

CÂMARA DOS DEPUTADOS

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

**SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS
RELACIONADOS À PESQUISA, DESENVOLVIMENTO E
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA
TRATAMENTO DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS.**

RELATÓRIO FINAL

NOVEMBRO DE 2017

DEPUTADOS COMPONENTES DA SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA, DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS DE 2017:

TITULARES

1. DEPUTADO ADELMO CARNEIRO LEÃO (PT-MG)
2. DEPUTADO ARLINDO CHINAGLIA (PT-SP)
3. DEPUTADA CARMEN ZANOTTO (PPS-SC)
4. DEPUTADO DIEGO GARCIA (PHS-PR)
5. DEPUTADO EDUARDO BARBOSA (PSDB-MG)
6. DEPUTADO GERALDO RESENDE (PSDB-MS)
7. DEPUTADA LEANDRE (PV-PR)
8. DEPUTADO LOBBE NETO (PSDB-SP)
9. DEPUTADA DORINHA SEABRA RESENDE (DEM-TO)

SUPLENTE

1. DEPUTADO ALEXANDRE SERFIOTIS (PMDB-RJ)

PRESIDENTE: DEPUTADO ARLINDO CHINAGLIA

VICE-PRESIDENTE: DEPUTADA CARMEN ZANOTTO

RELATORA: DEPUTADA LEANDRE

SUB-RELATOR: DEPUTADO DIEGO GARCIA

A criação desta Subcomissão foi aprovada pelo Plenário da Comissão de Seguridade Social e Saúde (CSSF), em reunião ordinária realizada em 26 de abril de 2017.

SUMÁRIO

AGRADECIMENTOS	5
1. APRESENTAÇÃO.....	6
2. INTRODUÇÃO	7
3. HISTÓRICO	8
4. FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA – ITEM 1 DO PLANO DE TRABALHO	13
4.1. Introdução.....	13
4.2. Estudos sobre a fosfoetanolamina sintética	14
4.3 - ACOMPANHAMENTO DAS AÇÕES JUDICIAIS	19
5. DOENÇAS GRAVES E RARAS E ACESSO A MEDICAMENTOS (ITENS 2 E 3 DO PLANO DE TRABALHO).....	21
6. Projetos de Lei em tramitação sobre o tema da Subfármacos-2017	25
7. CONCLUSÕES	28

GLOSSÁRIO

CCSF: Comissão de Seguridade Social de Família

CIEnp: Centro de Inovação e Ensaios Pré-clínicos

ICESP: Instituto de Câncer do Estado de São Paulo

NPDM: Núcleo de Pesquisa e Desenvolvidos de Medicamentos

IQSC: Instituto de Química de São Carlos

USP: Universidade de São Paulo

GT: Grupo de Trabalho

STF: Supremo Tribunal Federal

MCTIC: Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovação e Comunicações

ADI: Ação Direta de Inconstitucionalidade

SUS: Sistema Único de Saúde

FMRP/USP: Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto da Universidade de São Paulo

P&D: Pesquisa e Desenvolvimento

RDC: Resolução da Diretoria Colegiada

Subfármacos-2017 - Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras

Rename - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

AGRADECIMENTOS

Esta Subcomissão agradece a todas as pessoas que participaram de alguma forma na construção do presente Relatório, em especial, àquelas que participaram na realização dos debates efetivados em Audiência Pública, nas reuniões internas, nas visitas ao Instituto de Câncer do Estado de São Paulo – ICESP - e ao Núcleo de Pesquisa e Desenvolvidos de Medicamentos – NPDM da Universidade Federal do Ceará – UFC. Um agradecimento especial também a todos os dirigentes de órgãos públicos e entidades privadas que responderam aos Requerimentos de Informações formulados por esta Subcomissão.

Estendemos, ainda, nossos agradecimentos a todos os servidores da Câmara dos Deputados que contribuíram para os trabalhos desta Subcomissão e a elaboração deste Relatório.

DEPUTADA LEANDRE

Relatora

1. APRESENTAÇÃO

A Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras – Subfármacos-2017 foi criada a partir da aprovação do Requerimento nº 466/2017, de autoria da Deputada Leandre e outros. O principal objetivo, conforme justificativa do pedido, era o de dar continuidade ao acompanhamento que vinha sendo feito pela Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF sobre a pesquisa de fármacos inovadores e as possibilidades de uso de substâncias ainda não registradas, em especial por pacientes com doenças graves e raras.

Saliente-se que a Subcomissão Especial sobre esse tema, que trabalhou durante o ano de 2016, propôs a continuidade dos trabalhos por uma nova Subcomissão a ser criada na sessão legislativa de 2017. Tal encaminhamento teve como base o fato de que alguns dos objetivos traçados no Plano de Trabalho não terem sido plenamente atingidos, pois muitas ações ainda estavam em curso, como os estudos com a substância fosfoetanolamina sintética.

O referido encaminhamento foi, então, acolhido pela CSSF, quando da apreciação do Relatório Final da Subfarma-2016, razão que fundamentou a apresentação do Requerimento nº466/2017.

2. INTRODUÇÃO

O direito à saúde é um assunto que chama a atenção de muitos setores sociais, em especial do Parlamento. É um direito sensível, intimamente relacionado com a dignidade humana e com o direito à vida. Como era de se esperar, merece especial atenção da nossa sociedade no sentido de conferir-lhe maiores e melhores garantias que possam tornar tal direito uma realidade, de forma universal.

Sabemos que nem sempre isso é possível, pois as dificuldades e carências que enfrentamos nos mostram que, em muitas situações, o que assistimos é a negação desse direito e sua total impossibilidade de concretização.

A importância do direito à saúde ganha contornos ainda mais nítidos e sensíveis quando correlacionado com as doenças graves e raras, com o desenvolvimento de terapias inovadoras e o acesso a produtos experimentais, ainda não licenciados para uso no país. Isso porque, geralmente, não existem terapias eficazes que levem à cura dessas doenças. Em muitas situações, a adequada assistência farmacêutica, tanto de seu ponto de vista quantitativo, quanto qualitativo, é o principal aspecto relacionado com a proteção da vida e da saúde humana.

Nada obstante, todos os desafios devem servir de estímulo para ampliarmos a luta e a defesa de tão importante direito, em especial para as pessoas que possuem doenças raras e graves. A ideia deve ser sempre a de melhorar a atenção à saúde em observância à equidade, para que todos, sem distinção, tenham seus direitos garantidos.

A integralidade do direito à saúde requer um maior comprometimento do Poder Público na busca do cumprimento do seu dever constitucional de prover a saúde de todos. A assistência farmacêutica e o acesso aos medicamentos por pacientes com doenças graves e raras também precisam ser vistas sob o prisma da integralidade. Todos, sem exceção, têm direito à saúde.

Os trabalhos da Subfármacos-2017 foram pautados por essas diretrizes. De acordo com o Plano de Trabalho aprovado, três tópicos concentrariam os esforços dos membros da Subcomissão, quais sejam: o acompanhamento dos

assuntos envolvendo a fosfoetanolaminas sintética; as doenças graves; e as doenças raras. O presente Relatório segue tais diretrizes, como se verá a seguir.

3. HISTÓRICO

No ano de 2015, alguns acontecimentos envolvendo o uso da substância fosfoetanolamina sintética chamaram a atenção da sociedade e, conseqüentemente, do Parlamento. Os veículos de comunicação social passaram a noticiar diversos relatos de pacientes que estavam utilizando-a como um medicamento para o tratamento do câncer. O produto, que passou a ser popularmente chamado de “a pílula do câncer”, foi, durante muitos anos, sintetizada pelo Instituto de Química de São Carlos – IQSC, vinculado à Universidade de São Paulo – USP, e posteriormente encapsulada e distribuída a muitas pessoas pelos pesquisadores que idealizaram a via de síntese.

Entretanto, essa distribuição foi suspensa pela USP, tendo em vista a detecção de que a prática era contrária à legislação sanitária. Os usuários do produto, ao se depararem com a suspensão de fornecimento, acionaram a Universidade judicialmente, no sentido de que ela fosse compelida a dar continuidade ao processo de fabricação e distribuição da pílula.

A CSSF, tendo em vista a magnitude que o caso tomava, principalmente os reflexos das diversas decisões judiciais que obrigavam a USP a fornecer a substância, ainda não reconhecida como medicamento e sem registro sanitário, decidiu criar um Grupo de Trabalho, no final de 2015, especialmente destinado a acompanhar, discutir e adotar providências sobre a alçada do Legislativo.

Os trabalhos realizados pelo referido GT e o escopo de sua atuação foram paulatinamente sendo ampliados com o decorrer do tempo. Foram detectados muitos obstáculos no acesso às terapias experimentais, mesmo por aqueles que não possuíam mais alternativas para lutar contra determinadas doenças graves, que representavam séria ameaça à vida. Diante dos achados, a Comissão considerou adequada a ampliação do campo temático das análises para além do caso da fosfoetanolamina sintética.

Assim, posteriormente, no ano de 2016, foi criada a primeira

Subcomissão Especial no âmbito da CSSF, com escopo de atuação ampliado para englobar a pesquisa e inovação na área da farmacologia, as possibilidades de acesso às terapias experimentais e os direitos de pacientes com doenças raras e graves, além do acompanhamento dos desdobramentos relacionados com a fosfoetanolamina, seus estudos financiados com recursos federais e a sua judicialização.

A Subfarma-2016 fez uma série de conclusões a respeito das pesquisas científicas envolvendo medicamentos no Brasil. Continuou o acompanhamento dos estudos que vinham sendo feitos com a fosfoetanolamina e debateu as possibilidades de acesso aos medicamentos quando estes ainda estão na sua fase experimental, sem serem reconhecidos como medicamentos pelo Poder Público.

Em que pesem as muitas constatações feitas pela referida Subcomissão Especial, ao final dos trabalhos, em 2016, muitos dos objetivos definidos no Plano de Trabalho ainda estavam em curso. A complexidade da matéria, aliada à falta de conclusão de alguns importantes objetivos fixados pela citada Subcomissão, conduziram à conclusão de que a continuidade dos trabalhos seria a ação mais adequada a ser tomada. Tal sugestão, contida no Relatório Final, foi aprovada pela CSSF, com o acolhimento da proposta de retomada dos trabalhos na sessão legislativa de 2017.

