

## COMISSÃO DE DEFESA DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA

### REQUERIMENTO Nº , DE 2019 (Da Sra. Carmen Zanotto)

*Requer a realização de Audiência Pública, em conjunto com a Comissão de Seguridade Social e Família, com a finalidade de discutir sobre "triagem neonatal para AME no SUS".*

Senhor Presidente,

Nos termos do art. 255 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, requero a Vossa Excelência, ouvido o plenário desta comissão, a realização de Audiência Pública, em conjunto com a Comissão de Seguridade Social e Família, com a finalidade de discutir sobre "triagem neonatal para AME no SUS".

Para discutir o tema com a Comissão, recomendamos convite às seguintes pessoas:

- Dra. Alexandra Pruffer (UFRJ);
- Dr. Edmar Zanoteli;
- Diovana Loriato (INAME) + vídeo de 5 minutos do Kenneth Hobby (CURE SMA);
- Rodolfo Duarte Firmino - Coordenação Geral de Sangue e Hemoderivados - Secretaria de Atenção Especializada (SAE) - Ministério da Saúde;
- Denizar Vianna - Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) - Ministério da Saúde;
- Raphael Rodrigo Correia Trindade - Coordenador-Geral das Pessoas com Doenças Raras - Ministério da Mulher, Família e Direitos Humanos.

### JUSTIFICAÇÃO

A AME é uma doença hereditária autossômica recessiva, degenerativa, que constitui a mais frequente e devastadora desordem neuromuscular da infância, com uma

incidência de aproximadamente 1:10.000 nascidos vivos. Cerca de 60% das crianças que nascem com AME apresentam o tipo 1, que é a sua forma mais grave de manifestação.

Até hoje, não fazia sentido falar em triagem neonatal para AME porque não havia qualquer tratamento disponível no SUS a ser oferecido aos bebês eventualmente diagnosticados nesse processo.

Contudo, com a incorporação do Spinraza (nusinersena) ao SUS, através da Portaria SCTIE/MS no. 24/2019, torna-se urgente discutir a triagem neonatal para AME.

Isso porque, como a doença é degenerativa, todos tratamentos farmacológicos desenvolvidos (Spinraza, Zolgensma) ou em fase de desenvolvimento (Ridisplan, entre outros) apresentam um resultado tanto melhor, quanto mais cedo se inicia o tratamento na criança. O padrão ouro de resultados dos tratamentos ocorre quando a criança inicia o tratamento na fase pré-sintomática, ou seja, antes de manifestar os sintomas da doença, conforme atestam estudos científicos com resultados muito robustos.

Outro fator que torna os benefícios da triagem neonatal para AME ainda mais relevantes é que no SUS, a idade média de diagnóstico de pacientes AME Tipo 1 é muito tardia, entre oito a nove meses de idade. Nesse estágio, parte do potencial de resultado do tratamento farmacológico já foi perdida com a degeneração neuronal.

Portanto, tendo em vista que o tratamento já será fornecido pelo SUS, é importante discutir maneiras de como obter os melhores resultados possíveis para estas crianças. Se iniciado na fase pré-sintomática, esta criança terá grande potencial para desenvolver uma vida normal e produtiva, sem ter ao longo de sua vida intercorrências ou limitações que poderiam representar outros custos ao sistema público de saúde.

O diagnóstico da AME é feito através de teste genético molecular. Até pouco tempo atrás, os custos para a realização desses testes eram elevadíssimos, de forma a inviabilizar qualquer projeto de triagem neonatal para AME na população brasileira. Contudo, foram desenvolvidas novas técnicas que possuem resultados muito confiáveis e custos muito abaixo do que os atuais, o que possibilita considerar a implantação da triagem neonatal para a AME em toda a população.

Nos EUA, por exemplo, mais de 20% dos estados já implantaram a triagem neonatal para AME, e a previsão é de que até o final de 2022 100% dos estados já estejam cobertos. O mesmo movimento acontece na Europa e em outros países.

Na audiência será apresentado um vídeo que mostra o potencial do resultado de tratamento das crianças diagnosticadas por triagem neonatal.

<https://youtu.be/5hA2iXdWn8I>

Dessa forma pedimos o apoio dos nobres deputados para a realização dessa Audiência Pública.

Sala da Comissão,        de        de 2018.

**Deputada Carmen Zanotto**  
**CIDADANIA/SC**