

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

PROJETO DE LEI Nº 3.302, DE 2015

Apensados: PL nº 4.345/2016, PL nº 4.812/2016, PL nº 4.818/2016, PL nº 5.017/2016, PL nº 5.998/2016 e PL nº 705/2019

Dispõe sobre a aplicação mínima de recursos para a pesquisa e o desenvolvimento de diagnósticos, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras, e destina parcela dos recursos recuperados em ações de ressarcimento ao erário da União às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde.

Autor: Deputado PEDRO CUNHA LIMA

Relatora: Deputada GEOVANIA DE SÁ

I - RELATÓRIO

O Projeto de Lei (PL) nº 3.302, de 2015, do Deputado Pedro Cunha Lima, altera dispositivos da Lei nº 10.332, de 2001, para destinar percentual de recursos de programas nela previstos (Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde e Programa Biotecnologia e Recursos Genéticos – Genoma) para atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de produtos destinados ao tratamento de doenças raras.

Ademais, dispõe que serão direcionados às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde (SUS), sem prejuízo de outras fontes, 20% dos recursos recuperados pelo Poder Judiciário em ações de ressarcimento ao erário da União motivadas por atos de corrupção. Acrescenta que os aspectos operacionais do cumprimento desta regra serão definidos em ato do Poder Executivo.

Na justificação, destaca-se que o Projeto foi parcialmente inspirado na contribuição oferecida pelo estudante Patrick Teixeira Dorneles Pires, por meio do Parlamento Jovem Brasileiro, projeto de educação para a democracia realizado, anualmente, pela Câmara dos Deputados, e dirigido a estudantes do ensino médio de todo o Brasil.

Já o PL nº 4.345, de 2016, do Deputado Atila A. Nunes, determina que em cada Estado da Federação e no Distrito Federal deverá haver ao menos um Centro de Referência em Doenças Raras, preferencialmente nas respectivas capitais. Estabelece, ainda, a composição mínima desses centros de referência.

O PL nº 4.818, de 2016, da Deputada Mariana Carvalho, por sua vez, “autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras”.

Para tanto, estabelece critérios: a doença deve estar devidamente diagnosticada; não pode existir outra terapia com eficácia sobre a doença; o produto em fase experimental deve ser comprovadamente seguro para uso humano, com perfil toxicológico conhecido e que já tenha completado a fase 1 da investigação clínica, permanecendo em investigação em estudo clínico regularmente aprovado pelo Poder Público; o paciente ou, na sua impossibilidade, o seu representante legal, tem de firmar termo de responsabilidade que ateste a natureza experimental do produto, os riscos que o paciente assume ao fazer tal opção e a ciência da falta de autorização sanitária para a sua comercialização.

O PL nº 5.017, de 2016, da Deputada Leandre, “dispõe sobre o uso compassivo de fármacos em fase experimental”, por pacientes com moléstia grave ou rara. Seu art. 3º também estabelece critérios para o uso dessas substâncias, quais sejam: existência de uma doença grave ou rara devidamente diagnosticada e atestada por profissional médico; não elegibilidade do paciente para participar do protocolo de estudo clínico aprovado, caso exista; inexistência de alternativas terapêuticas satisfatórias no tratamento da causa principal da moléstia; existência de dados suficientes que

demonstrem a segurança e eficácia da substância no tratamento da respectiva doença e aptos a fundamentar seu uso em circunstâncias particulares; assunção pelo paciente da responsabilidade pela decisão de fazer uso de medicamento experimental, ao firmar Termo de Consentimento e Responsabilidade no qual confirme sua livre vontade em utilizar um produto não autorizado, sem registro sanitário e que ainda está sob investigação e estudo. O PL evidencia que, para o uso compassivo de medicamentos, os riscos assumidos no uso do fármaco experimental não podem ser superiores aos riscos da doença.

O PL nº 4.812, de 2016, do Deputado Ronaldo Carletto, “dispõe sobre o financiamento da pesquisa e do desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer”. Para alcançar esse objetivo, visa a alterar a Lei nº 10.332, de 2001, reservando 30% do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde a atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer.

O PL nº 5.998, de 2016, da Deputada Mariana Carvalho, acrescenta o § 3º ao art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, para prever critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras. Com isso, a Parlamentar objetiva a dispensa da avaliação do custo-efetividade para a avaliação da incorporação de medicamentos destinados a essas doenças.

