

# COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

## PROJETO DE LEI Nº 2.657, DE 2015

Altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre o registro e a importação, por pessoa física, de medicamento órfão, a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para a avaliação e a incorporação de medicamento órfão, e a Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, para especificar que, na definição e no reajuste de preços de medicamentos órfãos, a comparação de preços deve-se restringir aos medicamentos dessa categoria.

**Autor:** SENADO FEDERAL

**Relator:** Deputado DARCÍSIO PERONDI

### I – RELATÓRIO

O Projeto de Lei em epígrafe tem o objetivo de disciplinar alguns aspectos relacionados aos medicamentos órfãos, que seriam definidos como aqueles destinados ao tratamento de doença rara, cuja prevalência não exceda o índice previsto em regulamento. A proposta permite também a importação desse tipo de medicamento por pessoa física e para uso exclusivamente individual e não comercial quando prescrito por profissional devidamente habilitado e independente do produto ter sido registrado junto à autoridade sanitária.

Além disso, o registro desse tipo de produto teria normas e critérios específicos, definidos por regulamento, no intuito de evitar que as limitações enfrentadas pelos estudos clínicos, como a participação de poucos pacientes, inviabilizem seu futuro registro. As especificidades econômicas do mercado poderiam justificar a diferenciação de critérios na fixação do preço de medicamento órfão.

A dispensação desse tipo de medicamento observaria diretrizes especiais, quais sejam: cadastramento do paciente em base de dados nacional; atendimento da prescrição, acompanhada de relatório médico, realizada por profissional de saúde legalmente habilitado e em exercício no SUS ou em serviço privado de assistência à saúde; obrigatoriedade de renovação da prescrição a cada 6 (seis) meses; dispensação imediata e fornecimento ininterrupto, para evitar atraso ou descontinuidade do tratamento.

Ademais, na avaliação sobre a possibilidade de incorporação de fármacos direcionados à doença rara, o critério de efetividade clínica terá precedência sobre o de custo-efetividade. A proposta prevê, ainda, critério específico para o cálculo do fator de ajuste de preços, a ser definido em regulamento.

A matéria foi distribuída para a apreciação conclusiva das Comissões de Seguridade Social e Família e de Constituição e Justiça e de Cidadania.

## **II – VOTO DO RELATOR**

Compete a esta Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF avaliar o mérito da matéria perante o direito à saúde e o sistema público de saúde, nos termos do art. 32, inciso XVII, c/c art. 55 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados.

O direito à saúde é universal, inerente à natureza humana e intimamente vinculado ao direito à vida e à dignidade. E o acesso à terapêutica adequada constitui um importante aspecto na proteção e recuperação da saúde. Esse acesso também deve acontecer de maneira universal, ou seja, todo ser humano tem o direito de acesso às terapêuticas necessárias à proteção e ao restabelecimento de sua saúde.

As chamadas “doenças raras” agrupam moléstias com incidência muito baixa na população e geralmente são muito complexas, sobre as quais o homem detém pouco ou nenhum conhecimento. Geralmente suas causas e mecanismos de atuação não são completamente conhecidos, o que dificulta muito o desenvolvimento de terapias, métodos diagnósticos e medidas preventivas.

Ademais, a raridade da doença serve como desestímulo aos estudos e à pesquisa científica. A indústria farmacêutica, apesar de investir

bilhões de dólares em pesquisa e desenvolvimento de novos fármacos, não costuma destinar investimentos para estudar uma doença rara e desenvolver fármacos para o seu tratamento, pois o retorno financeiro que seria proporcionado por eventuais produtos comerciais seria muito pequeno, ou mais provavelmente traria prejuízos.

A decisão sobre como investir é determinada pela demanda futura e esperada do produto a ser desenvolvido. O potencial mercado de medicamentos para doenças raras é muito limitado para servir de estímulo à busca de lucro pelas indústrias farmacêuticas. Por isso, os laboratórios concentram seus estudos e sua produção naqueles produtos que possam ser consumidos por um maior número de pessoas e, conseqüentemente gerar um maior retorno financeiro.

Os medicamentos direcionados às doenças raras, quando existentes, são conhecidos como “órfãos” e geralmente são os únicos tratamentos disponíveis. Saliente-se que essas moléstias costumam ser muito complexas e produzem um quadro clínico grave nas pessoas afetadas. Além disso, os produtos farmacêuticos disponíveis para as patologias raras na maioria dos casos tratam apenas os sintomas da doença e não conseguem combater a sua causa direta, apenas as suas conseqüências.

Vale ressaltar que além dos obstáculos relacionados à terapêutica específica, algumas doenças são tão raras e tão pouco estudadas que até o diagnóstico fica comprometido. Muitas vezes o paciente peregrina por muitos anos para descobrir qual a patologia o acomete, sem sucesso, por causa da inexistência de profissional capacitado que detenha o conhecimento sobre a moléstia. Também não existem métodos de diagnóstico ou exames complementares úteis na descoberta da patologia.

Como se não bastassem tais obstáculos, muitas vezes as exigências sanitárias que são aplicáveis aos medicamentos também podem restringir o acesso a produtos que poderiam ter utilidade e eficácia terapêutica para determinadas doenças. É o caso da existência de um medicamento, registrado e comercializado em outro país, mas que ainda não foi registrado no Brasil, o que inviabiliza a importação do produto diretamente pelo paciente.

Outro aspecto que merece ser salientado diz respeito aos testes clínicos realizados nas fases de estudos de fármacos voltadas para doenças raras. Geralmente, em face do reduzido número de pacientes que

podem participar desses testes, os resultados e conclusões obtidos podem ser insuficientes para fundamentar o pedido de registro sanitário. A insuficiência de elementos confiáveis, principalmente em face da pequena amostra, nos quais o Poder Público procederá a sua análise, pode levar à negativa do registro.

Por isso que o projeto em comento propõe a definição de critérios e requisitos diferenciados para o registro de medicamentos órfãos. Essa relativização do rigor que recai sobre o comércio de fármacos é adotada em outros países, como os componentes da União Europeia, por exemplo.

Portanto, os obstáculos citados anteriormente são fatores que limitam o acesso das pessoas que têm alguma doença rara à terapia. O projeto em análise consiste em uma tentativa meritória em minimizar tais problemas ao permitir maior margem de atuação discricionária por parte da autoridade sanitária federal nos aspectos que possam envolver a avaliação de medicamentos úteis ao tratamento de doenças raras.

Dessa forma, considero que o presente projeto vem se somar à política nacional sobre doenças raras e pode contribuir para a melhoria da atenção direcionada aos portadores de moléstias de baixa incidência. A iniciativa mostra-se, assim, de elevado mérito para o direito à saúde e merece ser acolhida por este Colegiado.

Ante todo o exposto, VOTO pela APROVAÇÃO do Projeto de Lei nº 2.657, de 2015.

Sala da Comissão, em        de maio de 2018.

Deputado **DARCÍSIO PERONDI**  
Relator