Conforme bem ressaltado no requerimento que deu origem a instituição da presente Subcomissão Especial, tendo como base as conclusões divulgadas no Relatório Final da Subfarma-2016, alguns objetivos inicialmente previstos não foram atingidos em sua integralidade, tendo sido destacados os seguintes pontos:

- As pesquisas científicas envolvendo a fosfoetanolamina sintética, financiadas com recursos públicos federais e estaduais, ainda não foram concluídas; com isso, muitos aspectos ainda precisam ser estudados e entendidos plenamente, a exemplo dos ensaios clínicos de fase II, que têm previsão de término em 2017;
- As questões jurídicas envolvendo os limites da garantia de acesso aos medicamentos, levadas à

apreciação do Supremo Tribunal Federal, ainda não obtiveram seu pronunciamento de mérito; e

- As possibilidades de acesso às terapias experimentais ainda não foram suficientemente aprofundadas, como os obstáculos ao uso compassivo, o acesso expandido, o estudo de extensão e o fornecimento pós-estudo.

Certamente eram aspectos importantes que ainda estavam em curso e que mereciam toda a atenção do Poder Legislativo.

Assim, no dia 26/04/2017, foi aprovado o Requerimento nº 466/2017, de autoria da Deputada Leandre e outros, com a consequente criação da presente Subcomissão Especial – Subfármacos-2017, posteriormente instalada no dia 10/05/2017, que é o objeto do presente Relatório. Essa é a missão da atual Subcomissão Especial, dar continuidade aos trabalhos que foram até então realizados, com a finalidade de propor medidas que ampliem o acesso aos medicamentos dos pacientes que possuem doenças raras e graves.

Com tais objetivos em pauta, a Subfármacos-2017 iniciou o cumprimento de seu dever com a aprovação do Plano de Trabalho (Anexo I), no qual foram fixados os seguintes **objetivos, divididos em três vertentes principais:**

1) Fosfoetanolamina sintética

- a. Avaliar o estágio atual dos estudos sobre essa substância financiados com recursos públicos, em especial os aspectos relacionados à efetividade da despesa pública;
- b. Debater as conclusões obtidas pelos estudos científicos realizados;
- c. Analisar as próximas ações e a continuidade dos estudos científicos acerca dessa substância;
- d. Promover reunião interna entre os pesquisadores, os membros da Subfarma e o Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações – MCTIC;

- e. Visitar, caso necessário, os centros de pesquisa que realizaram os estudos científicos com a fosfoetanolamina;
- f. Acompanhar os processos em tramitação no Supremo Tribunal Federal que tenham como objeto a fosfoetanolamina, em especial a ADIN contra a Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016.

2) Doenças graves

- a. Verificar a prevalência das principais doenças graves, para priorizar o âmbito de análises da Subfarma;
- b. Avaliar o contexto nacional e internacional das pesquisas científicas que envolvem as doenças graves e medicamentos;
- c. Debater a pesquisa, desenvolvimento e inovação na área de doenças graves;
- d. Identificar os obstáculos para a adequada atenção à saúde dos pacientes com doenças graves;
- e. Propor medidas que possam melhorar o acesso aos medicamentos e fármacos experimentais;
- f. Acompanhar a manifestação do STF relacionada com a garantia de acesso a medicamentos por pacientes com doenças graves, inclusive a produtos ainda não registrados;
- g. Promover a interlocução com os principais centros de pesquisa científica sobre doenças graves e desenvolvimento de fármacos.

3) Doenças Raras

- a. Identificar as doenças raras de maior interesse no Brasil, de acordo com parâmetros como incidência, prognóstico, objeto de estudo e desenvolvimento de medicamentos;
- b. Estudar o posicionamento judicial acerca das garantias aos direitos dos pacientes com doenças raras;
- c. Avaliar o contexto nacional para a pesquisa e inovação de fármacos para o tratamento das doenças raras e controle de seus sintomas;
- d. Identificar os obstáculos para a adequada atenção à saúde dos pacientes com doenças raras;
- e. Acompanhar a manifestação do STF relacionada com a garantia

de acesso dos pacientes com doenças raras aos medicamentos, inclusive aqueles ainda não registrados;

- f. Propor medidas que possam melhorar o direito à saúde, em sua integralidade, dos pacientes com doenças raras.

Importante ressaltar que os tópicos listados nos itens 2 e 3 possuem grandes intersecções. A grande maioria das doenças consideradas raras também são graves e muitas doenças graves são raras. Assim, nada obstante a subdivisão feita no Plano de Trabalho, no presente Relatório ambos os tópicos serão tratados conjuntamente, pois possuem o mesmo contexto e demandam providências similares.

O direito à saúde no Brasil enfrenta muitos obstáculos para a sua concretização nos moldes idealizados pela Constituição Federal. Apesar de o Sistema Único de Saúde ter sido imaginado como um sistema universal que pudesse garantir atenção integral a todos, de forma isonômica e equitativa, as inúmeras carências que tal sistema enfrenta mostram que o ideal está muito longe de ser alcançado. A falta de medicamentos e insumos básicos, a extrema iniquidade na distribuição dos recursos humanos e tecnológicos, a obsolescência dos equipamentos, a deterioração das unidades de saúde e a base de financiamento achatada são fatos que impedem a concretização desse direito e que violam a dignidade humana.

As falhas que impedem a concretização plena desse direito ganham contornos ainda mais nítidos e sensíveis quando correlacionado com as doenças graves e raras, com o desenvolvimento de terapias inovadoras e o acesso a produtos experimentais ainda não licenciados para uso no país. Isso porque, geralmente, não existem terapias eficazes que levem à cura dessas doenças. Em muitas situações, a adequada assistência farmacêutica, tanto de seu ponto de vista quantitativo quanto qualitativo, é o principal aspecto relacionado com a proteção da vida e da saúde humana. A sua ausência, em consequência, constitui a principal falha a ser corrigida pelo sistema.

Para cumprir tais objetivos, a Subfármacos-2017 promoveu visitas ao Instituto de Câncer do Estado de São Paulo - ICESP e ao Núcleo de Pesquisa e Desenvolvimento de Medicamentos da Universidade

Federal do Ceará - NPDM/UFC, formulou Requerimentos de Informação e Ofícios e realizou Audiência Pública no dia 18/10/2017, além de reuniões internas.

4. FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA – ITEM 1 DO PLANO DE TRABALHO

4.1. Introdução

Como citado anteriormente, o acompanhamento do caso da fosfoetanolamina sintética e os seus desdobramentos foram um dos motivadores para a criação da presente Subcomissão, em continuidade aos trabalhos realizados, inicialmente pelo referido Grupo de Trabalho da CSSF e posteriormente pela Subfarma-2016. Com efeito, foi esse caso que externou vários problemas relacionados ao acesso aos medicamentos, em especial aqueles que ainda estão em fase experimental, por pessoas com doenças graves e raras.

A ideia, sempre presente nos debates realizados, era a de viabilizar o acesso regulado e lícito aos fármacos experimentais, no caso desse acesso ser a última alternativa para combater uma doença grave ou rara, para a qual não exista tratamento eficaz aprovado pelas autoridades sanitárias. Isso ficou bastante explícito na iniciativa parlamentar e suprapartidária que deu origem à Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016, com o intuito de viabilizar aos pacientes com câncer o acesso à fosfoetanolamina em um ambiente de legalidade.

Dessa forma, o Plano de Trabalho aprovado propôs o acompanhamento das conclusões dos estudos científicos em curso sobre essa substância. Além de Requerimento de Informações, a Subcomissão visitou o ICESP em São Paulo, e o NPDM/UFC no Ceará, que ainda tinham pesquisas em curso, ou conclusões a serem analisadas para avaliação de possíveis encaminhamentos.

Além dos estudos científicos em curso, vale destacar mais uma vez que a Subcomissão também teve sua continuidade acolhida para permanecer vigilante em relação aos posicionamentos que o Supremo Tribunal Federal poderia adotar nos processos relacionados com a assistência farmacêutica e que

refletiriam no acesso a produtos experimentais e por pacientes com doenças raras e graves. Todavia, durante o curso dos trabalhos desta Subcomissão, as ações judiciais que estavam em acompanhamento não tiveram prolação de sentença, ficando tal análise prejudicada.

4.2. Estudos sobre a fosfoetanolamina sintética

A maioria dos estudos científicos envolvendo a fosfoetanolamina, financiados com recursos públicos, já havia sido concluída quando da elaboração do Relatório Final da Subfarma-2016. Restavam somente os ensaios de Fase II, que seriam iniciados neste ano de 2017, pelo ICESP, além da visita ao NPDM-UFC-CE, que já havia sido anteriormente aprovada pela CSSF, mas que ainda não tinha sido realizada.

Importante lembrar que, após o grande clamor social que circundou o uso da fosfoetanolamina por muitos pacientes com câncer, o Poder Público decidiu financiar diretamente os estudos iniciais necessários para a comprovação da segurança, eficácia e qualidade da apresentação formulada no âmbito da USP. Os objetivos principais eram definir o perfil toxicológico da composição, seus possíveis efeitos contra tumores malignos e aprofundar o conhecimento científico sobre esse objeto.

Tais estudos foram conduzidos por 3 grupos de pesquisadores: o Laboratório de Avaliação e Síntese de Substâncias Bioativas da Universidade Federal do Rio de Janeiro – LASSBIO/UFRJ -; em associação com o Laboratório de Química Orgânica Sintética – LQOS/UNICAMP -; Centro de Inovação de Ensaios Pré-clínicos – CIEnp - em Florianópolis/SC; e Núcleo de Pesquisa e Desenvolvimento de Medicamentos da Universidade Federal do Ceará – NPDM/UFC. Os resultados obtidos foram os seguintes:

- A fosfoetanolamina não apresentou atividade citotóxica e antiproliferativa in vitro, nem em linhagens de células humanas (carcinoma de pulmão, carcinoma de pâncreas e melanoma);
- A substância não é tóxica ao organismo humano e não apresentou efeitos adversos nos animais

estudados, nem em doses muito altas;

- Os testes de genotoxicidade também apresentaram resultados negativos. A fosfoetanolamina não obteve ação mutagênica/deletéria sobre o DNA;
- No caso de testes em animais com melanoma, a substância obteve resposta positiva em 65% dos casos; e
- O NPDM-UFC também concluiu que a substância não é citotóxica in vitro. Ressalvou, entretanto, que não se pode descartar a citotoxicidade in vivo, por causa da existência de rotas metabólicas no organismo humano que não podem ser reproduzidas in vitro.