Por fim, o PL nº 705, de 2019, do Deputado Célio Studart, institui, em todo o território nacional, o Programa de mapeamento, identificação e cadastro de pessoas com doenças raras. Segundo o autor, o Programa poderá ser realizado a cada quatro anos, com o objetivo de obter dados sobre os tipos e graus das doenças raras encontradas, bem como elementos necessários para contribuir com a qualificação, quantificação e localização das pessoas com doenças raras.

As proposições tramitam em regime ordinário e estão sujeitas à apreciação conclusiva da Comissão de Seguridade Social e Família (CSSF), no

que tange ao mérito, e das Comissões de Finanças e Tributação e Constituição e Justiça e de Cidadania, para os fins do art. 54 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados.

Após aberto o prazo regimental, não foram apresentadas emendas às proposições na CSSF.

É o Relatório.

II - VOTO DA RELATORA

Cabe a esta Comissão de Seguridade Social e Família a apreciação do Projeto de Lei nº 3.302, de 2015, e de seus apensados, no que tange ao direito à saúde e ao sistema público de saúde.

De acordo com a Organização Mundial da Saúde (OMS) e o Ministério da Saúde (MS), doença rara se refere à enfermidade que atinge até 65 pessoas em um grupo de 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos¹.

Existem pelo menos 7.400 doenças raras na listagem das instituições norte-americanas “National Institutes of Health” e “National Organization of Rare Disorders”. Porém, apenas duzentas delas contam com grupos sem fins lucrativos que se dedicam a arrecadar fundos para pesquisa e tratamento².

Também há poucos medicamentos aprovados para o tratamento dessas condições, já que as indústrias farmacêuticas, geralmente, não investem no desenvolvimento de terapias específicas para doenças raras, pois o mercado consumidor dos produtos porventura produzidos tende a ser limitado.

¹ BRASIL. MINISTÉRIO DA SAÚDE. Doenças raras: o que são, causas, tratamento, diagnóstico e prevenção [online]. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/saude-de-a-z/doencas-raras>. Acesso: 03/06/19.

² Jornal Brasileiro de Economia da Saúde, disponível em: <https://www.interfarma.org.br/public/files/biblioteca/58-jbes-doencas-raras.pdf>

Para buscar melhores possibilidades de atenção à saúde das pessoas com doenças raras no País, o Poder Público editou a Portaria nº 199, de 2014³, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovou as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio.

Essa Política representou um avanço nesse tema. Todavia, ainda é preciso aumentar as fontes de receita para o aprimoramento da atenção integral das pessoas com doenças raras.

O PL nº 3.302, de 2015, vai ao encontro dessa necessidade, já que busca destinar recursos adicionais para a pesquisa e o desenvolvimento de medicamentos e produtos para a saúde voltados ao tratamento de doenças raras. Acreditamos que essa iniciativa é fundamental, em razão do já explicado desinteresse do complexo industrial farmacêutico no assunto.

A outra solução trazida pelo PL nº 3.302, de 2015, é a destinação de 20% dos recursos recuperados pelo Poder Judiciário em ações de ressarcimento ao erário da União motivadas por atos de corrupção ao tratamento dessas doenças. Acreditamos que, embora o autor do Projeto tenha sido bem-intencionado em formular a ideia, a sua execução prática poderia trazer transtornos na gestão do orçamento e dificultar a compensação do rombo ao patrimônio dos entes lesados.

Isso ocorreria porque os recursos recuperados em ações de ressarcimento da União foram retirados, ilicitamente, de algum ente público. Por isso, esses valores devem voltar à origem. À guisa de ilustração, imaginemos que, por meio de um procedimento judicial, valores subtraídos de uma empresa estatal sejam reavidos. Nesse caso, é preciso que esses recursos sejam remetidos a essa estatal, não só para a promoção do seu reequilíbrio econômico, mas também para a reparação do dano perpetrado contra o seu patrimônio.

