema está afeto.

Sendo o que nos cabia informar, colocamo-nos à inteira disposição para eventuais esclarecimentos adicionais que porventura se façam necessários, ao tempo em que renovamos os votos de elevada estima e distinto apreço.

Respeitosamente,

Anexo: I - Nota Técnica nº 41/2023/GPBIO/GGBIO/DIRE2/ANVISA



Documento assinado eletronicamente por **Ricardo Roesch Morato Filho, Assessor(a)-Chefe**, em 29/08/2023, às 12:01, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **2556053** e o código CRC **18554A75**.

S.I.A. Trecho 5, Área Especial 57 - Telefone: 0800 642 9782
CEP 71.205.050 Brasília/DF - www.anvisa.gov.br

Referência: Processo nº
25351.926124/2023-62

SEI nº 2556053

NOTA TÉCNICA Nº **41/2023/SEI/GPBIO/GGBIO/DIRE2/ANVISA**

Processo nº 25351.926124/2023-62

Demandas e solicitação de informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe.

1. Relatório

Trata de manifestação quanto a demanda e solicitação de informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe (nome comercial Izcargo), que foi protocolado na Anvisa sob número de registro 25351.703359/2020-35.

2. Análise

O processo de registro do produto Izcargo foi analisado pela Anvisa prioritariamente, considerando os critérios previstos na RESOLUÇÃO DE DIRETORIA COLEGIADA - RDC Nº 205, DE 28 DE DEZEMBRO DE 2017, por ser produto destinado a tratamento de doenças raras, e pela RESOLUÇÃO DA DIRETORIA COLEGIADA - RDC Nº 55, DE 16 DE DEZEMBRO DE 2010, que dispõe sobre o registro de produtos biológicos novos e produtos biológicos e dá outras providências.

A conclusão da Anvisa sobre o pedido de registro, neste momento, foi pelo indeferimento, que se deu devido à insuficiência de dados de qualidade relacionados ao desenvolvimento e controle de qualidade do produto e de dados clínicos que permitissem uma conclusão favorável da Agência quanto ao benefício clínico do medicamento.

Salientamos, no entanto, que o indeferimento deste pedido de registro não impede que a empresa realize uma nova solicitação, quando as questões levantadas forem sanadas e

dados clínicos mais robustos forem gerados.

Informamos ainda que a decisão da Agência encontra-se em fase recursal para apreciação da Diretoria da Anvisa e o pleito será avaliado em 30/08/2023.

3. Conclusão

Diante do exposto, entendemos ter fornecido as informações pertinentes ao processo de registro do produto Izcargo e nos colocamos à disposição, caso maiores esclarecimentos sejam necessários.



Documento assinado eletronicamente por **Anderson Vezali Montai, Gerente de Produtos Biológicos**, em 23/08/2023, às 15:26, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



Documento assinado eletronicamente por **Fabricio Carneiro de Oliveira, Gerente-Geral de Prod. Biológicos, Rad., Sangue, Tecidos, Células, Órgãos e Prod. de Ter. Avançadas**, em 23/08/2023, às 20:25, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **2546567** e o código CRC **E9A69E4E**.

Referência: Processo nº
25351.926124/2023-62

SEI nº 2546567

Ofício nº 963 (SF)

Brasília, em 10 de outubro de 2023.

A Sua Excelência a Senhora
Nísia Verônica Trindade Lima
Ministra de Estado da Saúde

Assunto: Pedido de informações.

Senhora Ministra,

Encaminho a Vossa Excelência, nos termos do disposto no § 2º do art. 50 da Constituição Federal, pedido de informações da Senadora Mara Gabrilli, aprovado pela Comissão Diretora do Senado Federal, contido no Requerimento nº 724, de 2023.

Segue, em anexo, avulso da proposição e cópia do Parecer nº 51, de 2023.

A resposta ao requerimento deverá ser assinada física ou eletronicamente por Vossa Excelência, e remetida, por meio de e-mail institucional do Ministério, em formato PDF, preferencialmente em arquivo único, ao seguinte endereço eletrônico: apoiomesa@senado.leg.br.

Na eventualidade de as informações solicitadas não serem ostensivas, solicito que sejam fisicamente entregues na Secretaria-Geral da Mesa do Senado Federal, no Núcleo de Apoio à Mesa - NAMAP, em envelope lacrado e opaco, com cópia, fora do referido envelope, do ofício do Ministério, encaminhando as informações.

