



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 1749/2023/ASPAR/MS

Brasília, 03 de novembro de 2023.

A Sua Excelência o Senhor

Senador Rogério Carvalho

Primeiro-Secretário do Senado Federal

Referência: Requerimento de Informação nº 85/2023

Assunto: Informações sobre as ações deste Ministério da Saúde para pessoas com doenças raras.

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício nº 949/2023, proveniente da Primeira Secretaria do Senado Federal, referente ao **Requerimento de Informação nº 85/2023**, de autoria da Senhora Senadora Damares Alves (Republicanos/DF), por meio do qual são requisitadas informações *sobre as ações deste Ministério da Saúde para pessoas com doenças raras*, sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, conforme NOTA INFORMATIVA Nº 23/2023-DECIT/SECTICS/MS (0037004221) e NOTA TÉCNICA Nº 470/2023-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0037033310).
2. Desse modo, no âmbito do Ministério da Saúde, essas foram as informações exaradas pelo corpo técnico sobre o assunto.
3. 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 06/11/2023, às 18:51, 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 **0037069958** e o código CRC **3D5543DD**.

Referência: Processo nº 25000.030464/2023-76

SEI nº 0037069958

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



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde
Departamento de Ciência e Tecnologia

NOTA INFORMATIVA Nº 23/2023-DECIT/SECTICS/MS

Referência SEI: 0032216820 e 0036994899

Registro NUP: 25000.030464/2023-76

Interessado: Senado Federal

ASSUNTO

Vem a este Departamento de Ciência e Tecnologia (Decit/SECTICS/MS) os autos do processo qualificado em epígrafe, em razão do Despacho COGAD/SECTICS (0036994899) que trata do Requerimento de Informação nº 85/2023, de autoria da Senhora Senadora Damares Alves (Republicanos/DF), por meio do qual requisita à Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre as ações deste Ministério da Saúde para pessoas com doenças raras, em especial no que se refere:

1. as ações, programas e políticas em planejamento e desenvolvidos por este Ministério para as pessoas com doenças raras, com indicação de ato normativo (se houver), diretrizes, objetivos, e metas de cada um deles;
2. os parceiros envolvidos em cada ação, programa e política; e
3. o orçamento (a ser) investido por ação, programa e política.

ANÁLISE

Em atendimento ao requerimento de informação, *a priori*, cumpre informar que este Departamento de Ciência e Tecnologia da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde do Ministério da Saúde (Decit/SECTICS/MS) atua como o principal agente fomentador de conhecimentos científicos, tecnológicos e de inovação em saúde no âmbito do Governo Federal. Cabe ao Decit/SECTICS/MS, dentre outras competências, coordenar e executar as ações do Ministério da Saúde no campo de pesquisa e desenvolvimento em saúde e promover a realização de pesquisas em temas prioritários ao Sistema Único de Saúde (SUS), além de produzir sínteses de evidências científicas para subsidiar a tomada de decisão do gestor federal do SUS, com fulcro no Decreto n.º 11.358, de 1º de janeiro de 2023. Desta feita, cabe a este Departamento de Ciência e Tecnologia manifestar-se no âmbito de suas competências, conforme referenciado.

No que concerne ao item "1", que questiona quais ações, programas e políticas são desenvolvidas para as pessoas com doenças raras, esclarecemos que por meio dos programas de renúncia fiscal, entre eles Programa de Apoio ao Desenvolvimento Institucional do SUS (Proadi-SUS), o Programa Nacional de Atenção à Saúde Oncológica (Pronon) e o Programa Nacional de Atenção à Saúde da Pessoa com Deficiência (Pronas/PCD), são desenvolvidas pesquisas científicas e tecnológicas em variados campos do conhecimento em saúde, incluindo doenças raras.

O Proadi-SUS, regulamentado pela Lei n.º 12.101, de 27 de novembro de 2009, alterada pela Lei Complementar n.º 187, de 16 de dezembro de 2021, é um programa que visa fortalecer o SUS mediante parcerias com hospitais filantrópicos reconhecidos como Hospitais de Excelência. Historicamente, desde o início desse programa em 2009, a cada triênio pesquisas são aprovadas com o intuito de contribuir para a melhoria do SUS.

O Programa Nacional de Apoio à Atenção Oncológica (Pronon) e o Programa Nacional de Apoio à Atenção da Saúde da Pessoa com Deficiência (Pronas/PCD) foram instituídos nos termos da Lei n.º 12.715, de 17 de setembro de 2012, recentemente alterada pela Lei n.º 14.564, de 04 de maio de 2023. Ambos são programas que utilizam recursos provenientes de renúncia fiscal com a finalidade de ampliar a oferta de serviços médico-assistenciais; incentivar a formação, o treinamento e o aperfeiçoamento de recursos humanos; e realizar pesquisas clínicas, epidemiológicas, experimentais e socioantropológicas.

