



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 1779/2023/ASPAR/MS

Brasília, 08 de novembro de 2023.

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

Referência: Requerimento de Informação nº 320/2023

Assunto: informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao **Ofício nº 966/2023**, proveniente da Primeira Secretaria do Senado Federal, referente ao **Requerimento de Informação nº 320/2023**, de autoria da Senhora Senadora Mara Gabrilli (PSD/SP), por meio do qual são requisitadas informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde (0033402946) e Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (0034129566).
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 09/11/2023, às 18:44, 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 **0037167530** e o código CRC **C0415901**.

Referência: Processo nº 25000.058518/2023-68

SEI nº 0037167530

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
Gabinete
Coordenação de Gestão Técnica e Administrativa

DESPACHO

SECTICS/COGAD/SECTICS/GAB/SECTICS/MS

Brasília, 10 de maio de 2023.

URGENTE

Referência Sei: 0033402946.

Proveniência: Senadora Mara Gabrilli.

Assunto: Requerimento de Informação nº 320/2023, por meio do qual solicita informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Ciente do teor da Nota Técnica nº 159/2023-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0033402946), elaborada no âmbito do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde, que trata de manifestação acerca do processo de elaboração do PCDT de CLN2.

Restitua-se à Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos (ASPAR), para análise e providências pertinentes.

CARLOS A. GRABOIS GADELHA

Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Carlos Augusto Grabois Gadelha, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde**, em 10/05/2023, às 16:54, 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 **0033467528** e o código CRC **0153AFED**.



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 159/2023-CITEC/DGITS/SECTICS/MS

ASSUNTO: Requerimento de Informação nº 320/2023 – Solicita esclarecimentos acerca da publicação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Lipofuscinose Ceroide Neuronal Tipo 2 - PCDT de CLN 2.

NUP: 25000.058518/2023-68.

INTERESSADO: Senado Federal – Gabinete da Senadora Mara Gabrilli.

I. OBJETIVO

Esta Nota Técnica tem por objetivo apresentar informações sobre o processo de elaboração do PCDT de CLN2.

II. DOS FATOS

Trata-se do Requerimento nº 320/2023 (0033284801), de 17/04/2023, que solicitou o quanto segue:

- "1. Considerando que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCDT da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022 e disponibilizou em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação, por que o protocolo ainda não foi publicado?*
- 2. Em que instância do Ministério da Saúde (MS) se encontra o processo referente à adoção e publicação do PCDT da CLN 2 e qual é o prazo para sua conclusão?*
- 3. Enquanto não há PCDT, como são feitos o diagnóstico e o tratamento da CLN 2?*
- 4. Quais serão os benefícios que os doentes com CLN 2 obterão com a publicação do PCDT da doença?*
- 5. Quais são os prejuízos, para as crianças com CLN 2, decorrentes da demora na publicação do PCDT da doença, que foi concluído pela Conitec e encaminhado à publicação há mais de quatro meses?".*

Os autos foram encaminhados ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde - DGITS/SECTICS/MS, tendo em vista sua competência em atuar como Secretaria-Executiva da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - SE/Conitec^[11].

III. DA ANÁLISE

Considerando as competências deste Departamento, insculpidas no art. 36 do Decreto nº 11.358, de 1º de janeiro de 2023, serão respondidos os questionamentos 1 e 2.

O PCDT de CLN2 foi objeto de pauta da 115ª Reunião Ordinária^[2], ocorrida no dia 1º de dezembro de 2022, ocasião em que os membros presentes recomendaram, por unanimidade, sua aprovação. O Protocolo estabelece os critérios de elegibilidade dos pacientes, abordagem terapêutica, incluindo o tratamento das manifestações clínicas bem como o medicamentoso, mecanismos de controle clínico e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos.

O documento contendo a recomendação da Conitec foi encaminhado à Secretaria da então Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde – SCTIE/MS^[3], que o enviou, conforme rito previsto no art. 22 do Decreto nº 7.646/2011^[4], no dia 09/12/2022, à Secretaria de Atenção Especializada à Saúde - SAES/MS, para análise e manifestação, com posterior retorno à Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde - SECTICS/MS para providências quanto à publicação da decisão no Diário Oficial da União - DOU. Até o momento não houve retorno da Secretaria.