Após essas conclusões, a União não efetuou a contratação de novos estudos com a referida substância. Ressalte-se que o sítio eletrônico sobre a fosfoetanolamina, até então mantido pelo Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações, também se mostrou inacessível à época da elaboração do presente Relatório, permanecendo nessa condição até sua finalização. Não se sabe, ao certo, se referido sítio foi inativado, ou se a inacessibilidade decorre de problemas transitórios. Em razão disso, entendemos que deveria ser encaminhado ao Ministro da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações um Requerimento de Informações para solicitar os relatórios circunstanciados a respeito das etapas programadas e realizadas, os gastos efetuados e as conclusões das pesquisas com a fosfoetanolamina sintética conduzidas pelos pesquisadores contratados por aquela Pasta Ministerial

Por seu turno, o Instituto de Câncer do Estado de São Paulo, que também estava realizando outras análises, de acordo com protocolos diversos e próprios, após a finalização dos estudos de Fase I, decidiu progredir para os estudos de Fase II, os quais serão comentados no próximo tópico.

4.2.1. ESTUDOS DO ICESP – FM – USP/SP

O Instituto do Câncer do Estado de São Paulo recebeu, em visita no dia 14/08/2017, Missão Oficial formada pelos Deputados Adelmo Carneiro Leão, Alexandre Serfiotis e Arlindo Chinaglia e pelas Deputadas Carmen Zanotto e Leandre, para tratar de assuntos relacionados aos estudos sobre a fosfoetanolamina sintética conduzidos pelo referido instituto. Também foi realizada reunião com a advogada Flora Paulesky Juliani Galvão acerca das ações em tramitação no Judiciário relacionadas com o acesso de pacientes à substância em estudo.

Conforme destacado no Relatório da Subcomissão do ano de 2016, paralelamente às análises financiadas pela União, o Estado de São Paulo também decidiu realizar outros estudos, por meio do Instituto do Câncer do Estado de São Paulo – ICESP¹, já iniciando os trabalhos pela Fase 1 dos ensaios clínicos ao considerar que as informações e dados até então disponibilizados acerca da fosfoetanolamina sintética, em especial os estudos produzidos pela equipe da USP, serviriam como estudo pré-clínico.

Ademais, vale salientar que, no caso de estudos com câncer, admite-se na Fase I, de modo excepcional, a participação de pessoas que já tenham sido diagnosticadas com neoplasia e que estejam clinicamente bem e com os marcadores biológicos ainda normais.

Além disso, é importante esclarecer que os ensaios pré-clínicos servem para definir o perfil de toxicidade de determinado agente candidato a ser classificado como um fármaco, em animais de laboratório e/ou in vitro, e tal perfil já estaria satisfatoriamente elucidado, não tendo nenhum estudo identificado a fosfoetanolamina sintética, nem a composição até então elaborada pela USP, como tóxica ao ser humano, nem em quantidades muito elevadas.

Nos estudos clínicos de Fase 1, executados pelo ICESP, foram utilizados 10 pacientes diagnosticados com neoplasias diversas, com o objetivo de avaliar e confirmar o perfil de toxicidade da fosfoetanolamina em humanos. Após a verificação de que, de fato, a substância não se mostrou tóxica ao organismo humano de pacientes com neoplasia, o Instituto passou à Fase 2 dos ensaios

¹ O ICESP integra o complexo do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HCFMUSP) e as informações obtidas sobre os estudos foram coletadas em visita realizada pela Subfármacos.

clínicos. Nessa fase seriam incluídos, progressivamente, 20 pacientes para cada um dos 10 grupos (tipos) de tumor: cabeça e pescoço, pulmão, mama, cólon e reto (intestino), colo uterino, próstata, melanoma, pâncreas, estômago e fígado.

Os primeiros resultados obtidos na Fase II não foram promissores. Conforme informações prestadas pelo ICESP, não ficou comprovada a eficiência da fosfoetanolamina contra o câncer. Segundo o diretor do Instituto, dos 72 pacientes até então tratados com a substância nessa fase, 59 já haviam sido reavaliados, sendo que 58 deles não apresentaram redução no volume do tumor em pelo menos 30% – essa taxa de redução é o critério para se considerar que houve resposta ao tratamento. Somente um paciente, diagnosticado com melanoma, apresentou melhora estatisticamente significativa².

Diante desses resultados, a equipe que conduzia os testes clínicos optou por suspender os ensaios de Fase II e não incluir novos pacientes na pesquisa. Atualmente, ainda existem 20 pacientes que continuam a receber a substância, pois ainda não foram concluídos todos os testes e prazo inicialmente previstos no protocolo previamente definido.

Importante salientar que o produto utilizado nos ensaios realizados pelo ICESP seguiu a via de síntese definida pela equipe de pesquisadores do IQSC-USP, prevista no pedido de patente junto ao Instituto Nacional da Propriedade Industrial – INPI. O Laboratório PDT Pharma, responsável pela elaboração do composto, também foi indicação da equipe de pesquisadores. A Fundação do Remédio Popular – Furp, que é o laboratório oficial da Secretaria de Estado da Saúde de São Paulo, foi o encarregado de encapsular a droga para a realização dos testes.

4.2.2. CPI DA ASSEMBLEIA LEGISLATIVA DE SÃO PAULO SOBRE A FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA

Outro fato que merece destaque, relacionado com os estudos feitos com a substância fosfoetanolamina sintética, pelo ICESP, diz respeito à criação de uma Comissão Parlamentar de Inquérito pela Assembleia Legislativa de São

² Outro critério que poderia considerar o tratamento válido seria a redução de 30% do tamanho do tumor em pelo menos 20% dos pacientes testados. Mas esse critério é ainda mais rigoroso.

Paulo, de acordo com o Ato nº 90, de 2017, de seu Presidente, com a finalidade de “apurar as razões que motivam o Estado a não realizar pesquisas para a liberação da substância fosfoetanolamina, produzida por cientistas no Campus da USP de São Carlos”.

A ideia é apurar se os estudos realizados no ICESP foram adequados, se ocorreram falhas no decorrer dos processos e na fixação da metodologia e se as conclusões obtidas pelos pesquisadores, que refletiram na decisão sobre a não continuidade das pesquisas, foram corretas.

4.2.3. ESTUDOS DO NPDM-UFC-CE

A Câmara dos Deputados autorizou a realização de uma Missão Oficial formada por membros da Subfármacos-2017 para uma reunião com o pesquisador Prof. Odorico Moraes, do Núcleo de Pesquisa e Desenvolvimento de Medicamentos da Universidade Federal do Ceará, no município de Fortaleza, no dia 26 de setembro de 2017, tendo como tema os resultados nos estudos com a fosfoetanolamina sintética e perspectivas. A missão contou com a participação dos Deputados Adelmo Carneiro Leão e Arlindo Chinaglia e das Deputadas Carmen Zanotto e Leandre.

Muitos dos resultados obtidos nos estudos já haviam sido levados ao conhecimento desta Casa, por ocasião do Relatório Final da Subcomissão Especial do ano de 2016. Importante observar que, naquela feita, a ação da fosfoetanolamina sobre os melanomas também havia sido detectada nos estudos do NPDM, assim como ocorreu com os estudos realizados pelo ICESP e nos ensaios feitos no Centro de Ensaios Pré-clínicos – CIEnp de Florianópolis/SC.

Além do efeito contra o melanoma, um outro efeito observado no NPDM/UFC foi reportado pelos pesquisadores aos membros da Subfármacos. A fosfoetanolamina sintética produziu, nos animais de laboratório submetidos ao seu consumo, um efeito euforizante. Tal efeito pode ser o responsável pela melhoria do bem-estar de muitos pacientes com câncer, que relataram melhora na disposição, a diminuição de uso de estratégias paliativas, como o consumo

de hipnoanalgésicos, e maior estímulo para o exercício das atividades diárias e retomada da rotina.

Consideramos que esse é um efeito que pode ser muito útil em pacientes com doenças debilitantes, como o câncer. A diminuição do uso de fármacos mais tóxicos e com maiores efeitos colaterais, como os derivados de morfina, pode ser bastante desejável. Melhoras no bem-estar dos pacientes são importantes para o prognóstico geral da doença e mereceriam um estudo mais detalhado e aprofundado desse efeito. Por essa razão, entendemos ser de bom alvitre o encaminhamento de uma Indicação aos Ministérios da Saúde e de Ciência e Tecnologia, Informações e Comunicações, para que avaliem conjuntamente a conveniência e a oportunidade para a ampliação do objeto de estudo com a fosfoetanolamina e seus possíveis efeitos relacionados com a melhoria do bem-estar físico e psíquico dos indivíduos, reportados pela pesquisa realizada no NPDM-UFC, bem como os efeitos contra os melanomas.

4.3 - ACOMPANHAMENTO DAS AÇÕES JUDICIAIS

Um dos principais resultados obtidos pelo Grupo de Trabalho da fosfoetanolamina foi a elaboração de um Projeto de Lei que deu origem à Lei Nº 13.269/2016. Essa lei autorizou o uso da substância fosfoetanolamina sintética por pacientes diagnosticados com neoplasia maligna em caráter excepcionalíssimo, e somente enquanto estivessem em curso estudos clínicos acerca dessa substância.

Entretanto, essa lei foi questionada por meio da Ação Direta de Inconstitucionalidade nº 5501, tendo o Supremo Tribunal Federal concedido liminar para suspender os efeitos do texto legal, até o pronunciamento sobre o mérito, que ainda está pendente até os dias atuais.

Além dessa ADI, existem dois Recursos Extraordinários em tramitação na Suprema Corte e com reconhecimento de repercussão geral, nos termos a seguir sumariados:

- a) RE 566471/RN: versa sobre a possibilidade de fornecimento, pelo Poder Público, de medicamento de alto custo não contemplado na

Rename, a lista de medicamentos padronizados pelo SUS. A sentença de primeiro grau reconheceu o direito da paciente em receber o medicamento sildenafil, a ser fornecido pelo Estado do Rio Grande do Norte, sentença que foi confirmada na segunda instância. O Estado, por meio de sua Procuradoria, então utilizou o Recurso Extraordinário ao STF, para ver tal obrigação excluída. O Ministro Relator, Marco Aurélio, apresentou voto que nega provimento ao recurso.