No que diz respeito ao item "2" que solicita informar quais os parceiros envolvidos em cada ação, programa e política, cabe esclarecer que participam do Proadi-SUS seis hospitais de reconhecida excelência, a saber: Associação Beneficente Síria - Hospital do Coração; Associação Hospitalar Moinhos de Vento; Hospital Alemão Oswaldo Cruz, Sociedade Beneficente de

Senhoras Sírio Libanês, Sociedade Beneficente Israelita Brasileira Albert Einstein e Real e Benemerita Associação Portuguesa de Beneficência. Participam dos programas Pronon e Pronas/PCD, instituições de prevenção e combate ao câncer e as que se destinam ao tratamento de deficiências físicas, motoras, auditivas, visuais, mentais, intelectuais, múltiplas e de autismo, classificadas como pessoas jurídicas de direito privado, associativas ou fundacionais, sem fins lucrativos, devidamente credenciadas junto ao Ministério da Saúde.

Quanto ao item "3" que questiona o valor investido nessas ações, ressalta-se que, desde 2018, por meio de recursos oriundos de renúncia fiscal nos três programas Proadi-SUS, Pronon e Pronas/PCD foram investidos aproximadamente R\$ 127 milhões em pesquisas científicas que abordam diferentes doenças raras, dentre as quais podemos destacar a Síndrome de Dravet, Síndrome da transfusão feto-fetal, hipopituitarismo, Sarcoma de Ewing, erros inatos do metabolismo, além de estudos sobre a aplicação da genômica para o diagnóstico de doenças raras.

Ainda no contexto de suas competências, este Decit estabeleceu o Serviço de Produção de Evidências para Apoio à Tomada de Decisão, a fim de promover o uso sistemático de evidências como subsídio para a tomada de decisão dos gestores do Ministério da Saúde, por meio da produção e fomento de estudos secundários (levantamento e síntese de evidências científicas disponíveis na literatura). O link do portfólio de produtos do serviço de evidências está disponível em:

https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/servico_producao_apoio_evidencias_tomada_decisao_portifolio_produtos.pdf

As sínteses de evidências têm por característica metodológica a identificação e avaliação de estudos disponíveis na literatura científica feitas em tempo hábil para subsidiar a tomada de decisão em saúde. Dentre os serviços ofertados para síntese de evidências, encontra-se o sumário de resumos, que consiste em um conjunto de evidências disponíveis sobre um tópico, organizadas de forma que a evidência de maior certeza seja apresentada primeiro. Isto posto, informa-se que nos últimos dois anos foram elaborados dois estudos de respostas rápidas acerca de doenças raras, na modalidade sumários de resumos, sendo eles:

- Mapeamento de definição de doenças raras, produzido em 2021; e
- Terapia com células-tronco para tratamento de mielomeningocele, também produzido no ano de 2021.

Adicionalmente, em busca no repositório [Pesquisa Saúde](#) por pesquisas que investigam doenças raras financiadas pelo Programa Pesquisa para o SUS (PPSUS) e pelo Fomento Nacional, com o recorte temporal entre os anos de 2019 e 2023, foram identificados 13 projetos de pesquisa, perfazendo o total de R\$ 14.787.257,00 e que investigam 25 doenças, citadas a seguir. Como referência para a realização da busca no repositório, foi utilizada uma lista de 22 doenças raras definidas no projeto que estrutura a Rede Nacional de Doenças Raras (RARAS). Trata-se de um projeto multicêntrico que investiga as doenças raras mais prevalentes no país e que representam os maiores custos para o SUS. Adicionalmente, por meio das palavras-chave "doenças raras" foram elencadas outras três doenças relevantes que contam com financiamento deste Decit.

- Osteogenese imperfeita;
- Síndrome de Prader-Willi;
- Acromegalia;
- Angioedema hereditário;
- Angiodema associado à deficiência de C1 esterase;
- Homocistinúria clássica;
- Fenilcetonúria;
- Polineuropatia Amiloidótica Familiar;
- Atrofia Muscular Espinhal;
- Fibrose cística;
- Distrofia Muscular de Duchenne;
- Doença de Gaucher;
- Esclerose lateral Amiotrófica;
- Mucopolissacaridose I;
- Mucopolissacaridose tipo II;
- Mucopolissacaridose tipo IVA;
- Mucopolissacaridose tipo VI;
- Mucopolissacaridose tipo VII;

- Hemoglobinúria Paroxística Noturna;
- Deficiência de biotinidase;
- Doença de Pompe;
- Síndrome de Turner;
- Telomeropatias.;
- Epidermólise Bolhosa Distrófica Recessiva;
- Lipodistrofia.

Ainda, por meio do Programa Nacional de Genômica e Saúde de Precisão - Genomas Brasil, instituído pela Portaria n.º 1.949, de 4 de agosto de 2020, o Departamento de Ciência e Tecnologia tem fomentado dois projetos que tratam de doenças raras: a Rede Nacional de Genômica Cardiovascular (Renomica) e projeto Genomas Raros: aplicação da genômica para o diagnóstico de doenças raras e do risco hereditário de câncer no Brasil em serviços públicos de saúde. Este último, viabilizado por meio do Programa de Apoio ao Desenvolvimento Institucional do SUS (Proadi-SUS). Vale ressaltar que ambos os projetos buscam investigar a implantação de novas tecnologias de diagnóstico precoce dos pacientes portadores de doenças raras, contribuindo para o fortalecimento do SUS nas áreas da genômica e saúde de precisão. O investimento somado alcança o valor de R\$ 72.381.668,52.