Dessa forma, sugere-se o encaminhamento da demanda à SAES/MS para manifestação quanto ao trâmite necessário à publicação.

Conforme Relatório de Recomendação (0033404236) submetido à consulta pública, que contém a versão preliminar do Protocolo^[5], serão incluídos:

"[...] todos os pacientes com diagnóstico de CLN2 confirmado, de acordo com os critérios abaixo relacionados, os quais devem ser comprovados por laudo/relatório médico e pela cópia dos exames realizados:

- a) Atividade deficiente da enzima TPP1 (no plasma/leucócitos); **e***
- b) Variantes patogênicas bialélicas identificadas no gene CLN2.*

*Adicionalmente, para início da terapia de reposição enzimática (TRE) com alfacerliponase, em qualquer idade, os pacientes devem apresentar escore mínimo ≥ 1 no domínio motor e no domínio linguagem, e soma das pontuações dos domínios motor e linguagem na escala CLN2 ≥ 3 (**Quadro 1**)¹⁹. Os pacientes que já estiverem em uso de alfacerliponase, quando da publicação deste Protocolo, deverão ser reavaliados para verificação dos critérios de inclusão.".*

A abordagem terapêutica da CLN2 envolve uma equipe multiprofissional, incluindo fonoaudiólogos, fisioterapeutas, terapeutas ocupacionais, equipe de enfermagem, equipe de assistência psicológica e social e diferentes especialidades na área da saúde. O tratamento inclui intervenções não específicas, realizadas no nível do fenótipo clínico, e específicas, realizadas no nível da proteína mutante, como a terapia de reposição enzimática. A versão preliminar do Protocolo prevê a avaliação e o tratamento das principais manifestações clínicas e preconiza o uso do medicamento alfacerliponase^[5].

Considerando que a SAES/MS é a área responsável pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, sugere-se o envio dos autos à área para que se manifeste sobre os questionamentos 3, 4 e 5.

IV. DA DISPONIBILIZAÇÃO DE INFORMAÇÕES NA INTERNET

As demandas, as consultas públicas e deliberações de matérias submetidas à apreciação da Conitec, bem como os relatórios técnicos e as decisões sobre incorporação de tecnologias ao SUS, podem ser acompanhados por meio de acesso ao endereço eletrônico: <https://www.gov.br/conitec/pt-br>.

V. CONCLUSÕES

Com base no apresentado nos itens anteriores, conclui-se:

1. após recomendação de aprovação do PCDT de CLN2, durante a 115^a Reunião Ordinária da Conitec, os autos foram encaminhados à então Secretaria da SCTIE/MS, que o enviou à Secretaria da SAES/MS, para análise e manifestação, com posterior retorno à SECTICS/MS para providências quanto à publicação da decisão no DOU. Até o momento não houve retorno da Secretaria;
2. a versão preliminar do Protocolo dispõe sobre a abordagem terapêutica da CLN2 e envolve uma equipe multiprofissional. O tratamento inclui intervenções não específicas, realizadas no nível do fenótipo clínico, e específicas; e
3. sugere-se o envio do expediente à SAES/MS para manifestação quanto ao trâmite necessário à publicação do PCDT de CLN2 e ao questionado nos itens 3, 4 e 5, tendo em vista ser a área responsável pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras.

ANDREA BRÍGIDA DE SOUZA

Coordenadora

CITEC/DGITS/SECTICS/MS

LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN

Diretora

DGITS/SECTICS/MS

[1] De acordo com o art. 13 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, a SE/Conitec é exercida pelo DGITS/SECTICS/MS.

[2] https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/reuniao_conitec/2022/ata_da_115_reuniao_da_conitec_retificada.pdf

[3] Com a entrada em vigor do Decreto nº 11.358, de 1º de janeiro de 2023, a SCTIE/MS passou a se chamar Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde – SECTICS/MS.