- b) RE 657718/MG: no caso desse recurso, o TJMG negou, em segunda instância, o pedido da autora da ação, a qual pleiteava o direito de receber do SUS o medicamento cinacalcete, que não possuía nem o registro sanitário na Anvisa à época do pedido. A tese que prevaleceu foi que o Judiciário, ao obrigar o Estado a fornecer medicamento ainda não autorizado, poderia praticar autêntico descaminho. A autora, ao interpor o RE, pediu que o STF definisse tese no sentido de que não pode ser negado o pedido de acesso a medicamentos, apenas por falta de registro da agência reguladora.

Desde o início do julgamento, em meados de setembro de 2016, os processos não foram novamente incluídos em pauta, ocorrendo, tão somente, movimentações processuais, em razão de pedidos de intervenção de terceiros. Importante salientar que em ambos os recursos, os casos concretos não estão mais em análise, uma vez que no primeiro RE o medicamento foi incluído na lista de remédios disponíveis pelo SUS e, no outro caso, o fármaco já foi registrado pela Anvisa. Mas como os processos tiveram repercussão geral reconhecida, o Relator frisou que o interesse coletivo se sobrepunha ao individual no sentido de ver a controvérsia analisada pelo Supremo, com a definição dos limites aos quais o Poder Público pode ou não ser compelido a fornecer medicamentos aos pacientes.

5. DOENÇAS GRAVES E RARAS E ACESSO A MEDICAMENTOS (ITENS 2 E 3 DO PLANO DE TRABALHO)

De uma forma geral, o acesso a medicamentos seguros, eficazes e com qualidade constitui um dos principais meios para a concretização do direito à saúde nos moldes previstos pela Constituição Federal, em especial, perante o princípio da integralidade. Mas a acessibilidade às terapias eficazes, para quem tem uma doença grave ou rara, é inexistente em muitos casos. Mesmo quando existe um medicamento útil, ele pode não estar disponível no SUS, por ainda não ter sido incorporado à Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME, o que restringe o direito de pacientes com doenças raras e graves, em muitas situações.

Apesar do grande número de fármacos existentes e disponíveis ao ser humano, ainda convivemos com número elevado de doenças que permanecem sem um tratamento curativo definitivo, como ocorre com as doenças crônicas e muitas doenças graves e raras. Controlam-se os sintomas da doença, alguns dos sintomas, como ocorre com a hipertensão, diabetes, depressão, epilepsia, artrite reumatoide, entre outras, mas a remissão completa não é obtida.

Além de enfrentarem a falta de medicamentos por questões logísticas, operacionais, gerenciais e de falta de dinheiro, entre outras deficiências, existe uma outra lacuna que impede que alguns pacientes tenham concretizado seu direito à saúde. Esse é o caso de pessoas com doenças graves e raras, quando não se tem acesso à terapia adequada por causa da inexistência dela.

Muitas patologias que afligem a humanidade ainda continuam sem o conhecimento científico suficiente e adequado sobre sua etiopatogenia, a ponto de permitir novas pesquisas que promovam a geração e o desenvolvimento de terapias e fármacos inovadores com eficiência sobre a causa principal da moléstia.

Ademais, essa falta de acesso reflete, em última análise, na impossibilidade de garantir-se o direito à saúde, na não concretização desse direito, nos moldes previstos constitucionalmente. Por mais que o Estado desenvolva programas ou ações direcionados a esses pacientes, essa garantia torna-se absolutamente inconsistente diante da impossibilidade de fornecimento

de uma terapia eficaz.

O Brasil, apesar de ser um dos maiores mercados consumidores de medicamentos, sendo o SUS o maior comprador mundial desses produtos, com despesas que superam os R\$ 8 bilhões/ano, não produz fármacos relevantes, nem descobre algum inovador. Toda a potencialidade da fauna e flora brasileiras, que poderia ser explorada para a descoberta de novas substâncias farmacologicamente ativas e úteis ao homem, fica esquecida pela ciência.

O SUS também não utiliza seu poder de compra para exigir da indústria farmacêutica pesquisa, desenvolvimento e inovação, apesar da alta lucratividade dos laboratórios farmacêuticos. O mercado farmacêutico nacional é abastecido por indústrias que elaboram meras cópias de substâncias que não têm mais patente. Há uma extrema dependência nacional das inovações produzidas em países desenvolvidos, algo que fica bem visível no setor farmacêutico.

A base acadêmica brasileira é comparável à de países com boa tradição em pesquisa científica, com relevante produção de artigos e revisões científicas. Mas toda essa produção não é transformada em inovação produtiva e em desenvolvimento.

Apesar de o Brasil possuir unidades das principais indústrias farmacêuticas instaladas no território nacional, as pesquisas por elas patrocinadas ficam limitadas aos estudos de Fase III, conforme foi constatado na Audiência Pública do dia 18/10/2017. Nessa fase, os protocolos científicos exigem a ampliação da análise clínica para outros centros, chamado de estudos multicêntricos, para avaliação das ações dos fármacos em diferentes raças com carga genética diferenciada. Porém é uma fase na qual, quem dela participa não tem qualquer ingerência no desenho metodológico da pesquisa, nem acesso aos dados e análises feitas, apenas executa o que é determinado pelo patrocinador. Por isso, a participação brasileira em pesquisa clínica se volta bastante para produtos que são interessantes, tanto do ponto de vista econômico, quanto do epidemiológico, para a população do país que iniciou os estudos.

Esse quadro de abandono é piorado, e muito, quando falamos em doenças raras, que possuem muito mais limitações para serem estudadas. Inicialmente, existe um número muito restrito de pacientes que podem ser utilizados nos estudos clínicos. Fica difícil construir um protocolo de pesquisas,

seguindo adequadamente a melhor metodologia científica, com uma amostra tão limitada.

Outra limitação, talvez a mais importante, diz respeito ao mercado consumidor desse produto. Como os medicamentos demandam investimentos em pesquisa que ultrapassam a barreira de um bilhão de dólares, o número muito baixo de pessoas que possuem uma doença rara torna absolutamente desinteressante tal investimento, tendo em vista a impossibilidade de sua recuperação e obtenção de lucro. Os altos custos terão grandes chances de se tornarem altos prejuízos.

Essa certamente é uma falha difícil de corrigir. Somente uma intervenção estatal pode tornar os estudos relacionados às doenças raras compensáveis. Outros incentivos precisam ser criados para que os centros de pesquisa de doenças e de terapias passem a ter interesse na inovação e desenvolvimento de esquemas terapêuticos úteis aos pacientes.

Como o setor de pesquisa e desenvolvimento na área farmacêutica demanda altos investimentos, os laboratórios acabam centralizando seus recursos em drogas que tenham grande potencial de mercado, que possam ser utilizados pelo maior número de pessoas, para potencializar seus lucros.

No Brasil, esse desinteresse é ainda maior porque os patrocinadores de estudos clínicos são obrigados a fornecer, gratuitamente, o medicamento em teste e após a concessão de registro, caso ocorra, a todos que participaram do estudo e durante todo o tempo que houver uma indicação médica para esse uso. Tal obrigação, no caso de doenças raras pode, na verdade, inviabilizar o estudo. Isso porque, sendo o número de pessoas atingidas pela doença muito baixo, muitos deles acabam tendo que participar dos ensaios clínicos para que o estudo seja suficientemente fundamentado frente à metodologia científica. Sobram menos pacientes como mercado financiador do medicamento no mercado.

Para ilustrar bem a situação, imaginemos uma doença que tem 50 casos no País, sendo que 40 deles são selecionados para participar dos ensaios clínicos. Restaram somente 10 que potencialmente poderão comprar o medicamento ao preço do mercado, ainda que seja por meio das compras públicas no âmbito do SUS.

Por isso, seria de bom alvitre que esse obstáculo fosse removido. O

direito de o paciente permanecer recebendo o medicamento órfão gratuitamente enquanto ele possuir indicação médica de uso precisa ser mantido, mas o pesquisador e titular do registro do produto não deve arcar com esse custo, para não ser desestimulado a desenvolver o medicamento. O Estado, por meio do SUS, precisa suportar as despesas relacionadas com esse grupo de pacientes que contribuiu para o desenvolvimento do fármaco. Essa obrigação, a ser assumida pelo sistema público, de forma compartilhada por toda a sociedade, é necessária para que as instituições privadas de pesquisa possam ser estimuladas a investir nos medicamentos órfãos.

Impende destacar, por oportuno, que a produção de conhecimento na área da farmacologia depende muito do saber adquirido sobre a doença, seus mecanismos de ação, da forma como ocorre a alteração fisiológica/metabólica ou orgânica, como se transmite e quais os aspectos que podem servir de prioridade para a intervenção terapêutica, em especial a farmacológica. Por isso, temas e técnicas de outras ciências como, por exemplo, a fisiologia, bioquímica, biologia celular e molecular, microbiologia, imunologia, genética, anatomia, patologia, entre outras habilidades da ciência da saúde são essenciais para a farmacologia.

Dessa forma, no desenvolvimento de novas terapias, que inclui os fármacos, uma ampla variedade de conhecimentos precisa estar presente como facilitadores para o encontro de substâncias inovadoras e, assim, aumentar suas chances de sucesso. Por isso, o pleno conhecimento dos mecanismos existentes na instalação e desenvolvimento de determinada patologia ou condição orgânica, passa a constituir aspecto essencial e inicial. Quando a ciência detém tal nível de conhecimento, fica menos complexo de detectar as possibilidades da intervenção terapêutica bem-sucedida. E isso mostra quão complexo pode ser o estudo dos chamados medicamentos órfãos.

O desenvolvimento de novos fármacos para condições orgânicas comuns, de alta incidência, já constitui um enorme desafio para os pesquisadores e para os laboratórios farmacêuticos. E tal desafio ganha contornos dramáticos quando estamos falando em doenças graves e raras. Nem sempre é fácil transformar o conhecimento e os achados científicos existentes em uma estratégia terapêutica eficiente. Quando esse conhecimento é ínfimo,

essa transformação torna-se quase impossível.

Nada obstante todas essas observações, entendemos que os principais obstáculos precisam ser removidos, para que o futuro de tão importante setor possa começar a ser alterado e para que as gerações futuras tenham melhor acesso aos medicamentos e maiores probabilidades de verem concretizados seus direitos. Por tal razão, consideramos que a elaboração de um Projeto de Lei direcionado a superar os problemas acima apontados, apesar de não os resolver, pode ser um começo, um ponto de partida para que o futuro seja bem diferente do contexto vigente.