Ademais, no âmbito do Programa Genomas Brasil, em 2020, foi realizada a Chamada MS-SECTICS-DECIT-DGITS-DECEIIS/CNPq n.º 26/2020 - Plataformas Inovadoras em Terapias Avançadas. Os produtos de terapias avançadas são produtos biológicos obtidos a partir de células e tecidos humanos que foram submetidos a um processo de fabricação, além dos produtos de terapia gênica, que consistem em uma sequência de ácidos nucleicos que regulam ou alteram uma sequência genética das células. Esses produtos têm como objetivo tratar, prevenir ou até mesmo diagnosticar uma doença, o que representa uma grande promessa terapêutica para enfermidades complexas e sem alternativas médicas disponíveis. Muitos desses produtos atendem a doenças raras, sendo que a chamada financiou 30 propostas de pesquisa com o objetivo de promover o desenvolvimento científico, tecnológico e a inovação do país, por meio do desenvolvimento de plataformas de conhecimento, testagem e exploração em torno de conceitos inovadores com tecnologia nacional para obtenção e desenvolvimento de produtos de terapias avançadas (PTA).

A referida Chamada Pública disponibilizou mais de R\$ 47 milhões oriundos dos orçamentos do Departamento de Ciência e Tecnologia (Decit), Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITIS) e Coordenação-Geral do Complexo Industrial e Inovação em Saúde (CGCIS) para apoiar a execução de projetos de pesquisa que objetivassem desenvolver plataformas de conhecimento.

Por fim, insta ressaltar que há a previsão de ação futura relacionada a doenças raras, relativa à publicação de edital no tema Saúde de Precisão para o SUS, no valor de R\$ 100 milhões, com escopo para o desenvolvimento de terapias avançadas, novos métodos diagnósticos e outras ferramentas de ponta para doenças crônicas, englobando, dentre outras, câncer e doenças raras.

CONCLUSÃO

São estas as informações que este Decit/SECTICS/MS tem a prestar no momento.

JULIANA MIRANDA CERQUEIRA
Consultora Técnica

De acordo.

ANA MARIA CAETANO DE FARIA
Diretora do Departamento de Ciência e Tecnologia



Documento assinado eletronicamente por **Ana Maria Caetano de Faria, Diretor(a) do Departamento de Ciência e Tecnologia**, em 31/10/2023, às 13:46, 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](#).



Documento assinado eletronicamente por **Juliana Miranda Cerqueira, Consultor(a) Técnico(a)**, em 31/10/2023, às 13:49, 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 **0037004221** e o código CRC **C4B85887**.

Brasília, 31 de outubro de 2023.

Referência: Processo nº 25000.030464/2023-76

SEI nº 0037004221

Departamento de Ciência e Tecnologia - DECIT
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde
Coordenação de Incorporação de Tecnologias

NOTA TÉCNICA Nº 470/2023-CITEC/DGITS/SECTICS/MS

ASSUNTO: Requerimento de Informação nº 85/2023 – Solicita informações acerca de ações do Ministério da Saúde para atendimento de pessoas com doenças raras.

NUP: 25000.030464/2023-76.

INTERESSADO: Senado Federal - Gabinete da Senadora Damares Alves.

I. OBJETIVO

Esta Nota Técnica tem por objetivo apresentar informações sobre as diretrizes clínicas para tratamento de pacientes com doenças raras.

II. DOS FATOS

Trata-se do Requerimento de Informação nº 85/2023 (0032216820), de 28/03/2023, o qual solicitou:

- "1. as ações, programas e políticas em planejamento e desenvolvidos por este Ministério para as pessoas com doenças raras, com indicação de ato normativo (se houver), diretrizes, objetivos, e metas de cada um deles;*
- 2. os parceiros envolvidos em cada ação, programa e política; e*
- 3. o orçamento (a ser) investido por ação, programa e política."*

Os autos foram encaminhados ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde - DGITS/SECTICS/MS e ao Departamento de Ciência e Tecnologia - DECIT/SECTICS/MS, ambos da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, para emissão de nota conjunta. A resposta está adstrita às competências das áreas, conforme insculpido no Decreto nº 11.358, de 1º de janeiro de 2023.

III. DA ANÁLISE

III.1. Do questionamento 1

Colaciona-se abaixo o questionamento:

- "1. as ações, programas e políticas em planejamento e desenvolvidos por este Ministério para as pessoas com doenças raras, com indicação de ato normativo (se houver), diretrizes, objetivos, e metas de cada um deles;"*

Dentro das competências do DGITS/SECTICS/MS esclarece-se que o Ministério da Saúde elaborou e publicou, em 2014, de forma pactuada com Estados, Municípios, associações de familiares e pessoas com doenças raras e especialistas na área, a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras^[1] e as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras^[2].

O documento é de caráter nacional e deve ser utilizado pelas Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios na regulação do acesso assistencial, autorização, registro e ressarcimento dos procedimentos correspondentes, e pelos Serviços de Saúde habilitados junto ao SUS. A organização da atenção segue a lógica de cuidados, produzindo saúde de forma sistêmica, por meio de processos dinâmicos voltados ao fluxo de assistência ao usuário.