Ainda sobre o PL nº 3.302, de 2015, informamos que, no Substitutivo que oferecemos ao final deste Voto, também não incorporamos o §

³ http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014_rep.html

7º, que seria inserido no art. 2º da Lei nº 10.332, de 2001, pois acreditamos que, se as despesas com pesquisas acerca de doenças raras não puderem ser objeto de contingenciamento, outras o serão por força da Lei de Responsabilidade Fiscal, atingindo até mesmo ações de saúde que estiverem acima do mínimo constitucional a ser aplicado em ações e serviços públicos de saúde, incluindo eventualmente até mesmo a assistência às próprias doenças raras, além de despesas de outras áreas importantes.

Ressaltamos que o Projeto de Lei nº 6.566, de 2013, do Senado Federal, que está tramitando nesta Casa, tem objetivo semelhante ao do Projeto de Lei nº 3.302, de 2015. De acordo com a sua ementa, ele “acrescenta § 3º ao art. 2º da Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, para garantir recursos para atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas destinados ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas”.

A Proposição já passou pelo Senado Federal e, na Câmara dos Deputados, recebeu parecer pela aprovação na Comissão de Seguridade Social e Família e pela não implicação da matéria em aumento ou diminuição da receita ou da despesa públicas na Comissão de Finanças e Tributação. Atualmente, está pronto para pauta na Comissão de Constituição e Justiça e de Cidadania. É preciso destacar, no entanto, que o PL nº 3.302, de 2015, é mais abrangente do que o Projeto de Lei nº 6.566, de 2013.

O Projeto de Lei nº 4.345, de 2016, do Deputado Atila A. Nunes, “cria os centros para tratamento de doenças raras em todos os estados da federação e dá outras providências”.

De acordo com a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, “a linha de cuidado da atenção aos usuários com demanda para a realização das ações na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras é estruturada pela Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a RAS e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS”.

Essa mesma norma permite a habilitação de estabelecimentos de saúde para a prestação de atendimento especializado às pessoas com doenças raras. No entanto, atualmente, o Ministério da Saúde conta com apenas 8 estabelecimentos habilitados e especializados para esse tipo de atendimento⁴.

De fato, é preciso que haja pelo menos um Centro de Referência em cada unidade da federação, para que a saúde das pessoas com doenças raras possa ser devidamente acompanhada por especialistas no assunto, sem que elas necessitem afastar-se tanto do seu local de residência.

No Substitutivo que propusemos ao final deste Voto, apenas determinamos a criação dos Centros de Referência, mas deixamos ao regulamento o estabelecimento das suas vicissitudes, uma vez que o gestor do SUS terá mais capacidade de decidir os aspectos operacionais do estabelecimento desses Centros e a sua inserção na Rede de Atenção à Saúde.

O Projeto de Lei nº 4.818, de 2016, da Deputada Mariana Carvalho, que “autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras”, deve ser aprovado, com pequenas alterações, por representar o desígnio de muitos brasileiros e brasileiras.

No Brasil, já existe a possibilidade de acesso a e importação de medicamentos que não tenham sido registrados ainda na ANVISA, mas já tenham passado por testes satisfatórios. De acordo com a Resolução da Diretoria Colegiada nº 38, de 4 de agosto de 2013⁵, permite-se o acesso a medicamentos inovadores, ainda fora do mercado do País, por meio de três programas: Uso Compassivo, de Acesso Expandido e de Fornecimento de Medicamento Pós Estudos.

⁴ BRASIL. MINISTÉRIO DA SAÚDE. Doenças raras: o que são, causas, tratamento, diagnóstico e prevenção [online]. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/saude-de-a-z/doencas-raras>. Acesso: 03/06/19.

⁵ http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/anvisa/2013/rdc0038_12_08_2013.html

Conforme artigo publicado no sítio eletrônico da Escola Nacional de Saúde Pública da Fiocruz⁶, “o programa de Uso Compassivo é uma autorização, que deve ser solicitada à Anvisa, para que a indústria execute determinado programa assistencial no Brasil, fornecendo medicamentos novos, promissores e ainda sem registro na agência reguladora. O programa também permite que a empresa seja autorizada a importar medicamentos não registrados no país, que tratam doenças raras e graves”. Já o “Acesso Expandido é voltado para autorização da Agência para a inclusão de outros pacientes portadores de doenças debilitantes graves que ameacem a vida e sem alternativa terapêutica satisfatória, que inicialmente não tiveram acesso, no ensaio clínico autorizado pelo Programa de Uso Compassivo. Este é um programa de oferta de medicamento novo, promissor, ainda sem registro na Anvisa ou não disponível comercialmente no país, que esteja em estudo clínico em fase III, em desenvolvimento ou concluído”. Por fim, o “Programa de Fornecimento de Medicamento Pós-Estudo garante que, depois do encerramento do programa de uso compassivo, a indústria forneça medicamentos gratuitamente aos voluntários que participaram da pesquisa e que se beneficiaram do fármaco durante o desenvolvimento clínico. A medida se aplica nos casos de encerramento do estudo ou quando finalizada a participação do voluntário no programa de uso compassivo”.