[4] http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/ato2011-2014/2011/decreto/d7646.htm

[5] https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/consultas/relatórios/2022/20221031_PCDT_CLN2_CP72.pdf

[6] https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html

[7] https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/2022/20220425_relatorio_706_alfacerliponase_cln2_pos_audiencia.pdf

Documento assinado eletronicamente por **Luciene Fontes Schluckebier Bonan, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde**, em 10/05/2023, às 00:56, 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 10/05/2023, às 09:22, 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 **0033402946** e o código CRC **CBCA4E58**.

Referência: Processo nº 25000.058518/2023-68

SEI nº 0033402946

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



Ministério da Saúde
Secretaria de Atenção Especializada à Saúde
Gabinete

DESPACHO

SAES/GAB/SAES/MS

Brasília, 12 de julho de 2023.

RESTITUA-SE à Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR/MS, para conhecimento e providências, informando que estou de acordo com o conteúdo do Despacho CGAE/DAET (0034129566), emitido pelo Departamento de Atenção Especializada e Temática, desta Secretaria.

HELVÉCIO MIRANDA MAGALHÃES JÚNIOR
Secretário de Atenção Especializada à Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Helvécio Miranda Magalhães Júnior, Secretário(a) de Atenção Especializada à Saúde**, em 12/07/2023, às 19:38, 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](#).



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 **0034703209** e o código CRC **4FD1B03E**.

Referência: Processo nº 25000.058518/2023-68

SEI nº 0034703209



Ministério da Saúde
Secretaria de Atenção Especializada à Saúde
Departamento de Atenção Especializada e Temática
Coordenação-Geral de Atenção Especializada

DESPACHO

DAET/CGAE/DAET/SAES/MS

Brasília, 14 de junho de 2023.

Referência Sei: 0033284801.

Proveniência: Senadora Mara Gabrilli

Assunto: Requerimento de Informação nº 320/2023 – Solicita esclarecimentos acerca da publicação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Lipofuscinose Ceroide Neuronal Tipo 2 - PCDT de CLN 2.

1. Trata-se do Requerimento de Informação nº 320/2023 (0033284801), de 17/04/2023, que solicitou o que se segue:

"1. Considerando que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCDT da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022 e disponibilizou em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação, por que o protocolo ainda não foi publicado?"

"2. Em que instância do Ministério da Saúde (MS) se encontra o processo referente à adoção e publicação do PCDT da CLN 2 e qual é o prazo para sua conclusão?"

"3. Enquanto não há PCDT, como são feitos o diagnóstico e o tratamento da CLN 2?"

"4. Quais serão os benefícios que os doentes com CLN 2 obterão com a publicação do PCDT da doença?"

"5. Quais são os prejuízos, para as crianças com CLN 2, decorrentes da demora na publicação do PCDT da doença, que foi concluído pela Conitec e encaminhado à publicação há mais de quatro meses?"

2. Os autos foram inicialmente encaminhados ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde - DGITS/SECTICS/MS e, em seguida, encaminhados para DAET/SAES/MS, responsável pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, para manifestação sobre os questionamentos 3, 4 e 5.

3. A fim de garantir a objetividade no atendimento do requerimento de informações, passa-se à análise das perguntas 3, 4, 5.

Acerca do questionamento "Enquanto não há PCDT, como são feitos o diagnóstico e o tratamento da CLN 2?

4. Em primeiro lugar, cumpre esclarecer que os Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) são documento técnico elaborado pelo Ministério da Saúde do Brasil que tem como objetivo estabelecer critérios para o diagnóstico, tratamento e acompanhamento de determinadas doenças ou condições de saúde. São utilizados como orientadores para que os profissionais de saúde façam sua tomada de decisão clínica de forma racional, mediante uso das melhores evidências disponíveis e seguindo os melhores padrões técnicos, com fito de promover a padronização e a qualidade dos cuidados ofertados pelo Sistema Único de Saúde (SUS) no Brasil. Contudo, a ausência de um PCDT não é impeditiva para consecução do Direito à Saúde, devendo os serviços de saúde habilitados, mediante a expertise técnica de suas equipes multiprofissionais, ofertar o melhor cuidado disponível com base em boas práticas clínicas, humanizadas e de acordo com a tecnologia disponível no momento. A Secretaria de Atenção Especializada em Saúde do MS, mediante atuação de suas áreas técnicas, trabalha com afinco e dedicação, a fim de garantir o cuidado integral à saúde da população brasileira.