A assistência ao usuário deve ser centrada em seu campo de necessidades, vistas de forma ampla. No que se refere à atenção especializada em doença rara, foram estruturados Serviços de Atenção Especializada e Serviços de Referência em Doenças Raras como componentes estruturantes complementares à Rede de Atenção à Saúde. A atenção aos familiares e pacientes que vivem com doenças raras deverá garantir a estruturação da atenção de forma integrada e coordenada em todos os níveis, desde a prevenção, acolhimento, diagnóstico, tratamento (baseado em protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas), apoio até a resolução, seguimento e reabilitação; acesso a recursos diagnósticos e terapêuticos; acesso à informação e ao cuidado e aconselhamento genético, quando indicado.

No âmbito de competências da Conitec, são elaboradas as diretrizes clínicas, que são documentos baseados em evidências científicas, que visam a garantir as melhores práticas para o diagnóstico, tratamento e monitoramento dos pacientes no âmbito do SUS, tais como protocolo clínico e diretrizes terapêuticas, protocolo de uso e diretrizes brasileiras ou nacionais. Vejamos a definição de cada tipo de documento:

- Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT: documento que estabelece critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde, o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber, as posologias recomendadas, os mecanismos de controle clínico e o acompanhamento e verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS;
- Protocolo de Uso: documento de escopo mais estrito, que estabelece critérios, parâmetros e padrões para a utilização de uma tecnologia em saúde específica para determinada doença ou condição; e
- Diretrizes brasileiras ou nacionais: documentos norteadores das melhores práticas a serem seguidas por profissionais de saúde e gestores, sejam eles do setor público ou privado da saúde.

A tabela abaixo informa as diretrizes clínicas para doenças raras que foram avaliadas pela Comissão:

	Documento	Diretriz Clínica	Doença rara
1	PCDT	Acromegalia	Acromegalia
2	PCDT	Anemia Hemolítica Autoimune	Anemia hemolítica autoimune
3	PCDT	Angioedema Hereditário Associado à Deficiência de C1 Esterase (C1-INH)	Angioedema associado à deficiência de C1 esterase (C1-INH)
4	PCDT	Artrite Reativa - Doença de Reiter	Artrite reativa - Doença de Reiter
5	Diretrizes	Atenção Integral às pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde - SUS	Atenção Integral às pessoas com Doenças Raras no SUS
6	PCDT	Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2	Atrofia muscular espinhal 5q tipos 1 e 2
7	PCDT	Colangite Biliar Primária	Colangite biliar primária
8	Diretrizes Brasileiras	Cuidados de Pacientes com Epidermólise Bolhosa (antigo Epidermólise Bolhosa Hereditária e Adquirida)	Epidermólise bolhosa
9	PCDT	Deficiência de Biotinidase	Deficiência de biotinidase
10	PCDT	Deficiência do Hormônio de Crescimento - Hipopituitarismo	Deficiência do hormônio de crescimento - hipopituitarismo
11	PCDT	Dermatopolimiosite e Polimiosite	Dermatopolimiosite e polimiosite
12	PCDT	Diabete insípido	Diabete insípido
13	Protocolo	Diagnóstico Etiológico da Deficiência Intelectual	Deficiência intelectual
14	PCDT	Distonias e Espasmo Hemifacial	Distonias e espasmo hemifacial
15	PCDT	Doença de Crohn	Doença de Crohn
16	Diretrizes Brasileiras	Doença de Fabry	Doença de Fabry
17	PCDT	Doença de Gaucher	Doença de Gaucher
	Diretrizes	Doença de Niemann	