Nesse caso (informações não ostensivas), deve ser informado expressamente o sigilo legal específico que resguardam tais informações ou, se for o caso, eventual grau de classificação de sigilo (ultrassecreto, secreto ou reservado), nos termos do § 1º do art. 24 da Lei nº 12.527, de 2011.

Atenciosamente,


Senador Weverton
Segundo-Secretário do Senado Federal,
no Exercício da Primeira-Secretaria



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO N° 724, DE 2023

Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

AUTORIA: Senadora Mara Gabrilli (PSD/SP)



[Página da matéria](#)



SENADO FEDERAL
Gabinete da Senadora Mara Gabrilli

REQUERIMENTO N^º DE

Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Senhor Presidente,

Requeiro, nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal e do art. 216 do Regimento Interno do Senado Federal, que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Nesses termos, requisita-se:

1. Qual a situação atual do processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da MPS II pela Anvisa?
2. A análise do pedido de registro segue os dispositivos de celeridade previstos na RDC nº 205, de 28 de dezembro de 2017?
3. Qual o prazo estimado para a conclusão da análise do referido processo de registro pelo órgão?



JUSTIFICAÇÃO

A Resolução de Diretoria Colegiada (RDC) nº 205, de 28 de dezembro de 2017, da Anvisa, instituiu procedimento especial para registro sanitário de novos medicamentos para doenças raras (inciso III, art. 1º), de modo a contemplar a possibilidade de registro célere de medicamentos mediante a apresentação de estudos fase II concluídos e estudos fase III em andamento (§ 4º, art. 14).

Segundo informações da organização da sociedade civil Colabore com o Futuro, que nos entregou o documento anexo, esse é o caso do medicamento alfapabinafuspe, cuja solicitação de registro foi submetida à Anvisa em dezembro de 2020, com apresentação de novos documentos em março de 2023.

Todavia, a solicitação de registro junto à Anvisa não foi objeto de decisão até o momento. O alfapabinafuspe possui como principal benefício o tratamento dos efeitos neurológicos da doença, tendo em vista que os medicamentos atualmente aprovados não ultrapassam a barreira hematoencefálica e, diante disso, tal tecnologia se mostra extremamente inovadora e promissora para os brasileiros que sofrem com os efeitos graves da MPSII.

Nesse ínterim, em 2021, a Agência de Produtos Farmacêuticos e Equipamentos Médicos do Japão (PMDA) aprovou o medicamento, fato esse que traz mais segurança no processo decisório em nosso país. De acordo com a entidade, a pesquisa do medicamento, fase II, aconteceu apenas no Japão, onde já foi registrado, e no Brasil. O estudo clínico, de fase III, está acontecendo no Brasil, Estados Unidos, Espanha, Alemanha, Itália, Inglaterra e França.

Diante do exposto e em defesa do melhor interesse dos brasileiros com doenças raras, ressaltamos que não podemos furtá-los da oportunidade de se beneficiarem dos avanços da medicina, assim como também não se pode obstruir o pioneirismo da participação do Brasil nestas pesquisas clínicas tão relevantes para o mundo todo. Pela primeira vez, na área das tecnologias revolucionárias



para doenças raras e ultrararas, nosso país sairá da condição de expectador para o protagonismo desses avanços.

Sala das Sessões, 14 de agosto de 2023.

**Senadora Mara Gabrilli
(PSD - SP)**



Assinado eletronicamente por Sen. Mara Gabrilli

Para verificar as assinaturas, acesse <https://legis.senado.gov.br/autenticador-legis/9893285970>



SENADO FEDERAL

PARECER (SF) Nº 51, DE 2023

Da COMISSÃO DIRETORA DO SENADO FEDERAL, sobre o Requerimento nº 724, de 2023, da Senadora Mara Gabrilli, que Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre o processo de registro do medicamento alfapabinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

PRESIDENTE: Senador Rodrigo Pacheco
RELATOR: Senador Chico Rodrigues

03 de outubro de 2023

PARECER N° , DE 2023

Da COMISSÃO DIRETORA, sobre o Requerimento nº 724, de 2023, da Senadora Mara Gabrilli, em que requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, *informações sobre o processo de registro do medicamento alfababinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).*

Relator: Senador **CHICO RODRIGUES**

I - RELATÓRIO

A Senadora Mara Gabrilli, nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição e do art. 216 do Regimento Interno do Senado Federal (RISF), solicita que a Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, preste informações sobre *o processo de registro do medicamento alfababinafuspe para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II) pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).*