No entanto, conforme palestra ministrada pelo Dr. Salmo Raskin⁷ na Subcomissão Especial de Fármacos Experimentais desta Casa, em 8 de novembro de 2016, por questões mercadológicas, essa Resolução da Anvisa tem pouca utilidade no caso de doenças raras, e os pacientes com essas moléstias têm enfrentado muitas dificuldades de acesso aos medicamentos ainda em fase experimental, com base na RDC nº 38, de 2013. Em razão dos austeros critérios dessa norma, as empresas produtoras de medicamento sequer têm interesse de trazer seus produtos para o País.

Dessa forma, é interessante que este Projeto seja aprovado, para que continuem as discussões acerca do assunto e para que os pacientes

⁶ <http://www6.ensp.fiocruz.br/visa/?q=node/5824>

⁷ <http://www2.camara.leg.br/atividade-legislativa/comissoes/comissoes-permanentes/cssf/videoArquivo?codSessao=58214&codReuniao=45598>

com doenças raras possam ter acesso a medicamentos, sem necessidade da rigidez da RDC, quando faltarem opções terapêuticas com registro na Anvisa.

Ressaltamos que, no Substitutivo que apresentamos ao final deste Voto, propusemos mais um requisito para a utilização dos medicamentos sem registro sanitário e para a sua importação: a prescrição do médico assistente. Esse profissional tem a capacidade de avaliar se a substância tem potencial benéfico para o paciente, e se os riscos envolvidos no consumo são aceitáveis, diante o quadro de saúde da pessoa que irá consumi-lo. Ademais, substituímos a palavra “patologia”, em todas as suas ocorrências, por “doença”, para conceder precisão ao futuro texto normativo.

O Projeto de Lei nº 5.017, de 2016, da Deputada Leandre, “dispõe sobre o uso compassivo de fármacos em fase experimental”, por pacientes com moléstia grave ou rara. Assim como o Projeto de Lei nº 4.818, de 2016, essa proposição visa a autorizar o uso de medicamento em fase experimental.

Como afirmado anteriormente, embora já exista programa na Anvisa, instituído pela RDC nº 38, de 2013, que permite o acesso a medicamentos inovadores, ainda fora do mercado do País, mediante procedimento controlado e fiscalizado pela Autarquia, essa norma não tem sido suficiente para fornecer medicamentos para as pessoas com doenças raras, em razão das especificidades dessas moléstias e de questões mercadológicas. Por isso, sugeriremos a aprovação deste Projeto, no mérito.

Ressalvamos, porém, que, diferentemente do PL nº 4.818, de 2016, este Projeto não exige que o fármaco, a substância química, o produto biológico e seus correlatos tenham completado a fase 1 de investigação clínica. Exige, apenas, que haja dados suficientes que demonstrem a segurança e eficácia da substância no tratamento da respectiva doença e aptos a fundamentar seu uso em circunstâncias particulares. Por isso, no Substitutivo, optamos pelo modelo do PL nº 4.818, de 2016, que traz mais segurança para o consumo da substância ao paciente com doença rara.

O Projeto nº 4.812, de 2016, do Deputado Ronaldo Carletto, por sua vez, “dispõe sobre o financiamento da pesquisa e do desenvolvimento

de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer”.

Algumas epidemias virais realmente são doenças negligenciadas, que atingem relevante parcela da população e causam altos índices de morbidade e mortalidade, mas, historicamente, não têm recebido atenção suficiente dos pesquisadores. Essas doenças, no entanto, recentemente passaram a ser tratadas com mais zelo pelo Poder Público, a partir da edição da Portaria nº 191, 2014, que instituiu a Rede Nacional de Pesquisas em Doenças Negligenciadas. Essa Portaria foi formalmente revogada e seu conteúdo foi incorporado ao Anexo XXI da Portaria de Consolidação nº 3, de 2017⁸.