18	Diretrizes Brasileiras	Doença de Niemann-Pick Tipo C	Doença de Niemann-Pick Tipo C
19	PCDT	Doença de Paget (antes Doença de Paget - Osteíte Deformante)	Doença de Paget
20	PCDT	Doença de Pompe	Doença de Pompe
21	PCDT	Doença de Wilson	Doença de Wilson
22	PCDT	Doença Falciforme (Anemia Falciforme)	Doença falciforme (Anemia Falciforme)
23	Protocolo de Uso	Emicizumabe por Pacientes com Hemofilia A e Inibidores do Fator VIII Refratários ao Tratamento de Imunotolerância	Hemofilia A e inibidores ao Fator VIII
24	PCDT	Esclerose Lateral Amiotrófica	Esclerose lateral amiotrófica
25	PCDT	Esclerose Múltipla	Esclerose múltipla
26	PCDT	Esclerose Sistêmica (esclerodermia)	Esclerose sistêmica (esclerodermia)
27	PCDT	Espondilite Ancilosante	Espondilite ancilosante
28	PCDT	Fenilcetonúria	Fenilcetonúria
29	PCDT	Fibrose Cística	Fibrose cística
30	PCDT	Hemoglobinúria Paroxística Noturna	Hemoglobinúria paroxística noturna
31	PCDT	Hepatite Autoimune	Hepatite autoimune
32	PCDT	Hidradenite Supurativa	Hidradenite supurativa
33	PCDT	Hiperplasia Adrenal Congênita	Hiperplasia adrenal congênita
34	PCDT	Hipertensão Pulmonar	Hipertensão pulmonar
35	PCDT	Hipoparatiroidismo	Hipoparatiroidismo
36	PCDT	Hipotireoidismo Congênito	Hipotireoidismo congênito
37	PCDT	Homocistinúria Clássica	Homocistinúria clássica
38	PCDT	Ictioses Hereditárias	Ictioses hereditárias
39	PCDT	Imunodeficiência Primária Com Defeitos de Anticorpos	Imunodeficiência primária com defeitos de anticorpos
40	PCDT	Insuficiência Adrenal	Doença de Addison
41	PCDT	Insuficiência Pancreática Exócrina	Insuficiência pancreática exócrina
42	PCDT	Lipofuscinose Ceroide Neuronal tipo 2	lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2
43	PCDT	Linfangioleiomiomatose	Linfangioleiomiomatose
44	PCDT	Lúpus Eritematoso Sistêmico	Lúpus eritematoso sistêmico
45	PCDT	Miastenia Gravis	Miastenia Gravis
46	PCDT	Mucopolissacaridose do tipo I	Mucopolissacaridose do tipo I
47	PCDT	Mucopolissacaridose do tipo II	Mucopolissacaridose do tipo II
48	PCDT	Mucopolissacaridose do tipo VII	Mucopolissacaridose do tipo VII
49	PCDT	Mucopolissacaridose tipo IV A	Mucopolissacaridose tipo IV A
50	PCDT	Mucopolissacaridose tipo VI	Mucopolissacaridose tipo VI
51	PCDT	Osteogênese Imperfeita	Osteogênese Imperfeita
52	PCDT	Polineuropatia Amiloidótica Familiar	Polineuropatia amiloidótica familiar
53	Protocolo de Uso	Fatores de coagulação para a profilaxia primária em caso de hemofilia grave (antes Profilaxia Primária para Hemofilia Grave)	Hemofilia A e B
54	PCDT	Púrpura Trombocitopênica Idiopática	Púrpura trombocitopênica idiopática
55	PCDT	Raquitismo e Osteomalácia	Hipofosfatemia ligada ao cromossomo X
56	PCDT	Síndrome de Falência Medular	Anemia aplástica e a aplasia pura da série vermelha
57	PCDT	Síndrome de Guillan Barré	Síndrome de Guillan Barré
58	PCDT	Síndrome de Turner	Síndrome de Turner
59	PCDT	Síndrome Mielodisplásica de Baixo	Síndrome mielodisplásica de baixo risco

		Risco	
60	PCDT	Síndrome Nefrótica Primária em Adultos	Síndrome nefrótica primária em adultos
61	PCDT	Síndrome Nefrótica Primária em Crianças e Adolescentes	Síndrome nefrótica primária em crianças e adolescentes
62	PCDT	Tratamento da síndrome Hipereosinofílica com mesilato de imatinibe	Síndrome hipereosinofílica

A elaboração/atualização de diretrizes clínicas devem incluir as recomendações de condutas, medicamentos ou produtos para as diferentes fases evolutivas da doença ou do agravamento à saúde de que se tratam (quando couber), bem como aqueles indicados em casos de perda de eficácia e de surgimento de intolerância ou reação adversa relevante, provocadas pelo medicamento, produto ou procedimento de primeira escolha. As análises são baseadas em evidências científicas, destacando os critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade para a formulação das recomendações sobre intervenções em saúde. Há grande rigor metodológico para a elaboração dos relatórios e eliminação de riscos de viés dos estudos selecionados. Todos os protocolos acima elencados podem ser encontrados no link < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas> >.

No âmbito de atribuições do DECIT/SECTICS/MS, informa-se que o Programa de Apoio ao Desenvolvimento Institucional do SUS (Proadi-SUS), regulamentado pela Lei n.º 12.101, de 27 de novembro de 2009, alterada pela Lei Complementar n.º 187, de 16 de dezembro de 2021, é um programa que visa fortalecer o SUS mediante parcerias com hospitais filantrópicos reconhecidos como Hospitais de Excelência. Historicamente, desde o início desse programa em 2009, a cada triênio pesquisas são aprovadas com o intuito de contribuir para a melhoria do SUS.

O Programa Nacional de Apoio à Atenção Oncológica (Pronon) e o Programa Nacional de Apoio à Atenção da Saúde da Pessoa com Deficiência (Pronas/PCD) foram instituídos nos termos da Lei n.º 12.715, de 17 de setembro de 2012, recentemente alterada pela Lei n.º 14.564, de 04 de maio de 2023. Ambos são programas que utilizam recursos provenientes de renúncia fiscal com a finalidade de ampliar a oferta de serviços médico-assistenciais; incentivar a formação, o treinamento e o aperfeiçoamento de recursos humanos; e realizar pesquisas clínicas, epidemiológicas, experimentais e socioantropológicas.