Importante destacar, ainda, que nada obstante o tema principal desta Subcomissão Especial ter sido o acesso à terapia ainda em fase experimental, consideramos que tal objeto já foi alvo de muitas proposições legislativas direcionadas a permitir aos pacientes com doenças graves e raras utilizar medicamentos e outras terapias ainda não registradas, conforme será visto no tópico a seguir. Por isso, diante da diversidade de sugestões em tramitação sobre esse tema, esta Subcomissão direcionou sua atuação para as lacunas ainda não contempladas e, especialmente, para a eliminação dos problemas detectados no decorrer dos trabalhos.

6. Projetos de Lei em tramitação sobre o tema da Subfármacos-2017

Não obstante os problemas que envolvem o acesso às terapias e o desenvolvimento de novos fármacos para o tratamento de doenças raras e graves, existem muitas iniciativas em tramitação na Câmara dos Deputados que tratam desse tema. As principais, que merecem ser destacadas, são as seguintes:

- PL 3.167/2008, de autoria do Deputado Luiz Carlos Hauly (PSDB/PR), que obriga o fornecimento de medicamentos para portadores de doenças crônicas de baixa prevalência ou rara a pacientes da rede pública de saúde e determina participação de todos os entes federados no financiamento dos medicamentos;
- PL 2.669/2011 (arquivado), de autoria do Deputado Jean Willys (PSOL/RJ), que dispõe sobre diretrizes para o tratamento de doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde e dá outras providências;

- PL 4.815/2012, da Deputada Mara Gabrilli (PSDB/SP), que institui o Serviço de Apoio Especializado para Atividades da Vida Diária, destinado a pessoas com deficiência severa ou doenças raras com grande restrição de movimentos, com o objetivo de garantir sua autonomia e independência pessoal;
- PL 6.566/2013, de autoria do Senador Eduardo Suplicy (PT/SP), que obriga o repasse de 30% dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, em atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e etc., destinados ao tratamento de doenças raras ou negligenciados;
- PL 8.188/2014, de autoria do Senador Eduardo Suplicy (PT/SP), que dispõe sobre a instituição do Dia Nacional de Doenças Raras;
- PL 2.657/2015, de autoria do Senador Vital do Rêgo (PMDB/PB), que dispõe sobre o registro e a importação, por pessoa física, de medicamento órfão, bem como prevê critério diferenciado para a avaliação e a incorporação destes medicamentos, especifica também que, na definição e no reajuste de preços dessas medicações, a comparação de preços deve-se restringir aos dessa categoria;
- PL 3.302/2015, de autoria do Deputado Pedro Cunha Lima (PSDB/PB), que 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 SUS;
- PL 2.654/2015, de autoria do Deputado Diego Garcia (PHS/PR), que inclui as despesas com aquisição de medicamentos para tratamento de doenças raras nas hipóteses de dedução da base de cálculo do imposto de renda das pessoas físicas;
- PL 4.345/2016, de autoria do Deputado Atila A. Nunes (PSL/RJ), que cria os centros para tratamento de doenças raras em todos os estados da federação e dá outras providências;
- PL 4.818/2016, de autoria da Deputada Mariana Carvalho (PSDB/RO), 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;

- PL 5.017/2016, de autoria da Deputada Leandre (PV/PR), que trata do uso compassivo de fármacos experimentais por pacientes portadores de moléstia grave ou rara;
- PL 5.998/2016, de autoria da Deputada Mariana Carvalho (PSDB/RO), que estabelece critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras;
- PL 6.513/2016, de autoria do Deputado Rogério Peninha Mendonça (PMDB/SC), que institui incentivo fiscal para doações destinadas a pagamento de despesas com tratamento de saúde e aquisição de medicamentos não oferecidos pelo Sistema Único de Saúde;
- PL 6.607/2016, de autoria do Deputado Fausto Pinato (PP/SP), que trata sobre registro e importação, por pessoa física, de medicamento órfão; estabelece critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamento órfão;
- PL 7082/2017, de autoria da Senadora Ana Amélia e dos Senadores Waldemir Moka e Walter Pinheiro, que dispõe sobre a pesquisa clínica com seres humanos e institui o Sistema Nacional de Ética em Pesquisa Clínica com Seres Humanos.

Como visto acima, o Parlamento tem tentado modificar o contexto atual enfrentado por pessoas que possuem doenças graves e raras. Mesmo diante da existência de uma regulamentação sobre o tema, por meio da Portaria GM/MS nº 199, de 30 de janeiro de 2014, que “institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio”, os representantes do povo reconhecem que tal política não se mostra eficaz.

Referida Portaria trata de modo bastante completo as ações, programas e políticas direcionadas a garantir a atenção integral aos indivíduos com doenças raras, inclusive o aconselhamento genético para aqueles que possuam o risco de desenvolvê-las, por questões hereditárias. No entanto, conforme foi

ressaltado nos trabalhos realizados pela Subcomissão, na prática, aquilo que foi idealizado na norma, o País ainda não realiza. A norma pode até ser considerada adequada, atualizada e suficiente. Porém, as ações para torná-la uma realidade praticamente não existem, e as que foram idealizadas mostram-se inócuas para a solução dos problemas.

Tendo em vista a ausência de concretização de tão importante política para o direito à saúde no Brasil, consideramos de bom alvitre que esta Comissão solicite ao Tribunal de Contas da União, por meio de uma Proposta de Fiscalização e Controle, a inclusão no seu Plano de Fiscalização Operacional do ano de 2018, da previsão de realização de uma auditoria operacional, de âmbito nacional, para avaliar o desempenho da Política de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras.

7. CONCLUSÕES

Os trabalhos realizados pela Comissão de Seguridade Social e Família, por meio do Grupo de Trabalho da fosfoetanolamina e das Subcomissões Especiais sobre fármacos dos anos de 2016 e 2017, demonstraram os grandes desafios para o país relacionados à pesquisa, inovação e desenvolvimento de fármacos, ao acesso a tais produtos, em especial quando em fase experimental, e as dificuldades de concretização do direito à saúde enfrentados por pacientes com doenças graves e raras. São muitos os entraves existentes para criar um ambiente propício e estimulante para atrair investimentos em pesquisa de fármacos inovadores.

No caso dos medicamentos órfãos, esses obstáculos são ainda maiores e mais visíveis, com reflexos muito negativos no que tange à proteção, recuperação e promoção da saúde dos pacientes com doenças raras e graves. O Projeto de Lei anexo ao presente Relatório busca alterar o ordenamento jurídico na tentativa de contornar, ainda que parcialmente, alguns desses problemas. Sabemos que o caminho a ser percorrido será longo e repleto de desafios. Mas entendemos que a proposta serve para ampliar os debates sobre as possibilidades que podemos explorar para superar os óbices citados neste Relatório.

A ideia principal é conseguir a ampliação dos estudos, transformar o conhecimento em inovação e facilitar o acesso universal à atenção integral à saúde, como um objetivo permanente do Estado, assim como de toda a sociedade e suas instituições, a exemplo, dos laboratórios farmacêuticos.

No que tange ao caso da fosfoetanolamina sintética, os resultados observados pelos pesquisadores que sugerem a sua ação contra o melanoma, além de um efeito de melhoria do bem-estar físico e psíquico de quem a utiliza, fundamentariam a continuidade dos estudos mais restritos e relacionados especificamente a esses dois efeitos. Vale lembrar que o melanoma é uma das neoplasias de pior prognóstico. Sendo essa substância não tóxica, bem tolerada e sem produção de efeitos adversos indesejáveis, a exploração de seu potencial na melhoria do bem-estar geral dos pacientes, com redução dos cuidados paliativos e no uso de substâncias mais agressivas, com muitos efeitos colaterais, também pode representar ganhos significativos, que não podem ser desconsiderados. Assim, consideramos ser de bom alvitre que esta Comissão recomende ao Executivo a avaliação acerca da conveniência e oportunidade da continuidade dos estudos com a fosfoetanolamina relacionados com seus efeitos contra o melanoma e de melhoria do bem-estar geral, físico e psíquico, de quem a utiliza.

Por fim, em que pese a relevância da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, conforme ficou constatado por esta Subfármacos, ela está longe de ser concretizada e produzir frutos na vida dos seus beneficiários diretos. A ideia em solicitar ao Tribunal de Contas da União uma auditoria operacional sobre essa política funda-se exatamente na necessidade de se investigar o que está impedindo tão importante política de sair do papel, de virar realidade, de ser um instrumento de concretização de direitos fundamentais sensíveis para milhões de pessoas que enfrentam as doenças raras e graves no Brasil. Essa auditoria poderá apresentar conclusões extremamente relevantes para a tomada futura de decisões relacionadas à competência do Congresso Nacional e de suas Casas e que podem representar mudanças úteis no âmbito do direito à saúde.

PROJETO DE LEI Nº , DE 2017

(Da Comissão de Seguridade Social e Família)

Dispõe sobre os direitos de pessoas diagnosticadas com doenças graves e raras, deveres do Sistema Único de Saúde, medicamentos órfãos e incentivos à sua produção e pesquisa.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Esta lei dispõe sobre os direitos de pessoas diagnosticadas com doenças graves e raras, deveres do Sistema Único de Saúde, medicamentos órfãos e incentivos à sua produção e pesquisa.

Art. 2º Doença rara é aquela que atinge no máximo 65 pessoas para um grupo de 100 mil indivíduos.

Art. 3º Doenças graves são aquelas que representam grave ameaça à vida e alto potencial debilitante e de causar morbidade incapacitante.

Art. 4º Considera-se medicamento órfão aquele que foi desenvolvido especificamente para o diagnóstico, prevenção e tratamento de uma doença ou condição rara e grave, para a qual não exista outro tratamento eficaz e autorizado no território brasileiro ou que se mostre clinicamente superior aos medicamentos existentes.

§1º. A maior significância clínica será configurada quando um medicamento demonstrar que possui vantagens terapêuticas superiores às drogas aprovadas, nas seguintes formas:

I - Maior efetividade do que um medicamento aprovado para a doença ou condição, comprovada mediante ensaios clínicos comparativos, ou análises de casos concretos estudados;

II - Maior segurança em parcela significativa da população alvo, com a diminuição da potência e variabilidade dos efeitos secundários

indesejados, mediante estudos que possam comparar as duas diferentes substâncias.

III - Comprovação de que o medicamento órfão traz grande contribuição nos cuidados ao paciente, como a melhoria de seu bem-estar, alívio das dores, diminuição da morbidade e sintomatologia incapacitante.

