

COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

PROJETO DE LEI Nº 1.531, DE 2021

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.

Autor: Deputado GUILHERME MUSSI

Relator: Deputado LUCAS REDECKER

I - RELATÓRIO

O Projeto de Lei nº 1.531, de 2021, reconhece o direito do paciente com atrofia muscular espinhal - AME em receber, do SUS, terapia gênica para o tratamento da doença, desde que regularmente registrada junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa. O paciente terá o direito de receber a terapia a partir do momento do registro.

A proposição prevê, ainda, que os entes federados deverão, no âmbito de suas competências, promover a acessibilidade universal a tratamentos de doenças raras de alto custo mediante a redução, ou eliminação da carga tributária incidente sobre os medicamentos e a fixação de seu preço máximo.

Por fim, autoriza a dedução de valores doados ao SUS para a aquisição de terapias gênicas, do imposto apurado na Declaração de Ajuste Anual do Imposto de Renda, e isenta os produtos respectivos da incidência de tributos federais.

O autor argumenta, nas justificativas à iniciativa, que a terapia gênica – o medicamento Zolgensma – para a cura da AME já está disponível no Brasil, devidamente registrada após a comprovação de sua eficácia e



segurança, mas possuiria uma barreira intransponível para que seja acessível aos pacientes, que é o elevado preço do produto, que atualmente está no patamar de R\$ 12 milhões.

Aduziu que o Sistema Único de Saúde não poderia deixar de atender os acometidos pela AME, na medida em que a Constituição pressupõe a integralidade da assistência, consistente em ações e serviços preventivos e curativos de doenças, caso a caso, em todos os níveis de complexidade, abrangendo, inclusive, os tratamentos excepcionais.

Também ressaltou que a AME, caso não tratada a tempo, gera um quadro clínico irreversível e leva o paciente por ela acometido à morte.

A matéria foi distribuída para a apreciação conclusiva das Comissões de Seguridade Social e Família; de Finanças e Tributação (Mérito e Art. 54, RICD); e de Constituição e Justiça e de Cidadania (Art. 54 RICD).

No âmbito desta Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF não foram apresentadas emendas à proposição durante o decurso do prazo regimental.

É o Relatório.

II - VOTO DO RELATOR

Trata-se de Projeto de Lei que tem o objetivo de garantir aos pacientes diagnosticados com atrofia muscular espinhal o direito de acesso à terapia gênica para o seu tratamento, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS. A esta CSSF compete a análise do mérito da proposição para a saúde individual e coletiva.

A atrofia muscular espinhal é uma doença neurodegenerativa progressiva, caracterizada pela degeneração dos neurônios motores, os que regulam a contração voluntária dos músculos. É uma doença rara, com prevalência estimada de 1 a 2 pessoas a cada 100 mil habitantes e que ainda apresenta uma alta taxa de mortalidade nas crianças acometidas pela condição, sendo fatal para muitas delas antes de completarem os dois anos de



idade. A doença é caracterizada por alterações genéticas nas células neuronais que levam à diminuição na produção da proteína de sobrevivência do neurônio, chamada de SMN. Sem a presença dessa proteína, ou no caso de sua produção insuficiente, os neurônios motores sofrem degeneração (morrem), que é uma ocorrência irreversível. A morte desses neurônios leva à falta da estimulação neurotransmissora nos músculos esqueléticos, o que causa a atrofia e degeneração desses músculos, comprometendo a locomoção, a manutenção postural (posição sentada, cabeça ereta), bem como o ato de alimentar-se e até a respiração do indivíduo.

A AME é considerada incurável em virtude dos seus efeitos degenerativos, sendo os tratamentos até então disponíveis direcionados ao controle da sintomatologia apresentada por cada paciente, com variações que dependem do subtipo da doença, conforme o perfil genotípico do paciente. Entretanto, a impossibilidade de cura foi relativizada pelo lançamento no mercado farmacêutico mundial da primeira terapia gênica, o medicamento Zolgensma, do laboratório Novartis.

Além de ser um produto obtido por uma tecnologia inédita, o medicamento é o produto mais caro do mundo, com seu preço atingindo o patamar de quase 12 milhões de reais, considerando a conversão do valor praticado no estrangeiro em moeda nacional. Utilizando um adenovírus como veículo, que faz a inserção, no núcleo dos neurônios, do segmento do DNA responsável pela produção da proteína de sobrevivência dos neurônios, o que faz com que a produção da proteína SMN atinja níveis suficientes para impedir a degeneração dos neurônios motores e o paciente tem, assim, corrigida a deficiência celular característica da AME.

Apesar de caríssimo, vale salientar que o medicamento é administrado em dose única e precisa ser utilizado muito cedo, de preferência em recém-nascidos, em uma fase em que ainda não tenha ocorrido a morte de neurônios motores em alta escala, pois essa degeneração é irreversível, não sendo corrigida pelo medicamento. Os tratamentos contínuos demandados pelos pacientes com AME também são dispendiosos e demandam diversos recursos durante toda a vida deles. A cura, por seu turno, poderia evitar esses gastos perenes, que são de difícil estimativa, mas nos permite deduzir que,



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Lucas Redecker

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD219280206300>



talvez, a despesa única com a terapia gênica não seja tão cara quanto muitos imaginam.

Ademais, a comparação de custos não nos permitiria uma visão mais ampla da situação. Isso porque o viver livre dos graves sintomas causados pela AME, com um bem-estar pleno, não pode ser parametrizado por valores monetários, pela mera apreciação econômica.

Nesse contexto, considero que o mais importante a ser destacado, tendo como fundamento o campo temático desta Comissão, são os princípios regedores do direito à saúde, em especial a universalidade e a integralidade. Assim, diante dos contornos constitucionais dados a esse direito, essa Comissão precisa reconhecer que todas as pessoas têm direito a receber os serviços de saúde de que necessita, para o atendimento de todas as suas necessidades e em todos os níveis de complexidade, o que obviamente inclui o acesso às terapias disponíveis. Toda e qualquer doença precisa ser enfrentada pelos serviços públicos de saúde, em sua totalidade, não importa o quão rara seja a condição, ou quão restrito seja o acesso à terapia.

Sabemos que a garantia do direito à saúde enfrenta maiores desafios no caso de doenças raras, como é a AME, em face das dificuldades existentes para a realização do diagnóstico diferencial, ausência de métodos e técnicas de diagnose complementar específicas, desconhecimento da etiopatogenia completa da doença e, principalmente, inexistência de medicamentos e outras terapias eficazes na sua cura. Os serviços de saúde encontram muitos desafios para promover um atendimento humanizado e mais adequado aos pacientes com essas doenças. Assim, quando surgem terapias inovadoras e que representam avanços significativos no tratamento da doença, a sua incorporação ao SUS precisa ser vista como uma medida de justiça, de equidade social que possa representar uma estratégia capaz de promover uma maior isonomia entre os pacientes atendidos nos serviços de saúde.

Dessa forma, tendo tais fundamentos como norteadores, considero que a proposição em análise se revela meritória para o direito à saúde e para todas as crianças que nascerem com a função de produção da proteína SMN comprometida.



Ante o exposto, VOTO pela APROVAÇÃO do Projeto de Lei nº
1531/2021.

Sala da Comissão, em de de 2021.

Deputado LUCAS REDECKER
Relator

2021-8023



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Lucas Redecker
Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD219280206300>