III.2. Do questionamento 2

Veja-se o questionado pela i. Senadora:

"2. os parceiros envolvidos em cada ação, programa e política; e"

O DECIT/SECTICS/MS informa que participam do Proadi-SUS seis hospitais de reconhecida excelência, a saber: Associação Beneficente Síria - Hospital do Coração; Associação Hospitalar Moinhos de Vento; Hospital Alemão Oswaldo Cruz, Sociedade Beneficente de Senhoras Sírio Libanês, Sociedade Beneficente Israelita Brasileira Albert Einstein e Real e Benemerita Associação Portuguesa de Beneficência. Participam dos programas Pronon e Pronas/PCD, instituições de prevenção e combate ao câncer e as que se destinam ao tratamento de deficiências físicas, motoras, auditivas, visuais, mentais, intelectuais, múltiplas e de autismo, classificadas como pessoas jurídicas de direito privado, associativas ou fundacionais, sem fins lucrativos, devidamente credenciadas junto ao Ministério da Saúde.

III.3. Do questionamento 3 – Do orçamento (a ser) investido por ação, programa e política

Transcreve-se abaixo o questionamento:

"3. o orçamento (a ser) investido por ação, programa e política."

Por meio de recursos oriundos de renúncia fiscal nos três programas Proadi-SUS, Pronon e Pronas/PCD foram investidos aproximadamente R\$ 127 milhões em pesquisas científicas que abordam diferentes doenças raras, dentre as quais podemos destacar a Síndrome de Dravet, Síndrome da transfusão feto-fetal, hipopituitarismo, Sarcoma de Ewing, erros inatos do metabolismo, além de estudos sobre a aplicação da genômica para o diagnóstico de doenças raras.

Ainda no contexto de suas competências, este Decit estabeleceu o Serviço de Produção de Evidências para Apoio à Tomada de Decisão, a fim de promover o uso sistemático de evidências como subsídio para a tomada de decisão dos gestores do Ministério da Saúde, por meio da produção e fomento de estudos secundários (levantamento e síntese de evidências científicas disponíveis na literatura). O link do portfólio de produtos do serviço de evidências está disponível em

< https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/servico_producao_apoio_evidencias_tomada_decisao_portifolio_produtos.pdf >.

As sínteses de evidências têm por característica metodológica a identificação e avaliação de estudos disponíveis na literatura científica feitas em tempo hábil para subsidiar a tomada de decisão em saúde. Dentre os serviços ofertados para síntese de evidências, encontra-se o sumário de resumos, que consiste em um conjunto de evidências disponíveis sobre um tópico, organizadas de forma que a evidência de maior certeza seja apresentada primeiro. Isto posto, informa-se que nos últimos dois anos foram elaborados dois estudos de respostas rápidas acerca de doenças raras, na modalidade sumários de resumos, sendo eles:

- Mapeamento de definição de doenças raras, produzido em 2021; e
- Terapia com células-tronco para tratamento de mielomeningocele, também produzido no ano de 2021.

Adicionalmente, em busca no repositório [Pesquisa Saúde](#)^[3] por pesquisas que investigam doenças raras financiadas pelo Programa Pesquisa para o SUS (PPSUS) e pelo Fomento Nacional, com o recorte temporal entre os anos de 2019 e 2023, foram identificados 13 projetos de pesquisa, perfazendo o total de R\$ 14.787.257,00 e que investigam 25 doenças, citadas a seguir. Como referência para a realização da busca no repositório, foi utilizada uma lista de 22 doenças raras definidas no projeto que estrutura a Rede Nacional de Doenças Raras (RARAS). Trata-se de um projeto multicêntrico que investiga as doenças raras mais prevalentes no país e que representam os maiores custos para o SUS. Adicionalmente, por meio das palavras-chave "doenças raras" foram elencadas outras três doenças relevantes que contam com financiamento do Decit.

- Osteogenese imperfeita;
- Síndrome de Prader-Willi;
- Acromegalia;
- Angioedema hereditário;
- Angiodema associado à deficiência de C1 esterase;
- Homocistinúria clássica;
- Fenilcetonúria;
- Polineuropatia Amiloidótica Familiar;
- Atrofia Muscular Espinhal;
- Fibrose cística;
- Distrofia Muscular de Duchenne;
- Doença de Gaucher;
- Esclerose lateral Amiotrófica;
- Mucopolissacaridose I;
- Mucopolissacaridose tipo II;
- Mucopolissacaridose tipo IVA;
- Mucopolissacaridose tipo VI;
- Mucopolissacaridose tipo VII;
- Hemoglobínúria Paroxística Noturna;
- Deficiência de biotinidase;
- Doença de Pompe;
- Síndrome de Turner;
- Telomeropatias;
- Epidermólise Bolhosa Distrófica Recessiva;
- Lipodistrofia.

Ainda, por meio do Programa Nacional de Genômica e Saúde de Precisão - Genomas Brasil, instituído pela Portaria n.º 1.949, de 4 de agosto de 2020, o Departamento de Ciência e Tecnologia tem fomentado dois projetos que tratam

de doenças raras: a Rede Nacional de Genômica Cardiovascular (Renomica) e projeto Genomas Raros: aplicação da genômica para o diagnóstico de doenças raras e do risco hereditário de câncer no Brasil em serviços públicos de saúde. Este último, viabilizado por meio do Programa de Apoio ao Desenvolvimento Institucional do SUS (Proadi-SUS). Vale ressaltar que ambos os projetos buscam investigar a implantação de novas tecnologias de diagnóstico precoce dos pacientes portadores de doenças raras, contribuindo para o fortalecimento do SUS nas áreas da genômica e saúde de precisão. O investimento somado alcança o valor de R\$ 72.381.668,52.

