

PROJETO DE LEI Nº , DE 2021
(Do Sr. Guilherme Mussi)

Reconhece ao portador de Atrofia Muscular Espinhal (AME) o direito de receber terapia gênica no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), na forma que especifica.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Esta lei reconhece e regula, em âmbito nacional, o direito de o portador de Atrofia Muscular Espinhal (AME) receber terapia gênica no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Parágrafo único. Na ausência de normas e regras da Lei 8.080, de 19 de setembro de 1990, que regulem terapias gênicas de alto custo, as disposições desta Lei lhes serão aplicadas supletiva e subsidiariamente.

Art. 2º É direito do portador de Atrofia Muscular Espinhal (AME) receber, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), de modo universal, gratuito e oportuno, terapia gênica.

§ 1º Para uso no SUS, os medicamentos necessários à realização da terapia de que trata o *caput* deverão estar previamente registrados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

§2º Uma vez registrada, o portador de Atrofia Muscular Espinhal (AME) tem o direito de receber, gratuitamente, junto ao SUS, a medicação necessária a seu tratamento.

§3º A União, os Estados, o Distrito Federal e os Municípios promoverão, no âmbito de suas respectivas competências e atribuições junto ao SUS, acessibilidade universal a tratamentos de doenças raras de alto custo mediante:

I – redução e ou eliminação da carga tributária incidente sobre os medicamentos e os serviços de que trata o *caput*; e

II - fixação de preço máximo dos medicamentos de uso necessário à realização de terapia gênica de alto custo.



Art. 3º Poderão ser deduzidos do imposto apurado na Declaração de Ajuste Anual do Imposto de Renda, os valores doados ao SUS por pessoa física e jurídica mediante depósito em dinheiro em conta corrente criada especificamente para este fim, na forma e limites especificados em Regulamento, quando destinados à compra dos medicamentos de que trata esta Lei.

Parágrafo único. As importâncias deduzidas a título de doações sujeitam-se à comprovação, na forma do Regulamento.

Art. 4º Fica isenta de PIS, COFINS e Imposto de Importação, a aquisição no exterior por pessoa física ou jurídica dos medicamentos Zolgensma, Spinraza ou outro produto aprovado pela ANVISA de efeito e ou aplicação similar.

Art. 5º Esta lei entra em vigor na data de sua publicação

JUSTIFICATIVA

A atrofia muscular espinhal é causada pela ausência ou defeito no gene que produz SMN, uma proteína que “protege” os neurônios motores – justamente os responsáveis por levar o impulso nervoso da coluna vertebral para os músculos. Sem essa proteína, os neurônios morrem e os impulsos não chegam, o que provoca uma perda progressiva da função muscular e as consequentes atrofia e paralisção dos músculos, afetando a respiração, a deglutição, a fala e a capacidade de andar. Trata-se de uma doença neurodegenerativa rara e sem cura que, sem tratamento, pode levar a criança à morte ou à dependência de respirador artificial antes dos 2 anos de idade¹.

Passados dois anos da autorização da FDA, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) autorizou, em 2020, o registro do Zolgensma para o tratamento de pacientes pediátricos diagnosticados com AME do tipo 1, com até 2 anos de idade, com mutações bialélicas no gene de SMN1 ou até três cópias de outro gene conhecido como SMN2. O medicamento Zolgensma garante a produção da proteína SMN, após a adequada inserção do SMN 1 no DNA da criança com AME feita em dose única, endovenosa. A resposta terapêutica já pode ser observada a partir da primeira semana após a infusão, e a aprovação significa que a medicação já pode ser comercializada no Brasil².

¹ Existem três tipos de AME. No caso da AME tipo 1, considerada a mais grave, a expectativa de vida não ultrapassa os 2 anos. Vide *in*: <https://veja.abril.com.br/saude/a-bebe-brasileira-que-recebeu-o-remedio-de-r-9-mi-o-mais-carro-do-mundo/>

²Vide *in* <https://iname.org.br/zolgensma-e-aprovado-pela-anvisa/>



O registro foi procedido segundo análise de comprovação de sua segurança³. Apesar da disponibilidade do produto e de sua comprovada eficácia, seu preço tem se constituído uma barreira quase intransponível, até mesmo para o Estado. O Zolgensma, é comercializado atualmente por cerca de R\$ 12 milhões. O Sistema Único de Saúde, no entanto, não pode deixar de atender os acometidos pela AME, na medida em que a Constituição pressupõe a integralidade da assistência que presta, de forma individual ou coletiva, consistente em ações e serviços preventivos e curativos de doenças, caso a caso, em todos os níveis de complexidade, abrangendo, inclusive, os tratamentos excepcionais, mesmo porque, o bem jurídico comprometido no caso é a vida, não somente a saúde.

Trata-se de moléstia que, não tratada a tempo, é irreversível e leva o paciente por ela acometido à morte, e o direito à vida é direito individual fundamental, com previsão constitucional (art. 5º) não podendo prevalecer sobre ele o interesse eminentemente financeiro ou orçamentário do Estado para não retirar a eficácia das regras constitucionais sobre o direito fundamental à vida e à saúde, condenando o paciente à morte⁴.

Precisamos socorrer brasileiros como a Gabriella, de apenas 4 meses, que precisa urgentemente de ajuda para adquirir o Zolgensma a lhe ser ministrado até os dois anos de idade, sob pena de perder a sua vida. Gabriella e sua família, como outras que tiveram a infelicidade de conhecer a enfermidade, vivem em campanhas intermináveis e sofridas em luta permanente contra o tempo, à revelia do Estado.

Isto posto, conto com os Pares na rápida aprovação da presente proposta legislativa porque da mais lúdima justiça.

Sala das Sessões, em de abril de 2021.

GUILHERME MUSSI
Deputado Federal – PP/SP

3 A conclusão pela segurança do medicamento foi obtida por meio de dados de experimentos pré-clínicos; comprovação de segurança e eficácia, por meio de dados de estudos clínicos; comprovação de produção com requisitos de qualidade e boas práticas de fabricação na indústria produtora nos Estados Unidos; estudos de estabilidade e mecanismos de distribuição do produto no Brasil, bem como processos controlados de importação; avaliações das estratégias para orientações e precauções de cuidados especiais ao paciente; e estratégias de monitoramento e gerenciamento de risco após a administração do produto aos pacientes no Brasil. O produto também foi avaliado, em relação à biossegurança de organismos geneticamente modificados, pela Comissão Nacional Técnica de Biossegurança (CTNBio), que se manifestou igualmente favorável à sua aprovação no país. Vide in <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2020/aprovado-registro-de-produto-de-terapia-genica>