No que se refere ao Câncer, atualmente já existe importante mecanismo de incentivo a instituições que trabalham no tratamento de pessoas com essa doença. Trata-se do Programa Nacional de Apoio à Atenção Oncológica (PRONON), criado pela Lei nº 12.715, de 2012⁹, que tem a finalidade de sistematizar a captação e canalização de recursos do setor privado, por meio de incentivo fiscal, para estimular a execução de ações e serviços, de prevenção e combate ao câncer.

Em razão disso, acreditamos que é mais interessante que os recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde sejam direcionados ao desenvolvimento de medicamentos e tecnologias de tratamento de doenças raras, que ainda são pouco visíveis atualmente.

O Projeto de Lei nº 5.998, de 2016, “acrescenta o § 3º ao art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, para prever critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras”.

Em setembro de 2016, foi aprovado nesta Casa o Projeto de Lei nº 1.606, de 2011, do Deputado Marçal Filho. O texto final encaminhado ao Senado, para revisão, institui, no âmbito legal, a Política Nacional para

⁸ http://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2017/prc0003_03_10_2017_comp.html

⁹ https://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2011-2014/2012/lei/l12715.htm

Doenças Raras no Sistema Único de Saúde – SUS. Naquela Casa, recebeu emendas, que voltaram à Câmara, para apreciação.

O texto do projeto aprovado na Câmara dos Deputados tem como objetivo proporcionar o acesso aos serviços e aos cuidados adequados aos pacientes diagnosticados com alguma forma de doença rara e, quando for o caso, o acesso aos tratamentos disponíveis no mercado, inclusive por meio de mecanismos diferenciados para o registro sanitário e a incorporação de medicamentos órfãos, no SUS.

Embora esse projeto em estágio de tramitação mais avançado no Congresso Nacional já tenha capítulo específico sobre critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras, acreditamos que o Projeto de Lei nº 5.998, de 2016, em análise, também merece prosperar, para que essa Casa continue avaliando o tema e desenvolvendo normas acerca do assunto.

Salientamos que, no Substitutivo que oferecemos ao final deste voto, fizemos dois pequenos ajustes: no § 3º, I, a ser acrescido no art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, para fins de precisão técnica, trocamos a palavra “incidência” por “prevalência”. Ademais, no § 3º, IV, a ser acrescido no art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 1990, destacamos que a dispensa da análise de custo-efetividade somente ocorrerá quando não houver outro medicamento para a mesma condição. Com isso, evitamos a ocorrência de situações em que um medicamento fosse incorporado sem essa análise, mesmo havendo outro com melhor custo-efetividade para a mesma doença.

Por fim, o PL nº 705, de 2019, do Deputado Célio Studart, institui, em todo o território nacional, o Programa de mapeamento, identificação e cadastro de pessoas com doenças raras.

Como bem destacou a representante do Ministério da Saúde na audiência pública sobre doenças raras e ultrarraras promovida na Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência¹⁰, um dos desafios da Política Nacional é justamente a falta de dados epidemiológicos sobre o

¹⁰

https://www2.camara.leg.br/atividade-legislativa/comissoes/comissoes-permanentes/cpd/documentos/apresentacao-jaqueline-misael-ms_raras

assunto. Para o correto planejamento do gestor e para a avaliação dos resultados da Política Pública, é preciso que estejam disponíveis informações fidedignas e de qualidade acerca das doenças raras diagnosticadas. Por isso, sugeriremos a incorporação ao Substitutivo que propusemos ao final deste Voto da ideia contida no PL nº 705, de 2019, com uma redação diferenciada, conforme notarão no Substitutivo.

Feitas todas as essas considerações, o nosso voto é pela aprovação dos Projetos de Lei nº 3.302, de 2015; 4.818, de 2016; 5.017, de 2016; e 5.998, de 2016; 4.345, de 2016; e 705, de 2019, nos termos do Substitutivo, e pela rejeição do Projeto de Lei nº 4.812, de 2016.

Sala da Comissão, em de de 2019.

