



CÂMARA DOS DEPUTADOS

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.

Deputado **Hiran Gonçalves**
Presidente