Sua Excelência requisita especificamente resposta aos seguintes questionamentos:

1. *Qual a situação atual do processo de registro do medicamento alfababinafuspe para o tratamento da MPS II pela Anvisa?*
2. *A análise do pedido de registro segue os dispositivos de celeridade previstos na RDC nº 205, de 28 de dezembro de 2017?*
3. *Qual o prazo estimado para a conclusão da análise do referido processo de registro pelo órgão?*

Em sua justificativa, a Senadora informa que o pedido de registro do medicamento alfafabinafuspe foi submetido à Anvisa em dezembro de 2020, com documentos adicionais apresentados em março de 2023, e ainda não houve decisão sobre o registro deste medicamento. Pondera que medicamento alfafabinafuspe é essencial para o tratamento dos efeitos neurológicos da MPSII, pois consegue ultrapassar a barreira hematoencefálica, o que os medicamentos atualmente aprovados não conseguem, o que é especialmente relevante para os brasileiros que sofrem com os graves efeitos da doença. Esclarece, ainda, que a Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) nº 205, de 2017, da Anvisa, estabelece procedimento especial, mais célere, para o registro sanitário de novos medicamentos para doenças raras.

II – ANÁLISE

Cabe à Comissão Diretora do Senado Federal examinar se o pedido preenche os requisitos de admissibilidade dispostos nas normas que tratam dos requerimentos de informações.

O requerimento em exame tem previsão constitucional (art. 50, § 2º) e regimental (art. 216, inciso I), além de estar amparado no inciso X do art. 49 da Constituição, que dá ao Congresso Nacional a prerrogativa de fiscalizar e controlar, diretamente ou por qualquer de suas Casas, os atos do Poder Executivo.

Por sua vez, o Risf, em seu art. 216, inciso I, especifica que esses pedidos serão admissíveis para esclarecimento de qualquer assunto concernente à competência fiscalizadora desta Casa. Nesse sentido, consideramos que o requerimento em pauta cuida de assunto atinente à competência fiscalizadora do Poder Legislativo e que, ademais, as informações solicitadas não têm caráter sigiloso, sendo sua divulgação compatível com o princípio da publicidade que rege a administração pública.

Por fim, o inciso II, do art. 216, do Risf, enumera as razões que podem ensejar o indeferimento de um requerimento de informações por parte da Mesa desta Casa Legislativa, quais sejam, conter pedido de providência, consulta, sugestão, conselho ou interrogação sobre propósito da autoridade a quem se dirige. Entendemos que o requerimento analisado não incorre nessas hipóteses.

III – VOTO

Pelo exposto, votamos pela **aprovação** do Requerimento nº 724, de 2023.

Sala das Reuniões,

, Presidente

, Relator

~~Reunião: 3ª Reunião, Ordinária, da CDIR~~~~Data: 03 de outubro de 2023 (terça-feira), às 10h~~~~Local: Sala de Audiências da Presidência do Senado Federal~~

COMISSÃO DIRETORA DO SENADO FEDERAL - CDIR

TITULARES	SUPLENTES
Rodrigo Pacheco (PSD)	1. Mara Gabrilli (PSD)
Veneziano Vital do Rêgo (MDB)	2. Ivete da Silveira (MDB)
Rodrigo Cunha (PODEMOS)	Presente 3. Dr. Hiran (PP)
Rogério Carvalho (PT)	Presente 4. Mecias de Jesus (REPUBLICANOS)
Weverton (PDT)	Presente
Chico Rodrigues (PSB)	Presente
Styvenson Valentim (PODEMOS)	Presente



Reunião: 3^a Reunião, Ordinária, da CDIR

Data: 03 de outubro de 2023 (terça-feira), às 10h

Local: Sala de Audiências da Presidência do Senado Federal

NÃO MEMBROS DA COMISSÃO

Teresa Leitão

Izalci Lucas

Lucas Barreto

Professora Dorinha Seabra

Wilder Moraes

Angelo Coronel

Marcos do Val

Zenaide Maia

Paulo Paim

DECISÃO DA COMISSÃO

(RQS 724/2023)

EM SUA 3^ª REUNIÃO, NO DIA 03.10.2023, A COMISSÃO DIRETORA DO SENADO FEDERAL DEFERIU O PRESENTE REQUERIMENTO, NOS TERMOS DO RELATÓRIO.

03 de outubro de 2023

Senador RODRIGO PACHECO

Presidente da Comissão Diretora do Senado Federal