Ademais, no âmbito do Programa Genomas Brasil, em 2020, foi realizada a Chamada MS-SECTICS-DECIT-DGITS-DECEIIS/CNPq n.º 26/2020 - Plataformas Inovadoras em Terapias Avançadas. Os produtos de terapias avançadas são produtos biológicos obtidos a partir de células e tecidos humanos que foram submetidos a um processo de fabricação, além dos produtos de terapia gênica, que consistem em uma sequência de ácidos nucleicos que regulam ou alteram uma sequência genética das células. Esses produtos têm como objetivo tratar, prevenir ou até mesmo diagnosticar uma doença, o que representa uma grande promessa terapêutica para enfermidades complexas e sem alternativas médicas disponíveis. Muitos desses produtos atendem a doenças raras, sendo que a chamada financiou 30 propostas de pesquisa com o objetivo de promover o desenvolvimento científico, tecnológico e a inovação do país, por meio do desenvolvimento de plataformas de conhecimento, testagem e exploração em torno de conceitos inovadores com tecnologia nacional para obtenção e desenvolvimento de produtos de terapias avançadas (PTA).

A referida Chamada Pública disponibilizou mais de R\$ 47 milhões oriundos dos orçamentos do DECIT, DGITS e Coordenação-Geral do Complexo Industrial e Inovação em Saúde (CGCIS) para apoiar a execução de projetos de pesquisa que objetivassem desenvolver plataformas de conhecimento.

Por fim, insta ressaltar que há a previsão de ação futura relacionada a doenças raras, relativa à publicação de edital no tema Saúde de Precisão para o SUS, no valor de R\$ 100 milhões, com escopo para o desenvolvimento de terapias avançadas, novos métodos diagnósticos e outras ferramentas de ponta para doenças crônicas, englobando, dentre outras, câncer e doenças raras.

IV. CONCLUSÃO

Com base no apresentado no item III, foram trazidas as informações concernentes ao DGITS/SECTICS/MS e ao DECIT/SECTICS/MS ao questionado.

ANDREA BRÍGIDA DE SOUZA
Coordenadora
CITEC/DGITS/SECTICS/MS

LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN
Diretora
DGITS/SECTICS/MS

ANA MARIA CAETANO DE FARIA
Diretora
DECIT/SECTICS/MS

[1] https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html

[2] https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes_atencao_integral_pessoa_doencas_raras_SUS.pdf

[3] <https://pesquisasaude.saude.gov.br/>



Documento assinado eletronicamente por **Ana Maria Caetano de Faria, Diretor(a) do Departamento de Ciência e Tecnologia**, em 01/11/2023, às 11:13, 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](#).



Documento assinado eletronicamente por **Luciene Fontes Schluckebier Bonan, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde**, em 01/11/2023, às 12:38, 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](#).

Documento assinado eletronicamente por **Andrea Brigida de Souza,**



Coordenador(a) de Incorporação de Tecnologias, em 01/11/2023, às 13:40, 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 **0037033310** e o código CRC **72C4B4F1**.

Referência: Processo nº 25000.030464/2023-76

SEI nº 0037033310

Coordenação de Incorporação de Tecnologias - CITEC
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br

Ofício nº 949 (SF)

Brasília, em 5 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 Damares Alves, aprovado pela Comissão Diretora do Senado Federal, contido no Requerimento nº 85, de 2023.

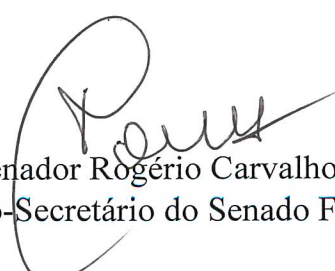
Segue, em anexo, avulso da proposição e cópia do Parecer nº 33, de 2023.

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 Rogério Carvalho
Primeiro-Secretário do Senado Federal

Valdecy David Soares Junior

De: notificacao@servicos.gov.br
Enviado em: quinta-feira, 5 de outubro de 2023 16:33
Para: lucasnavarro2006@gmail.com; COEMAT - Coordenação de Expedição e Acompanhamento de Matérias Legislativas
Assunto: Protocolo Digital - Ministério da Saúde - MS - Nº da Solicitação: 000304.1563514/2023

Registramos o recebimento da solicitação nº 000304.1563514/2023 em 05/10/2023 às 16:32, que se encontra na fase de TRIAGEM. Caso tenha protocolado em nome de outra pessoa, uma notificação também será enviada a ela.

O recibo definitivo contendo o Número Único de Protocolo-NUP será enviado para o e-mail cadastrado no prazo máximo de vinte e quatro horas, contadas do recebimento, salvo quando este ocorrer às sextas-feiras, véspera de feriados ou pontos facultativos ou haja restrição técnica, devidamente fundamentada.

É de exclusiva responsabilidade do usuário verificar as notificações enviadas ao e-mail cadastrado e acompanhar o andamento de sua solicitação no portal gov.br.

