

COMISSÃO DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA.

REQUERIMENTO Nº , DE 2021

(Da Sra. Carla Zambelli)

Requer a realização de Audiência Pública para discutir parecer técnico-científico que endossa a ampliação de uso da alfa-alglicosidase como terapia de reposição enzimática na Doença de Pompe de início tardio.

Senhora Presidente,

Nos termos do Art. 58, §2º, inciso II, da Constituição Federal c/c os artigos 24, III, e 255 e 256 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, requeiro a Vossa Excelência, a participação, como convidados, para explanar sobre o assunto o “*uso da alfa-alglicosidase como terapia de reposição enzimática na Doença de Pompe de início tardio*” em reunião de audiência pública, os seguintes expositores:

i. Juan Clinton Llerena JuniorMédico,

juan.llerena@iff.fiocruz.br / (21) 99439-2166

Geneticista clínico, pesquisador titular da Fundação Oswaldo Cruz. Tem experiência na área de Medicina, com ênfase em Genética Clínica, atuando na investigação e manejo clínico de indivíduos com retardo mental, malformações congênitas, síndromes genéticas e síndrome de down, entre outros eventos clínicos raros. Atua na Genética Médica Comunitária com especial interesse nos programas Estratégia de Saúde da Família e Estratégia dos Agentes Comunitários de Saúde. Mantém vínculo permanente junto ao programa de Pós-Graduação do Instituto Fernandes Figueira na área de Saúde Coletiva (Genética Médica Aplicada à Saúde da Criança e da Mulher). Coordena o Departamento de Genética Médica



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Carla Zambelli

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD217765993200>



(Diretório de Pesquisa CNPq - Centro de Genética Médica José Carlos Cabral de Almeida) do Instituto Fernandes Figueira (FIOCRUZ) dando assistência médica aos indivíduos e familiares com doenças genéticas. Coordenador do Centro de Tratamento para a Osteogenesis Imperfecta (CROI/IFF). Participante do centro colaborador nº05 do INAGEMP (Instituto Nacional de Genética Médica Populacional - CNPq);

ii. Sra. Laura Murta

email: laura.murta@originhealth.com.br; Biomédica graduada pela Universidade Federal do Estado do Rio de Janeiro (UNIRIO) e mestre em Ciências Médicas pela UERJ. Possui pós-graduação em Avaliação de Tecnologias em Saúde pelo Curso de Posgrado a Distancia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias do Instituto de Efectividad Clínica y Sanitaria (IECS), em Buenos Aires. Atua desde 2011 nas áreas de Avaliação de Tecnologias em Saúde, Saúde Baseada em Evidências e Economia da Saúde. Tem experiência docente em cursos de curta duração nas áreas de Avaliação de Tecnologias em Saúde, Economia da Saúde e Apoio Multicritério à Tomada de Decisão em Saúde;

iii. Representante da Associação Brasileira de Pompe (ABRAPOMPE) (Dr. Welton Alves – Presidente ABRAPOMPE) e ;

iv. Representante CONITEC - COMISSÃO NACIONAL DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS NO SUS. (Sra. Vânia Canuto).

JUSTIFICAÇÃO



Segundo a ABROMPE, (ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE POMPE)¹ “em razão das recentes recomendações constantes na Consulta Pública Nº 14/2021, que dispõe da recomendação de não ampliar o uso da alfaalglicosidase como terapia de reposição enzimática na Doença de Pompe de início tardio” retomar o debate sobre o uso da *alfaalglicosidase* para tratamento da Doença de Pompe², mostra-se necessário.

Ainda segunda a Associação, *in verbis*:

Estima-se que cada ano de não tratamento após o diagnóstico adiciona a chance de uso de cadeira de rodas em 13%, e de suporte respiratório em 8%.³ O risco de morte na DPIT sem acompanhamento terapêutico é 3 vezes maior do que a população em geral, e ocorre com uma idade média de 45 anos. (3,4) Ainda, os pacientes com DPIT não tratados apresentam menores níveis de qualidade de vida, além de um impacto econômico importante.

A alfa-alglicosidase é a primeira e única terapia de reposição enzimática (TRE) autorizada no Brasil para o tratamento da doença de Pompe, e atualmente já está incorporada no âmbito do Sistema Único de Saúde para o tratamento da doença de Pompe de início precoce (DPIP).

Considerando que, atualmente, não existem tratamentos para pacientes diagnosticados com DPIT pelo Sistema Único de Saúde, e que a judicialização tornou-se o único meio para acesso ao custeio do tratamento.

1 **Associação Brasileira de Pompe** é uma associação civil, sem fins lucrativos, dedicada a promover informação e políticas públicas para pessoas que convivem com a doença de Pompe .

2 A Doença de Pompe de Início Tardio (DPIT) é uma doença rara de caráter crônico, cujos principais sintomas são fraqueza muscular progressiva, dificuldades respiratórias e alimentares e comprometimento da capacidade motora. Devido à frequência do acometimento respiratório, a insuficiência respiratória e complicações associadas são as causas mais comuns de morte. http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relatorio_AlfaAlglicosidase_Pompe.pdf

3 Hagemans MLC, Janssens ACJW, Winkel LPF, Sieradzan KA, Reuser AJJ, Van Doorn PA, et al. Late-onset Pompe disease primarily affects quality of life in physical health domains. *Neurology*. 2004;63(9):1688–92.



Considerando ainda que, o custo da judicialização duplica os custos administrativos, sendo um incremento ao custo do próprio medicamento, considerando que para além do custo da compra do remédio, há o custo administrativo/judicial da mobilização do executivo dos respectivos entes federativos e do judiciário local ou federal, a discussão acerca do objeto do presente requerimento mostra-se de máxima relevância.⁴

Dentre as perdas com a judicialização para a compra do remédio, a mais clara é a de escala. Para a compra do remédio com a indústria farmacêutica, caso o mesmo fosse adquirido em grande quantidade, os ganhos de escala poderiam gerar uma economia de até 50% do valor do produto.

Enquanto membro da Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência, remeto o presente requerimento e requeiro nos termos acima suscitados, após deliberação dos meus pares, a realização desta audiência pública para a melhoria das práticas terapêuticas na ampliação do uso da alfa- α -glucosidase como terapia de reposição enzimática na Doença de Pompe de início tardio.

Sala da Comissão, de Junho de 2021.

Deputada Carla Zambelli

4 Nas reuniões realizadas pela plenária da CONITEC para discutir a incorporação da alfa- α -glucosidase no SUS, foi debatido sobre o montante gasto pelo governo com a judicialização deste medicamento. Com base nas estimativas de gastos no ano de 2019 pelo Ministério da Saúde (38 milhões de reais) e CONASS (38,5 milhões de reais), concordou-se que este montante seria de aproximadamente 76 milhões de reais. A informação de vendas deste medicamento pelo fabricante neste mesmo ano também corroborou com os achados. Associação Brasileira de Pompe (ABRAPOMPE).