§2º A Agência Nacional de Vigilância Sanitária deverá adotar requisitos diferenciados e simplificados para o registro de medicamentos órfãos, que considerem as complexidades do estudo da doença, dos fármacos, o número total de pacientes no território nacional, as dificuldades em estabelecer protocolos de pesquisa, entre outros aspectos, além de conferir prioridade na análise dos pedidos que envolvam esse tipo de medicamento, nos termos regulamentares.

§3º Os medicamentos órfãos terão um adicional de 5 anos de exploração exclusiva de mercado, além do tempo de proteção fixado em lei para os demais medicamentos.

§4º Os pacientes que participarem de pesquisas clínicas com medicamentos órfãos no Brasil terão o direito de recebê-los gratuitamente, diretamente do patrocinador, enquanto houver indicação médica para seu uso e até sua incorporação ao SUS.

Art. 5º Todos os pacientes com doenças raras e graves têm o direito de:

I - acesso ao atendimento integral e multidisciplinar à saúde;

II – fazer uso de medicamento órfão, registrado ou que ainda esteja em estudo clínico, destinado especificamente para o tratamento da doença respectiva, quando não houver outro tratamento disponível com eficácia reconhecida, ainda que não esteja participando do referido estudo e não tenha sido contemplado para uso compassivo;

III – importar medicamentos órfãos, diretamente ou por interposta pessoa, para uso exclusivamente pessoal para tratamento de doença rara e grave devidamente diagnosticada, conforme laudos médicos e ainda que o produto não tenha sido registrado no País, nos termos regulamentares;

IV – receber do Sistema Único de Saúde os medicamentos órfãos que forem regularmente registrados no Brasil;

V – ter acesso a serviços de aconselhamento genético, que deverão disponibilizar, entre outros, os testes genéticos necessários para a conclusão diagnóstica inequívoca das doenças raras.

§1º O direito previsto no inciso II será exercido após a assinatura de Termo de Consentimento Esclarecido pelo paciente, no qual conste o alerta sobre os riscos do uso de produto ainda não registrado, da ausência da comprovação científica completa sobre a segurança e eficácia do produto e sobre a responsabilidade exclusiva do paciente ao fazer a opção pelo uso de terapia ainda em fase experimental.

§2º Todas as informações obtidas no acompanhamento genético e nos testes genéticos preservarão o sigilo dos pacientes.

Art. 6º É obrigação do Sistema Único de Saúde:

I - disponibilizar aos pacientes com doenças graves e raras a atenção à saúde de forma integral;

II – fornecer os medicamentos órfãos registrados no Brasil;

III – criar e manter centros de saúde especializados no tratamento de doenças graves e raras;

IV – disponibilizar na rede assistencial, ainda que de forma referenciada, os serviços de acompanhamento genético dos pacientes com doenças raras e graves, inclusive os testes genéticos necessários para a conclusão diagnóstica inequívoca de pacientes e familiares;

V – desenvolver e manter sistema de informação com todos os dados relacionados aos pacientes com doenças raras e os resultados dos testes genéticos realizados, preservado o sigilo dos pacientes.

VI – incentivar, patrocinar, participar e financiar pesquisas com fármacos inovadores, estudos clínicos e pré-clínicos, diretamente ou mediante a celebração de parcerias e acordos com instituições de pesquisa, de natureza pública ou privada, nacional ou internacional.

§1º As informações e dados genéticos poderão ser utilizadas, desde que preservado o sigilo da identidade do paciente, para a pesquisa e o desenvolvimento de medicamentos órfãos, por instituições públicas e privadas, nacionais e internacionais, no âmbito de acordos de cooperação técnica celebrados entre as instituições de pesquisa e as titulares das informações.

§2º Todas as informações obtidas no processo de aconselhamento genético e testes genéticos são sigilosas e deverão compor um sistema de informações para a elaboração de políticas e programas destinados a prevenir, diagnosticar e tratar doenças raras.

Art. 7º A União, os Estados e municípios deverão incentivar a pesquisa e desenvolvimento de terapias inovadoras para o tratamento de doenças graves e raras por meio de financiamento, celebração de convênios e acordos de cooperação e desenvolvimento de políticas, programas e ações públicas destinadas a melhorar, capacitar, modernizar e ampliar os centros de pesquisa nacionais.

Art. 8º A Anvisa poderá celebrar acordos de cooperação técnica com as demais autoridades sanitárias de outros países para a troca de informações relacionadas a produtores, produtos e processos que envolvam os medicamentos órfãos.

Art. 9º A Lei nº 10.603, de 17 de dezembro de 2002, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 1º Esta Lei regula a proteção, contra o uso comercial desleal, de informações relativas aos resultados de testes ou outros dados não divulgados apresentados às autoridades competentes como condição para aprovar ou manter o registro para a comercialização de produtos farmacêuticos de uso humano e veterinário, fertilizantes, agrotóxicos seus componentes e afins.
(NR)”

.....

Art. 4º

.....

§3º Os prazos previstos nos incisos I e II ficam acrescidos em 5 quando se tratar de medicamentos órfãos destinados especificamente para o tratamento de doenças raras e graves. (NR)”

Art. 10 O art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passa a vigorar acrescido do §3º seguinte:

“Art. 19-Q.....

.....

§3º No caso de análise de medicamento órfão para incorporação ao SUS, não será feita a avaliação econômica comparativa com as tecnologias já incorporadas, devendo a CONITEC considerar, tão somente, a análise econômica restrita aos custos e benefícios esperados com o uso do medicamento e a avaliação sobre a maior significância clínica, a qual será configurada quando um medicamento demonstrar que possui vantagens terapêuticas superiores às drogas aprovadas, nas seguintes formas:

I - Maior efetividade do que um medicamento aprovado para a doença ou condição, comprovada mediante ensaios clínicos comparativos, ou análises de casos concretos estudados;

II - Maior segurança em parcela significativa da população alvo, com a diminuição da potência e variabilidade dos efeitos secundários indesejados, mediante estudos que possam comparar as duas diferentes substâncias.

III - Comprovação de que o medicamento órfão traz grande contribuição nos cuidados ao paciente, como a melhoria de seu bem-estar, alívio das dores, diminuição da morbidade e sintomatologia incapacitante. (NR)”

Art. 11 Esta lei entra em vigor na data de sua publicação.

JUSTIFICAÇÃO

A Comissão de Seguridade Social e Família, por meio da Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa,

desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras – Subfármacos-2017, promoveu uma série de ações destinadas a conhecer melhor a realidade dos pacientes com doenças graves e raras, em especial as possibilidades de acesso aos medicamentos. No curso dos debates, ficou demonstrado diversos problemas enfrentados por esse grupo de pacientes que torna praticamente impossível a concretização de seus direitos relacionados à saúde, em sua integralidade.

A pesquisa, inovação e desenvolvimento de produtos terapêuticos específicos para as doenças classificadas como graves e raras esbarra na falta de interesse da iniciativa privada em pesquisar e desenvolver produtos para um mercado consumidor muito pequeno. Os custos para a descoberta de novos fármacos são muito elevados e difíceis de serem recuperados no caso das doenças raras.

A proposta busca criar incentivos para o desenvolvimento dos chamados medicamentos órfãos, os quais teriam requisitos menos rigorosos, do ponto de vista dos estudos científicos e análise sanitária, e prazo maior para exploração com exclusividade de mercado. Além disso, ao ser qualificado dessa forma, se cumprir o critério de maior significância clínica, o medicamento órfão será incorporado ao SUS, independente de parecer da CONITEC, como forma de garantir a integralidade do direito à saúde para os pacientes com doenças raras e graves, algo que já vem sendo reconhecido rotineiramente pelo Poder Judiciário. Espera-se também diminuir a quantidade de processos judiciais que buscam a garantia de acesso a produtos específicos para o combate às doenças raras.

A matéria também alberga o direito daqueles que participam de estudos clínicos, envolvendo medicamentos órfãos, de receberem os produtos gratuitamente e direto do laboratório patrocinador, durante todo tempo que possuir indicação médica para seu uso. Entretanto, o SUS ficará obrigado a ressarcir os custos desses medicamentos. Tal medida é necessária para viabilizar a realização de estudos no Brasil, para as doenças raras de menor prevalência, para as quais não haveria possibilidade de o desenvolvedor sequer recuperar seus investimentos, tendo em vista o mercado potencial ínfimo.

Além disso, o PL traz de forma expressa quais os direitos são titularizados pelos pacientes com doenças raras e graves, bem como os deveres do SUS em relação a tais pacientes. Merece destaque o tratamento especial que é dado ao aconselhamento genético e à realização dos testes genéticos que forem necessários à obtenção do diagnóstico conclusivo e inequívoco sobre a doença. Todos os dados gerados nesse procedimento deverão compor um sistema de informações que permita a formulação de políticas, programas e ações de planejamento para a prevenção da ocorrência de novos casos e o fornecimento de subsídios para a pesquisa e o estudo das doenças e respectivos protocolos terapêuticos.

O Projeto também confere proteção ao dossiê de pesquisa, no intuito de evitar o uso não autorizado de informações privilegiadas, algo que contribui para desestimular ainda mais a pesquisa de medicamentos órfãos. Essa proteção está atualmente prevista na Lei nº 10.360, de 17 de dezembro de 2002, que de forma bastante incoerente não protege os produtos farmacêuticos de uso humano, enquanto protege os de uso veterinário.

Há, ainda, a previsão para que o Poder Público incentive as pesquisas e a inovação na área das doenças graves e raras. Esse estímulo pode ser viabilizado por meio de financiamento, celebração de convênios e acordos de cooperação com instituições que tenham a pesquisa com função principal, além do desenvolvimento de políticas, programas e ações públicas destinadas a melhorar, capacitar, modernizar e ampliar os centros de pesquisa nacionais.

A celebração de acordos de cooperação relacionados a esse tema pode ser relevante, em alguns casos até essencial, para aumentar as possibilidades de sucesso. O intercâmbio de informações entre autoridades de diversos países pode ser um importante diferencial para novas descobertas, ainda mais quando consideramos a pequena quantidade de pacientes ao redor do mundo que possuem determinadas doenças.

Ante a relevância para a concretização do direito à saúde dos pacientes que possuem doenças raras e graves, solicitamos o apoio dos demais parlamentares no sentido da aprovação da presente proposta.

Sala das Sessões, em de de 2017.

Deputados

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA**PROPOSTA DE FISCALIZAÇÃO E CONTROLE Nº , DE 2017****(DA COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA)**

Propõe à realização de uma Auditoria de Natureza Operacional acerca da Política Nacional de Atenção Integral às Doenças Raras.