5. No que se refere ao diagnóstico e tratamento de Lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2 (CLN2), trata-se de uma doença ultrarrara crônica, grave, progressiva e que pode ter prognóstico ruim. Sabe-se que sua forma clássica afeta crianças entre dois e quatro anos de idade, o que pode resultar em morte precoce, geralmente por volta da segunda ou terceira décadas de vida. Por tratar-se de doença pediátrica cujos principais sintomas são neurológicos (atraso na linguagem, crises convulsivas, ataxia de marcha, declínio cognitivo progressivo, perda de função motora, perda visual progressiva, alterações motoras) é importante a atuação conjunta de equipes da atenção básica na identificação de sinais de alerta com o consequente encaminhamento das crianças com suspeita para ambulatórios especializados nos quais haverá investigação da hipótese diagnóstica com confirmação, geralmente realizada por ação integrada entre geneticistas e neuropediatras. Cabe salientar que há serviços habilitados no SUS que são capazes de acolher essas crianças e suas famílias, reduzindo assim as longas jornadas diagnósticas aos quais estão sujeitas as pessoas com doenças raras.

6. A atrofia cerebelar grave é o principal sinal presente na ressonância magnética de crânio e a fotosensibilidade detectada pelo eletroencefalograma (EEG) é um marcador precoce de CLN2. A realização de EEG é recomendada no diagnóstico da condição e, após, a cada 6 meses ou conforme o curso da doença individual. A confirmação do diagnóstico da condição envolve exames bioquímicos e genéticos que deverão ser realizados sempre que houver suspeita clínica dessa doença. Cabe salientar que os serviços de diagnóstico por imagem encontram-se disponíveis na rede de atenção à saúde. No momento, o Departamento de Atenção Especializada e Temática da SAES/MS tem buscado construir estratégias para a disponibilização de exames genéticos no SUS, reconhecidamente necessários para a confirmação da doença.

7. Em síntese, o diagnóstico da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 é geralmente feito por um neurologista pediatra ou geneticista, com base nos sintomas clínicos, histórico familiar e exames laboratoriais e de imagem.

8. O cuidado em saúde é orientado para a suporte clínico e paliativo, com minimização dos sinais e sintomas, bem como apoio às necessidades do paciente, visando garantir qualidade de vida. O cuidado aos pacientes com CLN2

precisa ser de natureza multidisciplinar, incluindo atuação de médicos, enfermeiros, fisioterapeutas, nutricionistas, fonoaudiólogos, psicólogos, entre outros profissionais da saúde. Para se atingir os melhores resultados possíveis, independentemente da modalidade terapêutica adotada, é essencial que um diagnóstico em tempo oportuno seja realizado, devido ao caráter progressivo da doença com estabelecimento de sequelas permanentes. De maneira específica, o SUS oferta para estes pacientes:

Terapia ocupacional e fisioterapia, mediante atuação de ambulatórios e centros especializados em reabilitação (CER), que ajudam a melhorar a função motora, a força muscular e a independência do paciente no desempenho das atividades diárias.

Terapia medicamentosa, como anticonvulsivantes, corticóides, suplementos e outras classes de medicamentos que podem ajudar no controle de sinais, sintomas e na amenização da progressão da doença.

Serviços de fonoaudiologia, nos casos em que houver perda da capacidade de comunicação das crianças afetadas, apoiando no desenvolvimento de estratégias de comunicação não verbal e na deglutição de alimento.

9. Todos esses serviços podem ser encontrados nas diferentes unidades de atenção especializada do SUS por todos os estados da Federação.

