

**PROJETO DE LEI N° , 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.



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Guilherme Mussi

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD210127029000>

\* C D 210127029000

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 idade<sup>1</sup>.

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 Brasil<sup>2</sup>.

<sup>1</sup> 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-caro-do-mundo/>

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



A standard linear barcode is positioned vertically on the left side of the page. It consists of vertical black bars of varying widths on a white background. To the right of the barcode, the numbers 'C 0 1 2 7 0 3 9 0 0 0 \*' are printed in a small, black, sans-serif font.

O registro foi procedido segundo análise de comprovação de sua segurança<sup>3</sup>. 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 morte<sup>4</sup>.

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 lídima justiça.

Sala das Sessões, em 16 de abril de 2021.

**GUILHERME MUSSI**  
Deputado Federal – PP/SP

---

<sup>3</sup> 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>

<sup>4</sup>



CD210127029000