Deputada GEOVANIA DE SÁ
Relatora

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

SUBSTITUTIVO AO PROJETO DE LEI Nº 3.302, DE 2015

Apensados: Projeto de Lei nº 4.345, de 2016; Projeto de Lei nº 4.818, de 2016;
Projeto de Lei nº 5.017, de 2016; e Projeto de Lei nº 5.998, de 2016

Dispõe sobre a pesquisa e o tratamento de doenças raras, e a consolidação de informações estatísticas relacionadas a essas doenças.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Esta Lei dispõe sobre a pesquisa e o tratamento de doenças raras, e a consolidação de informações estatísticas relacionadas a essas doenças.

Art. 2º O art. 2º da Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 2º

.....

.....

§ 3º Dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, previsto no inciso II do art. 1º desta Lei, no mínimo 20% serão destinados a atividades voltadas à pesquisa e ao desenvolvimento de medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras.

§ 4º Dos recursos do Programa Biotecnologia e Recursos Genéticos – Genoma, previsto no inciso III do art. 1º desta Lei, no mínimo 20% serão destinados a atividades voltadas à pesquisa e desenvolvimento de medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras.

§ 5º Para os fins do disposto nos §§ 3º e 4º, doença rara é a que afeta até 65 (sessenta e cinco) em cada 100.000 (cem mil) indivíduos.

§ 6º Os aspectos operacionais para cumprimento do disposto nos §§ 3º e 4º serão definidos em ato do Poder Executivo” (NR)

Art. 3º Em cada estado e no Distrito Federal haverá pelo menos um Centro de Referência em Doenças Raras, preferencialmente nas respectivas capitais, nos termos de regulamento.

Art. 4º Os pacientes diagnosticados com doenças graves ou raras têm o direito de utilizar fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e seus correlatos, ainda que estejam em fase de estudos clínicos e sem o registro sanitário, desde que observados os seguintes requisitos:

I – a doença esteja devidamente diagnosticada;

II – o paciente apresente prescrição de médico assistente;

III – não exista outra terapia com eficácia sobre a doença;

IV – o produto em fase experimental seja comprovadamente seguro para uso humano, com perfil toxicológico conhecido e já tenha completado a fase 1 da investigação clínica, permanecendo em investigação em estudo clínico regularmente aprovado pelo Poder Público;

V – o paciente ou, na sua impossibilidade, o seu representante legal firme termo de responsabilidade que ateste a natureza experimental do produto, os riscos que o paciente assume ao fazer tal opção e a falta de autorização sanitária para a sua comercialização.

Art. 5º Fica autorizada a importação de medicamentos sem o regular registro sanitário, desde que sejam devidamente autorizados no país de origem, para uso exclusivo de pacientes portadores de doenças graves ou raras.

Parágrafo único. A importação de que trata o caput somente será realizada caso sejam cumpridas as exigências previstas nos incisos I, II, III e V do art. 5º.

Art. 6º. O Poder Público fica autorizado a fornecer os produtos de que trata esta Lei, diretamente ou por meio de suas instituições de ensino e pesquisa, como forma de garantir o direito do paciente ao atendimento integral.

Art. 7º O art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passa a vigorar acrescido do seguinte §3º:

“Art. 19-Q.

.....

§ 3º No caso de avaliação para incorporação de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, deverão ser considerados os seguintes aspectos:

I – prevalência de condição definida clinicamente e por outros instrumentos diagnósticos complementares de até 65 pacientes por cem mil habitantes como parâmetro para definir a moléstia como rara;

II – avaliação acerca da gravidade da doença no organismo humano, de sua evolução, prognóstico e expectativa de vida, considerando seu potencial lesivo e de causar óbito, ou morbidade incapacitante, e o impacto no bem-estar individual;

III – possíveis terapias a serem utilizadas e incorporadas ao SUS de acordo com a sua eficácia sobre a etiopatogenia da doença, no controle de sintomas e na melhoria na qualidade de vida do paciente;

IV – dispensa da avaliação custo-efetividade, quando não houver outro medicamento para a mesma condição.” (NR)

Art. 8º O gestor federal do Sistema Único de saúde, anualmente, consolidará os dados nacionais relativos a doenças raras registrados nos seus respectivos sistemas de informação, para fins de obtenção de instrumentos de planejamento e avaliação das ações e serviços de saúde relacionados a doenças raras.

Art. 9º. Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação, produzindo efeitos financeiros no exercício financeiro subsequente.

Sala da Comissão, em de de 2019.

Deputada GEOVANIA DE SÁ
Relatora

2019-11177