10. Cabe salientar que esforços estão sendo envidados pelas equipes técnicas no sentido de garantir a disponibilidade da Terapia de Reposição Enzimática prevista no PCDT, seguindo os procedimentos administrativos cabíveis, o que envolve a criação, inclusão ou alteração dos procedimentos da "Tabela SUS" (Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS), com vistas a oferta efetiva da tecnologia em saúde incorporada, pelas Secretarias de Saúde dos Estados, Distrito Federal e Municípios. Também é necessário salientar que deve haver pactuação acerca da disponibilização da terapia disposta no PCDT na Tripartite.

Acerca do questionamento “Quais serão os benefícios que os doentes com CLN 2 obterão com a publicação do PCDT da doença?”

11. O relatório de recomendação (disponível em https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/2022/20221031_pcdt_cln2 - cp72.pdf) para proposta de elaboração de PCDT para Lipofuscinose Ceróide Neuronal tipo 2 (CLN2) decorre da decisão de incorporar no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), a alfacerliponase para tratamento da CLN2, trazendo informações sobre a doença e dispondo sobre critérios de diagnóstico, acompanhamento e tratamento, bem como orientar o uso da terapia de reposição enzimática alfacerliponase.

12. Resumidamente, o tratamento com alfacerliponase intracerebroventricular demonstrou a redução ou declínio mais lento das funções motoras e de linguagem nas crianças tratadas em comparação com crianças não tratadas.

13. A publicação do PCDT trará orientações gerais acerca do tratamento clínico para CLN2 no SUS e, em particular, orientará o uso e a adequada prescrição da terapia de reposição enzimática com alfacerliponase. O uso da terapia se somará ao conjunto de tratamentos já ofertados para as pessoas afetadas pela doença no SUS.

Acerca do questionamento "Quais são os prejuízos, para as crianças com CLN 2, decorrentes da demora na publicação do PCDT da doença, que foi concluído pela Conitec e encaminhado à publicação há mais de quatro meses?"

14. Conforme esclarecido nos itens anteriores, a prescrição de tratamento com alfacerliponase intracerebroventricular tem o objetivo de reduzir a perda das funções motoras e de linguagem decorrentes dos níveis inadequados da proteína TPP1 (deficiência de tripeptidil peptidase 1), melhorando o prognóstico do paciente. Mas não se trata de uma terapia de cura. A alfacerliponase é uma forma recombinante da enzima TPP1, isto é, trata-se da reposição desta enzima no organismo do paciente. Na ausência desta terapia, pode ocorrer a progressão dos sinais e sintomas que poderão ser controlados pelos tratamentos combinados e multiprofissionais ofertados pelo SUS e que podem garantir suporte e qualidade de vida do paciente.

15. Diante do exposto, o DAET/SAES/MS esclarece que o processo de disponibilização da tecnologia está em discussão interna e que tem procedido os trâmites administrativos necessários para efetivar a oferta alfacerliponase para tratamento da Lipofuscinose Ceroide Neuronal tipo 2 (CLN2), por meio da proposta de criação do procedimento na "Tabela do SUS", que viabilizará a oferta para todos os usuários do SUS.

16. RESTITUA-SE ao GAB/SAES, para prosseguimento junto à ASPAR/MS.

ALISSON MACIEL DE FARIA

Coordenador-Geral

Coordenação-Geral de Doenças Raras - CGRARAS/DAET/SAES/MS

RODRIGO CARIRI CHALEGRE DE ALMEIDA

Coordenador-Geral

Coordenação-Geral de Atenção Especializada - CGAE/DAET/SAES/MS

SUZANA RIBEIRO

Diretora

Departamento de Atenção Especializada e Temática - DAET/SAES/MS

Secretaria de Atenção Especializada à Saúde - SAES/MS



Documento assinado eletronicamente por **Rodrigo Cariri Chalegre de Almeida, Coordenador(a)-Geral de Atenção Especializada**, em 16/06/2023, às 11:56, 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 **Alisson Maciel de Faria Marques, Coordenador(a)-Geral de Doenças Raras**, em 21/06/2023, às 13:06, 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 **Suzana Cristina Silva Ribeiro**, **Diretor(a) do Departamento de Atenção Especializada e Temática**, em 11/07/2023, às 23:08, 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 **0034129566** e o código CRC **3E0A5AFA**.