Atenciosamente,
Equipe de atendimento Protocolo Digital
Esta é uma mensagem automática e não deve ser respondida.
[Clique aqui](#) para mais informações de sua solicitação.



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº 85, DE 2023

Requer que sejam prestadas, pela Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre as ações deste Ministério da Saúde para pessoas com doenças raras.

AUTORIA: Senadora Damares Alves (REPUBLICANOS/DF)



[Página da matéria](#)



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE

Requer que sejam prestadas, pela Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre as ações deste Ministério da Saúde para pessoas com doenças raras.

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 Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre as ações deste Ministério da Saúde para pessoas com doenças raras.

As pessoas com doenças raras correspondem, segundo dados deste Ministério, a 13 milhões de brasileiros e brasileiras. Esse segmento populacional requer atenção especial e especializada por parte dos órgãos públicos para que seus direitos sejam efetivados.

Considerando a importância desse segmento populacional no país e a preocupação com as decisões tomadas por este Governo Federal em relação a essa população até o presente momento, requer-se informar:

1. as ações, programas e políticas em planejamento e desenvolvidos por este Ministério para as pessoas com doenças raras, com indicação de ato normativo (se houver), diretrizes, objetivos, e metas de cada um deles;
2. os parceiros envolvidos em cada ação, programa e política; e
3. o orçamento (a ser) investido por ação, programa e política.



JUSTIFICAÇÃO

Os últimos quatro anos no Brasil consistiram em divisor de águas para as pessoas com doenças raras. O Governo Federal à época criou, de forma inédita, uma Coordenação-Geral das Pessoas com Doenças Raras no âmbito da Secretaria Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência do Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos, bem como criou o Comitê Interministerial de Doenças Raras por meio do Decreto nº 10.558, de 3 de dezembro de 2020, como órgão de consulta, de estudos e de articulação destinado a estimular o desenvolvimento de políticas públicas intersetoriais no domínio das doenças raras e na sua aplicação; incentivar o intercâmbio de experiências e práticas relevantes no campo das doenças raras entre os órgãos e as entidades da administração pública federal, instituições de pesquisa e entidades representativas de pessoas com doenças raras; apresentar proposta de definição para doenças raras a ser adotada em âmbito nacional; formular estratégias para a coleta, o processamento, a sistematização e a disseminação de informações sobre doenças raras; e incentivar a atuação em rede dos centros especializados, dos hospitais de referência e dos demais locais de atendimento às pessoas com doenças raras da rede pública.

Além disso, o Governo Federal anterior implementou diversas iniciativas para esse público, dentre elas, a Caderneta do Raro (caderneta do Sistema Único de Saúde – SUS para pessoas com doenças raras), a Linha de Cuidado para Condições Raras no SUS, e a incorporação de diferentes medicamentos, como o Zolgensma, para o tratamento de crianças de até seis meses de idade com atrofia muscular espinhal (AME) do tipo I, nos tratamentos ofertados pelo SUS.

Nesse sentido, de 2019 até o início de 2022, somente pelo Ministério da Saúde foram investidos cerca de R\$ 3,8 bilhões em recursos para atender, no SUS, pacientes com doenças raras. O recurso foi empregado no custeio de equipes nos hospitais, triagem neonatal, diagnóstico e novos protocolos para o tratamento das doenças



SF/23367.09584-95 (LexEdit)

(Fonte: <https://agenciabrasil.ebc.com.br/saude/noticia/2022-03/governo-lanca-caderneta-do-sus-para-pessoas-com-doencas-raras#:~:text=Em%20breve%20discurso%2C%20o%20presidente,pessoas%20portadoras%20dessas%20doen%C3%A7as%20raras>).

Os primeiros atos normativos e administrativos tomados pelo novo Governo Federal, porém, apontam para um possível desmonte das políticas voltadas para as pessoas com doenças raras no país, que, segundo dados desta Pasta, correspondiam há cerca de 13 milhões de pessoas no Brasil em 2022. O Decreto nº 11.341, de 1º de janeiro de 2023, que aprova a Estrutura Regimental e o Quadro Demonstrativo dos Cargos em Comissão e das Funções de Confiança do Ministério dos Direitos Humanos e da Cidadania, limita, em seu Art. 26, à Diretoria dos Direitos da Pessoa com Deficiência: “III - coordenar ações referentes ao desenho universal e a cuidados específicos, à promoção dos direitos das pessoas com deficiência, aos dados e às informações sobre as pessoas com deficiência, e sobre doenças raras”.

No mesmo viés, o Decreto nº 11.358, de 1º de janeiro de 2023, que aprova a estrutura deste Ministério da Saúde, não menciona esse público especificamente, e atribui, exclusivamente ao Departamento de Atenção Especializada e Temática, competência de elaborar, coordenar e avaliar política da pessoa com deficiência.

São essas as razões que justificam esta solicitação. É atribuição desta parlamentar (art. 50, § 2º, da Constituição Federal, e art. 216 do Regimento Interno do Senado Federal) acompanhar as políticas públicas desenvolvidas pelo Poder Executivo, dentre elas, as destinadas à população com doenças raras no Brasil.

Sala das Sessões, 28 de fevereiro de 2023.

Senadora Damares Alves
(REPUBLICANOS - DF)