



SENADO FEDERAL

REQUERIMENTO Nº DE

Requer que sejam prestadas, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Padilha, informações sobre o registro do medicamento Izcargo (pabinafusp-alfa) e de outros produtos farmacêuticos destinados ao tratamento de 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, pelo Senhor Ministro de Estado da Saúde, Alexandre Padilha, informações sobre o registro do medicamento Izcargo (pabinafusp-alfa) e de outros produtos farmacêuticos destinados ao tratamento de doenças raras.

Nesses termos, requisita-se resposta às seguintes indagações:

1. Que medicamentos estão registrados na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) para o tratamento da síndrome de Hunter? Entre esses produtos, quais são capazes de ultrapassar a barreira hematoencefálica, para que possam atuar também nas células do sistema nervoso central?
2. Em que fase de avaliação está o processo de registro do medicamento Izcargo® (pabinafusp alfa)?



3. Que exigências ainda devem ser cumpridas para que o Izcarg[®] receba o registro e, assim, possa ser disponibilizado para as pessoas com síndrome de Hunter?
4. A existência de registro do Izcarg[®] concedido à empresa JCR Pharmaceuticals pela autoridade sanitária do Japão (*Ministry of Health, Labour and Welfare*) pode colaborar, de alguma maneira, para que haja maior celeridade na concessão do registro do medicamento Izcarg[®]?
5. O Ministério da Saúde e a Anvisa têm ciência de que a farmacêutica JCR escolheu o Brasil como o segundo país a testar a fase do II Izcarg[®] e, posteriormente, submetê-lo para avaliação de registro? Pela primeira vez o Brasil esteve na vanguarda de um ensaio clínico, que pode ser um exemplo regulatório para atrair novas pesquisas de terapias para doenças raras. Há interesse por parte do Ministério da Saúde de usar a experiência com este medicamento, como meio de o Brasil se tornar um país de vanguarda, atrativo para novos testes e registros de tecnologias inovadoras, nos igualando às grandes potências econômicas?
6. O arts. 14 e 15 da Resolução da Diretoria Colegiada nº 205, de 28 de dezembro de 2017, da Anvisa, flexibilizam o processo de concessão de registro para medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, admitindo a apresentação de complementação de dados e provas adicionais posteriormente à concessão do registro, mediante a assinatura de termo de compromisso com esse propósito. Essa modalidade está sendo aplicada no processo de registro do medicamento Izcarg[®]? Quais são os eventuais empecilhos que impedem a utilização dessa citada flexibilização à concessão do registro do medicamento Izcarg[®]?
7. A Anvisa se valeu da Lei das *Startups* – Lei Complementar nº 182, de 1º de junho de 2021 – para publicar o Edital de Chamamento



nº 11, de 8 de agosto de 2024, destinado a coletar contribuições ao documento Relatório Parcial de Análise de Impacto Regulatório (AIR), referente ao estabelecimento de modelo de Ambiente Regulatório Experimental (*Sandbox* Regulatório) para a Agência. Quais são as medidas e as iniciativas previstas, no âmbito desse *Sandbox* Regulatório, para o tema do registro de produtos destinados à terapia de doenças raras? A Anvisa pretende flexibilizar as regras, para que o registro e a autorização de uso de tais produtos sejam realmente facilitados?

JUSTIFICAÇÃO

A Síndrome de Hunter (SH) – também conhecida como mucopolissacaridose tipo II (MPS II) – é uma doença rara ligada caracterizada pela atividade deficiente da enzima iduronato-2-sulfatase (IDS), que atua na degradação de glicosaminoglicanos (GAG), compostos que são produzidos pelo organismo. Com isso, os GAG não são eliminados adequadamente e se acumulam nos diversos tecidos, gerando consequências sistêmicas.

As manifestações clínicas, que podem se iniciar já nos primeiros meses de vida, são heterogêneas e progressivas e, de acordo com a ocorrência de regressão neurológica, a doença pode ser classificada em grave ou atenuada. Os sintomas mais comuns da SH abrangem: alterações faciais, rigidez articular, hepatoesplenomegalia, perda auditiva, degeneração da retina, dificuldade para falar e de se movimentar, infecções respiratórias frequentes, surgimento de hérnias e lesões frequentes na pele, apneia obstrutiva do sono, hidrocefalia, baixa estatura, além de alterações neurológicas, podendo haver deficiência cognitiva.

Desde 2008, foi aprovado tratamento para a doença por meio do fármaco idursulfase, mas esse princípio ativo não ultrapassa a barreira hematoencefálica e, portanto, não intervém adequadamente na evolução da



doença na maioria dos pacientes, que apresentam repercussões neurológicas progressivas.

Contudo, um novo e promissor medicamento foi desenvolvido e recebeu registro sanitário no Japão em 2021, sob o nome de Izcargos[®] (com princípio ativo pabinafusp alfa), para a terapia da síndrome de Hunter. Esse fármaco, que atravessa a barreira hematoencefálica e atua sobre os efeitos neurológicos, está sendo utilizado no Brasil em testes de fase III em cerca de 10% das pessoas com a doença no País desde 2022 e para ele já há pedido de concessão de registro, solicitado nesse mesmo ano, junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Essa nova formulação renovou a esperança das famílias e pacientes, que aguardam há quase três anos a concessão de seu registro pela Anvisa. Por essa razão, consideramos ser de interesse público a busca de informações sobre o processo de concessão de seu registro, que pode mudar a vida desses brasileiros e, portanto, deve ser concluído em prazo razoável.

Dentro dessa mesma temática, julgamos oportuno questionar as autoridades sanitárias quanto à intenção de se flexibilizarem as regras regulatórias em favor da facilitação da concessão do registro e da autorização de uso de terapias destinadas ao tratamento de doenças raras.

Certos de que a preservação da saúde e de vidas é primordial – e também princípio suficiente para que ocorra a flexibilização de regramentos sanitários, como ocorreu na pandemia da covid-19 –, apresentamos o presente requerimento de informações.

Sala das Sessões, 7 de março de 2025.

Senadora Mara Gabrilli
(PSD - SP)