Referência: Processo nº 25000.058518/2023-68

SEI nº 0034129566



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO N° 320, DE 2023

Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

AUTORIA: Senadora Mara Gabrilli (PSD/SP)



[Página da matéria](#)



SENADO FEDERAL
Gabinete da Senadora Mara Gabrilli

REQUERIMENTO N° DE

Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

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 a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Nesses termos, requisita-se:

1. Considerando que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCDT da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022 e disponibilizou em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação, por que o protocolo ainda não foi publicado?

2. Em que instância do Ministério da Saúde (MS) se encontra o processo referente à adoção e publicação do PCDT da CLN 2 e qual é o prazo para sua conclusão?
3. Enquanto não há PCDT, como são feitos o diagnóstico e o tratamento da CLN 2?
4. Quais serão os benefícios que os doentes com CLN 2 obterão com a publicação do PCDT da doença?
5. Quais são os prejuízos, para as crianças com CLN 2, decorrentes da demora na publicação do PCDT da doença, que foi concluído pela Conitec e encaminhado à publicação há mais de quatro meses?

JUSTIFICAÇÃO

A Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2), também conhecida como doença de Batten, é uma doença ultra rara progressiva e degenerativa, que leva a criança à morte precoce. Essa doença se manifesta com crises epiléticas tônico-clônicas, desvio do olhar, taquicardia, suor frio, cianose e piora progressiva da coordenação motora.

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCTD da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022, disponibilizando em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação. Contudo, passados mais de quatro meses, o PDCT da CLN 2 ainda não foi publicado no Diário Oficial da União (DOU) e, segundo informações, o processo ainda encontra-se na Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, do Ministério da Saúde (SAES/MS).

A demora na publicação impede que os doentes tenham acesso às melhores tecnologias diagnósticas e terapêuticas baseadas em evidências

e aprovadas para serem incorporadas ao SUS por decisão da instância técnica responsável, decisão essa tomada após o longo processo de análise necessário à elaboração de um PDCT.

Assim, considerando os inquestionáveis prejuízos dessa delonga para as crianças com CLN 2 e seus familiares, e em respeito ao nosso dever constitucional de fiscalizar as ações e omissões do Poder Executivo, apresentamos este Requerimento para obter as informações capazes declarear nossa compreensão sobre essa situação.

Sala das Sessões, 17 de abril de 2023.

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

Ofício nº 966 (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 320, de 2023.

Segue, em anexo, avulso da proposição e cópia do Parecer nº 61, 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: apoioresa@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° 320, DE 2023

Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

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 a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

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 a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Nesses termos, requisita-se:

1. Considerando que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCDT da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022 e disponibilizou em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação, por que o protocolo ainda não foi publicado?

2. Em que instância do Ministério da Saúde (MS) se encontra o processo referente à adoção e publicação do PCDT da CLN 2 e qual é o prazo para sua conclusão?
3. Enquanto não há PCDT, como são feitos o diagnóstico e o tratamento da CLN 2?
4. Quais serão os benefícios que os doentes com CLN 2 obterão com a publicação do PCDT da doença?
5. Quais são os prejuízos, para as crianças com CLN 2, decorrentes da demora na publicação do PCDT da doença, que foi concluído pela Conitec e encaminhado à publicação há mais de quatro meses?

JUSTIFICAÇÃO

A Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2), também conhecida como doença de Batten, é uma doença ultra rara progressiva e degenerativa, que leva a criança à morte precoce. Essa doença se manifesta com crises epiléticas tônico-clônicas, desvio do olhar, taquicardia, suor frio, cianose e piora progressiva da coordenação motora.

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCTD da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022, disponibilizando em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação. Contudo, passados mais de quatro meses, o PDCT da CLN 2 ainda não foi publicado no Diário Oficial da União (DOU) e, segundo informações, o processo ainda encontra-se na Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, do Ministério da Saúde (SAES/MS).