Senhor Presidente,

Com base no art. 100, § 1º, combinado com o art. 24, inciso X, com o art. 60, inciso II e com o art. 61, §1º do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, e dos incisos IV e VII do art. 71 da Constituição Federal, proponho que esta Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF solicite ao Tribunal de Contas da União – TCU que inclua, no seu Plano de Fiscalização Operacional para o exercício de 2018, uma previsão para a realização de uma auditoria operacional envolvendo a avaliação da Política Nacional de Atenção Integral às Doenças Raras.

JUSTIFICAÇÃO

A Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras – Subfármacos-2017 constatou, durante a execução de seus trabalhos, que a Política Nacional de Atenção Integral às Doenças Raras não tem produzido os frutos idealizados quando de sua concepção.

Apesar da importância dessa política e das qualidades da sua estrutura normativa, na prática ela não tem sido eficaz. Para a Subfármacos não

foi possível constatar as razões, ou obstáculos, que levam à ineficácia daquilo que foi idealizado normativamente.

A ideia de buscar apoio no Tribunal de Contas da União é apoiada pelo reconhecimento da elevada capacidade técnica na avaliação de políticas públicas que detém a Corte de Contas. O TCU já mostrou, em oportunidades anteriores, que pode apresentar grandes contribuições ao Congresso Nacional, não somente pela elevada competência de seu corpo técnico, mas por possuir unidades distribuídas em todos os Estados brasileiros. Essa capilaridade pode ser muito útil na avaliação de uma política de âmbito nacional.

Os trabalhos do TCU podem, assim, fornecer dados e conclusões que auxiliarão o Congresso Nacional, as suas Casas e Comissões, a promover ações de sua alçada para a remoção dos obstáculos detectados. A partir da avaliação operacional da política em tela, poderão ser adotadas medidas legislativas que possam facilitar a concretização da Política Nacional de Atenção Integral às Doenças Raras.

Ante o exposto, solicitamos o apoio dos parlamentares no sentido do acolhimento da presente proposta.

Sala da Comissão, em de de 2017.

Deputados

REQUERIMENTO

Da Comissão de Seguridade Social e Família

Requer o envio de Indicação aos Ministérios da Saúde e da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações, sugerindo que seja dada continuidade aos estudos com a fosfoetanolamina sintética, no que tange aos seus possíveis efeitos contra o melanoma e de melhoria do bem-estar físico e psíquico.

Senhor Presidente:

Nos termos do art. 113, inciso I e § 1º, do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, requeiro a V. Ex.^a seja encaminhada aos Ministérios da Saúde e da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações a Indicação anexa, sugerindo que seja dada continuidade aos estudos com a fosfoetanolamina sintética, no que tange aos seus possíveis efeitos contra o melanoma e de melhoria do bem-estar físico e psíquico dos indivíduos que a utilizam.

Sala das Sessões, em de de 2017.

Deputados - Assinaturas

INDICAÇÃO Nº , DE 2017
Da Comissão de Seguridade Social e Família

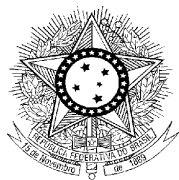
Sugere que seja dada continuidade aos estudos com a fosfoetanolamina sintética, para que sejam investigados seus efeitos contra o melanoma e de melhoria do bem-estar físico e psíquico dos indivíduos que a utilizam.

Excelentíssimos Senhores Ministros da Saúde e da
Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações:

A Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras – Subfármacos-2017, da Comissão de Seguridade Social e Família da Câmara dos Deputados, dando continuidade aos trabalhos realizados pelo Grupo de Trabalho da fosfoetanolamina e pela Subfarma-2016, acompanhou os estudos acerca dessa substância, financiados com recursos federais e efetivados pelo Centro de Inovação e Ensaios Pré-clínicos CIEnp e pelo Núcleo de Pesquisa e Desenvolvidos de Medicamentos – NPDM da Universidade Federal do Ceará – UFC.

Os membros das referidas Subcomissões também visitaram os centros de estudo, em Missão Oficial, para discutir os resultados e conclusões obtidos nessas análises e as perspectivas para a continuidade ou não dos trabalhos.

Além dos estudos financiados pela União, o Instituto de Câncer do Estado de São Paulo – ICESP também conduziu ensaios clínicos de



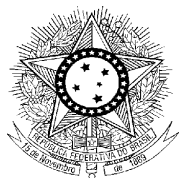
**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS**

fase I e II com a fosfoetanolamina sintética. Apesar dos resultados não terem sido promissores, o que chamou a atenção desta Subcomissão foi o efeito do composto contra o melanoma, observado pelo Icesp em um dos pacientes que participou do estudo.

O achado do Icesp também foi reproduzido nos ensaios pré-clínicos em cultura de células, realizados pelo CIEnp, assim como em animais de laboratório utilizados no estudo do NPDM/UFC. Dessa forma, considerando que o melanoma é um câncer agressivo, relativamente comum e que não apresenta um prognóstico muito bom para o paciente, esta Subcomissão entende que a continuidade dos estudos com a fosfoetanolamina para que seja aprofunda a análise relacionada à sua efetividade contra esse tipo específico de neoplasia, seria extremamente recomendável.

Outra observação que merece menção diz respeito a um possível efeito relacionado à melhoria do bem-estar geral do paciente nos aspectos físico e psíquico, com o uso da substância. Conforme observações realizadas pelos pesquisadores do NPDM/UFC, os animais de laboratório que consumiram a fosfoetanolamina mostraram uma agitação maior que o grupo controle, não esperada. Esse efeito pode explicar, ao menos em parte, a melhora de bem-estar e da disposição dos pacientes com neoplasias e em estado de prostração, após consumirem a composição fornecida pelos pesquisadores do Instituto de Química de São Carlos da Universidade de São Paulo. Como relatado por muitos desses consumidores, em pouco tempo após iniciado o uso da substância, eles ficavam mais dispostos, melhoravam seu bem-estar geral, voltavam a deambular e alguns até retornavam à rotina normal.

Tendo em vista que a fosfoetanolamina demonstrou, inclusive nos testes financiados pela União, não ser tóxica ao organismo humano, ser uma substância com custos de produção relativamente baixos e não causar efeitos colaterais, ela se apresenta como uma boa alternativa para muitos tratamentos paliativos que possuem um nível de segurança inferior e uma toxicidade mais alta. Por essas razões, a Subcomissão entende que esse possível efeito de melhoria do bem-estar, creditada ao consumo do composto, merece um aprofundamento maior por meio de estudos devidamente adstritos à metodologia científica.



CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS

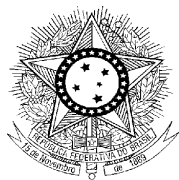
Assim, a Comissão de Seguridade Social e Família apresenta ao Ministério da Saúde e ao Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações a presente Indicação, com o intuito de sugerir que sejam avaliadas a conveniência e a oportunidade de serem feitos novos estudos direcionados à comprovação dos efeitos antitumorais contra o melanoma e relacionados à melhoria do bem-estar físico e psíquico dos indivíduos.

Sala das Sessões, em de de 2017.

Deputados

Assinaturas:

2017_12268



**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS**

REQUERIMENTO Nº , DE 2017

(Da Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras – **Subfarma**)

Solicita o envio de REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO ao Sr. Ministro da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações a respeito das etapas, gastos e conclusões das pesquisas com a fosfoetanolamina sintética.

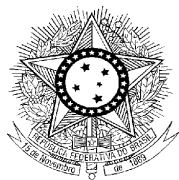
Senhor Presidente,

Requeremos a V. Exa., com base nos artigos 24, inciso V, 115, inciso I, e 116 do Regimento Interno, combinados com o art. 50, § 2º, da Constituição Federal, que, seja enviado Requerimento de Informação ao Sr. Ministro da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações, a fim de que sejam fornecidos relatórios circunstanciados a respeito das etapas, gastos e conclusões das pesquisas com a fosfoetanolamina sintética conduzidas pelos pesquisadores contratados por aquela Pasta Ministerial.

JUSTIFICAÇÃO

A Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF da Câmara dos Deputados, na sessão legislativa do corrente ano, recriou esta Subcomissão Especial para tratar exclusivamente dos temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras – Subfarma.

Nos dois anos pretéritos, a Subfarma (que, inicialmente, se apresentou na forma de um Grupo de Trabalho) tem acompanhado o tema



**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS**

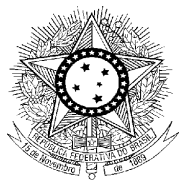
“fosfoetanolamina”, e o Relatório Final da Subcomissão de 2016 decidiu por manter esse acompanhamento na sessão legislativa de 2017.

Ao concluirmos os trabalhos da Subcomissão no ano em curso, julgamos pertinente colocar à disposição da sociedade brasileira os dados referentes às etapas, gastos e conclusões das pesquisas financiadas com recursos públicos.

Essas as razões do presente Requerimento.

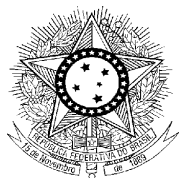
Sala das Sessões, em de de 2017.

Deputado **Arlindo Chinaglia**
Presidente



CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS

ANEXOS



ANEXO 1

PLANO DE TRABALHO

Presidente: Deputado Arlindo Chinaglia – PT/SP

Vice-Presidente: Carmen Zanotto – PPS/SC

Relatora: Deputada Leandre PV/PR

Relator: Deputado Diego Garcia – PHS/PR

Constituição: 26/04/2017

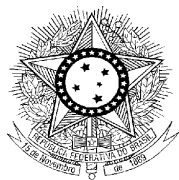
Instalação: 10/05/2017

INTRODUÇÃO

O direito à saúde no Brasil enfrenta muitos obstáculos para a sua concretização nos moldes idealizados pela Constituição Federal. Apesar de o Sistema Único de Saúde ter sido imaginado como um sistema universal que pudesse garantir atenção integral a todos, de forma isonômica e equitativa, as inúmeras carências que tal sistema enfrenta mostram que o ideal está muito longe de ser alcançado. A falta de medicamentos e insumos básicos, a extrema iniquidade na distribuição dos recursos humanos e tecnológicos, a obsolescência dos equipamentos, a deterioração das unidades de saúde e a base de financiamento achatada são fatos que impedem a concretização desse direito e que violam a dignidade humana. Essas ocorrências são ainda mais sentidas, mais visíveis e mais complexas quando estão correlacionadas às doenças graves e raras.

A Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados à pesquisa, desenvolvimento e uso de fármacos experimentais para tratamento de doenças graves ou raras foi criada mediante a aprovação, pelo Plenário da Comissão de Seguridade Social e Família, do Requerimento nº 466/2017 apresentado pela Deputada Leandre e outros. Tal providência consiste, de fato, na retomada dos trabalhos e estudos outrora realizados durante a sessão legislativa do ano de 2016, tendo em vista a atribuição da CSSF no acompanhamento de assuntos relacionados à pesquisa e desenvolvimento de fármacos e no acesso facilitado a tais produtos ainda em fase experimental.

Importante esclarecer que a continuidade desse acompanhamento e do aprofundamento das análises acerca desse importante tema foi proposta no Relatório Final da Subfarma de 2016, o qual foi aprovado por unanimidade pela CSSF.



CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS

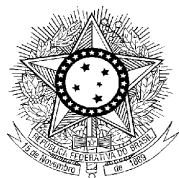
Ressalte-se, ainda, que os assuntos relacionados à ampliação do acesso à atenção terapêutica sempre merecerem destaque no âmbito da CSSF, ainda que de modo difuso. Recentemente, o interesse do Parlamento nesse assunto ampliou-se de modo substancial após o caso da fosfoetanolamina sintética, em especial em função do grande espaço que esse caso ocupou nos veículos de comunicação a partir do final de 2015. O interesse social que foi suscitado em torno da chamada “pílula do câncer” exigiu que esta Casa dedicasse especial atenção no estudo do tema de modo aprofundado, no claro intuito de buscar a proteção do interesse público e adotar as medidas sob competência do Poder Legislativo.

Nesse contexto e tendo em vista as intersecções do caso com direitos sensíveis, como o direito à vida, à saúde e à liberdade, além do princípio da dignidade humana, que sublinharam ainda mais a relevância social do assunto, a CSSF criou, em 18/11/2015, um Grupo de Trabalho específico com o objetivo de acompanhar todos os desdobramentos que envolvessem, direta ou indiretamente, a produção, a distribuição e o acesso à fosfoetanolamina sintética. Dentre os muitos frutos produzidos por esse GT, um merece especial destaque: a Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016. A elaboração dessa lei foi resultado de um esforço suprapartidário, no âmbito da CSSF, que agregou os Deputados membros do referido Grupo de Trabalho e os autores de projetos, então em tramitação, que tratavam da garantia de acesso à fosfoetanolamina sintética.

Diante dos resultados obtidos pelo referido GT, a CSSF então decidiu criar uma Subcomissão Especial, instalado no dia 01/06/2016, para aprofundamento dos estudos relacionados ao uso de fármacos experimentais, das possibilidades de acesso facilitado a tais produtos, com enfoque especial para as doenças graves e raras, e para o acompanhamento de todos os desdobramentos envolvendo o caso da fosfoetanolamina sintética.

A complexidade da matéria, aliada à falta de conclusão de alguns importantes objetivos fixados pela citada Subcomissão, do ano de 2016, o Relatório Final apresentado e aprovado pela CSSF indicou a necessidade de continuação dos trabalhos, os quais deveriam ser retomados na sessão legislativa de 2017.

Conforme bem ressaltado no requerimento que deu origem a instituição da presente Subcomissão Especial, tendo como base as



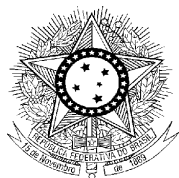
CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS

conclusões divulgadas no Relatório Final da Subfarma-2016, alguns objetivos inicialmente previstos não foram atingidos em sua integralidade, tendo sido destacados os seguintes pontos:

- As pesquisas científicas envolvendo a fosfoetanolamina sintética, financiadas com recursos públicos federais e estaduais, ainda não foram concluídas; com isso, muitos aspectos ainda precisam ser estudados e entendidos plenamente, a exemplo dos ensaios clínicos de fase II, que têm previsão de término em 2017;
- As questões jurídicas envolvendo os limites da garantia de acesso aos medicamentos, levadas à apreciação do Supremo Tribunal Federal, ainda não obtiveram seu pronunciamento de mérito; e
- As possibilidades de acesso às terapias experimentais ainda não foram suficientemente aprofundadas, como os obstáculos ao uso compassivo, o acesso expandido, o estudo de extensão e o fornecimento pós-estudo.

Certamente são aspectos importantes que ainda estão em curso e que merecem toda a atenção do Poder Legislativo no sentido de detectar os problemas existentes na intenção de buscar as soluções possíveis. Essa é a missão da atual Subcomissão Especial, dar continuidade aos trabalhos que foram até então realizados, com a finalidade de propor medidas que ampliem o acesso aos medicamentos dos pacientes que possuem doenças raras e graves.

O Plano de Trabalho, que ora submetemos à apreciação dos demais membros, traça os objetivos e o planejamento inicial para a atuação da Subcomissão, com o objetivo de, ao promover um maior conhecimento sobre o assunto, permitir a proposição de medidas da alçada do Legislativo para que o direito à saúde possa ser concretizado nos moldes idealizados pelo Constituinte, em especial no que tange ao direito de acesso à atenção integral e universal.



OBJETIVOS E AÇÕES

O objetivo geral desta Subcomissão Especial é debater de modo aprofundado os problemas que envolvem o desenvolvimento de novos fármacos no Brasil, em especial os destinados às doenças graves e raras, bem como ao acesso a tais produtos, inclusive na sua fase experimental, com a finalidade de propor medidas que possam superar os problemas enfrentados.

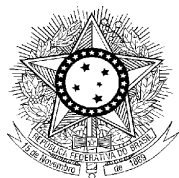
Para atingir sua finalidade, sugerimos que esta Subcomissão, sem prejuízo da adoção de outras medidas aprovadas posteriormente, envide esforços para a consecução das seguintes ações/atividades:

Fosfoetanolamina sintética

- a. Avaliar o estágio atual dos estudos sobre essa substância financiados com recursos públicos, em especial os aspectos relacionados à efetividade da despesa pública;
- b. Debater as conclusões obtidas pelos estudos científicos realizados;
- c. Analisar as próximas ações e a continuidade dos estudos científicos acerca dessa substância;
- d. Promover reunião interna entre os pesquisadores, os membros da Subfarma e o Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações – MCTIC;
- e. Visitar, caso necessário, os centros de pesquisa que realizaram os estudos científicos com a fosfoetanolamina;
- f. Acompanhar os processos em tramitação no Supremo Tribunal Federal que tenham como objeto a fosfoetanolamina, em especial a ADIN contra a Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016.

8. Doenças graves

- a. Verificar a prevalência das principais doenças graves, para priorizar o âmbito de análises da Subfarma;
- b. Avaliar o contexto nacional e internacional das pesquisas científicas que envolvem as doenças graves e medicamentos;
- c. Debater a pesquisa, desenvolvimento e inovação na área de



CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS

doenças graves;

- d. Identificar os obstáculos para a adequada atenção à saúde dos pacientes com doenças graves;
- e. Propor medidas que possam melhorar o acesso aos medicamentos e fármacos experimentais;
- f. Acompanhar a manifestação do STF relacionada com a garantia de acesso a medicamentos por pacientes com doenças graves, inclusive a produtos ainda não registrados;
- g. Promover a interlocução com os principais centros de pesquisa científica sobre doenças graves e desenvolvimento de fármacos.

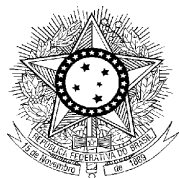
9. Doenças Raras

- a. Identificar as doenças raras de maior interesse no Brasil, de acordo com parâmetros como incidência, prognóstico, objeto de estudo e desenvolvimento de medicamentos;
- b. Estudar o posicionamento judicial acerca das garantias aos direitos dos pacientes com doenças raras;
- c. Avaliar o contexto nacional para a pesquisa e inovação de fármacos para o tratamento das doenças raras e controle de seus sintomas;
- d. Identificar os obstáculos para a adequada atenção à saúde dos pacientes com doenças raras;
- e. Acompanhar a manifestação do STF relacionada com a garantia de acesso dos pacientes com doenças raras aos medicamentos, inclusive aqueles ainda não registrados;
- f. Propor medidas que possam melhorar o direito à saúde, em sua integralidade, dos pacientes com doenças raras.

10. Oferecer à CSSF um conjunto atualizado de informações sobre pesquisa e desenvolvimento de medicamentos e acesso a fármacos experimentais, para subsidiar a atuação da Comissão e da Câmara dos Deputados.

Reuniões da Comissão

Para a consecução dos objetivos propugnados, a Subcomissão Especial deverá promover reuniões internas, Audiências Públicas e Seminários com a participação de autoridades peritas nos temas a serem trabalhados e instituições sociais com interesse sobre doenças graves e raras. As datas para a realização



CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL PARA TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS À PESQUISA,
DESENVOLVIMENTO E USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA TRATAMENTO
DE DOENÇAS GRAVES OU RARAS

dessas atividades serão fixadas posteriormente de acordo com a agenda da CSSF e da Câmara dos Deputados.

CRONOGRAMA

Instalação: 10/05/2017

Conclusão: 10/08/2017

Período	Atividades	Tema/assunto
05/06 a 09/06	Discussão e aprovação do Plano de Trabalho da Subfarma/2017	Ações a serem implementadas pela Subfarma e seu cronograma
12/06 a 14/06	Reunião interna – aprovação de requerimentos de informação	
19/06 a 23/06	Reunião interna	
26/06 a 30/06	Reunião com os pesquisadores da fosfoetanolamina sintética e MCTIC	Situação atual dos estudos com a fosfoetanolamina, perspectivas e resultados finais
03/07 a 07/07	A definir	
10/07 a 14/07	A definir	
17/07 a 31/07	Recesso Parlamentar	
1º/08 a 04/08	A definir	
07/08 a 11/08	A definir	
14/08 a 18/08	A definir	
21/08 a 25/08	A definir	
28/08 a 01/09	A definir	
04/09 a 06/09	A definir	
11/09 a 15/09	A definir	
18/09 a 22/09	A definir	
25/09 a 29/09	A definir	
02/10 a 06/10	A definir	
09/10 a 11/10	A definir	
16/10 a 20/10	A definir	
23/10 a 27/10	Apresentação do Relatório Final e recebimento de sugestões	
30/10 a 1º/11	Votação do Relatório Final	