A demora na publicação impede que os doentes tenham acesso às melhores tecnologias diagnósticas e terapêuticas baseadas em evidências

e aprovadas para serem incorporadas ao SUS por decisão da instância técnica responsável, decisão essa tomada após o longo processo de análise necessário à elaboração de um PDCT.

Assim, considerando os inquestionáveis prejuízos dessa delonga para as crianças com CLN 2 e seus familiares, e em respeito ao nosso dever constitucional de fiscalizar as ações e omissões do Poder Executivo, apresentamos este Requerimento para obter as informações capazes declarear nossa compreensão sobre essa situação.

Sala das Sessões, 17 de abril de 2023.

Senadora Mara Gabrilli
(PSD - SP)



SENADO FEDERAL

PARECER (SF) Nº 61, DE 2023

Da COMISSÃO DIRETORA DO SENADO FEDERAL, sobre o Requerimento nº 320, de 2023, da Senadora Mara Gabrilli, que Requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

PRESIDENTE: Senador Rodrigo Pacheco

RELATOR: Senador Rodrigo Cunha

03 de outubro de 2023



SENADO FEDERAL
Gabinete da Segunda Vice-Presidência

PARECER N° , DE 2023

Da COMISSÃO DIRETORA, sobre o Requerimento nº 320, de 2023, da Senadora Mara Gabrilli, que *requer que sejam prestadas, pela Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade, informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten – necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).*

Relator: Senador **RODRIGO CUNHA**

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 Ministra de Estado da Saúde preste informações sobre a publicação de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Lipofuscinose Ceróide Neuronal Tipo 2 (CLN 2) – também conhecida como doença de Batten –, necessário para orientar o tratamento das pessoas com a doença no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Sua Excelência requisita especificamente resposta aos seguintes questionamentos:

1. *Considerando que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) concluiu a elaboração do PCDT da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022 e disponibilizou em sua página eletrônica a informação de que ele foi encaminhado à publicação, por que o protocolo ainda não foi publicado?*



SENADO FEDERAL
Gabinete da Segunda Vice-Presidência

2. *Em que instância do Ministério da Saúde (MS) se encontra o processo referente à adoção e publicação do PCDT da CLN 2 e qual é o prazo para sua conclusão?*
3. *Enquanto não há PCDT, como são feitos o diagnóstico e o tratamento da CLN 2?*
4. *Quais serão os benefícios que os doentes com CLN 2 obterão com a publicação do PCDT da doença?*
5. *Quais são os prejuízos, para as crianças com CLN 2, decorrentes da demora na publicação do PCDT da doença, que foi concluído pela Conitec e encaminhado à publicação há mais de quatro meses?*

Em sua justificativa, a Senadora esclarece que a Conitec *concluiu a elaboração do PCTD da CLN 2 no dia 21 de novembro de 2022*, mas o PDCT ainda não foi publicado e o processo ainda está na Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, do Ministério da Saúde (SAES/MS). Pondera que *a demora na publicação impede que os doentes tenham acesso às melhores tecnologias diagnósticas e terapêuticas baseadas em evidências e aprovadas para serem incorporadas ao SUS*, com inquestionáveis prejuízos para as crianças com CLN 2 e seus familiares.

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.

O RISF, em seu art. 216, inciso I, especifica que esses pedidos serão admissíveis para esclarecimento de qualquer assunto atinente à competência fiscalizadora desta Casa. Consideramos que o requerimento em pauta cuida de assunto atinente à competência fiscalizadora do Poder



SENADO FEDERAL
Gabinete da Segunda Vice-Presidência

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.

O inciso II do art. 216 do Regimento Interno enumera as únicas razões que podem ensejar o indeferimento de um requerimento de informações por parte da Mesa desta Casa Legislativa: a existência de pedido de providência, consulta, sugestão, conselho ou interrogação sobre propósito da autoridade a quem se dirige. Entendemos que o requerimento analisado não incorre em nenhuma dessas hipóteses.

III – VOTO

Pelo exposto, votamos pela **aprovação** do Requerimento nº 320, 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 320/2023)

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