



## CÂMARA DOS DEPUTADOS

# \*PROJETO DE LEI N.º 5.253, DE 2020 (Do Sr. Celso Maldaner)

Dispõe sobre a inclusão e presença obrigatória do medicamento ZOLGENSMA na lista RENAME e sua disponibilização no Sistema Único de Saúde e farmácias populares.

### **DESPACHO:**

DEFERIDO O REQUERIMENTO N. 1.807/2021, CONFORME DESPACHO DO SEGUINTE TEOR: "DEFIRO O REQUERIMENTO N. 1.807/2021, NOS TERMOS DOS ARTS. 142 E 143, II, B, DO REGIMENTO INTERNO DA CÂMARA DOS DEPUTADOS. APENSE-SE, POIS, O PROJETO DE LEI N. 1.531/2021 AO PROJETO DE LEI N. 5.253/2020. EM CONSEQUÊNCIA, REVEJO O DESPACHO APOSTO AO PROJETO DE LEI N. 5.253/2020 PARA INCLUIR O EXAME DE MÉRITO PELA COMISSÃO DE FINANÇAS E TRIBUTAÇÃO. PUBLIQUE-SE.

### **ÀS COMISSÕES DE:**

SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA;  
FINANÇAS E TRIBUTAÇÃO (MÉRITO E ART. 54 DO RICD); E  
CONSTITUIÇÃO E JUSTÇA E DE CIDADANIA (ART. 54 DO RICD).

### **APRECIAÇÃO:**

Proposição Sujeita à Apreciação Conclusiva pelas Comissões - Art. 24 II

### **S U M Á R I O**

I - Projeto inicial

II - Projetos apensados: 1531/21 e 2300/21

(\*) Atualizado em 25/10/2021 em virtude de novo despacho e apensações (2)

## **PROJETO DE LEI Nº , DE 2020**

(Do Sr. CELSO MALDANER)

Dispõe sobre a inclusão e presença obrigatória do medicamento ZOLGENSMA na lista RENAME e sua disponibilização no Sistema Único de Saúde e farmácias populares.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Fica assegurada a inclusão e a presença obrigatória na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME, do medicamento ZOLGENSMA até dezembro de 2020.

Art. 2º O Ministério da Saúde consolidará e publicará as atualizações da RENAME, do respectivo Formulário Terapêutico Nacional e dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas.

Art. 3º Ficam as unidades do programa Farmácia Popular do Brasil, obrigadas a disponibilizar aos interessados, em local de fácil acesso, a listagem medicamentos constantes na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais.

Art. 4º Fica o Governo Federal autorizado a importar o referido medicamento, cuja ausência no âmbito do Sistema Único de Saúde possa causar riscos à saúde pública.

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



\* c d 2 0 7 2 7 6 0 1 2 4 0 0 \*

## JUSTIFICAÇÃO

O direito à dignidade é fundamento da Declaração Universal dos Direitos Humanos e também princípio constitucional da República Federativa do Brasil. Analisando a Constituição Federal de 1988, percebe-se que a dignidade da pessoa humana se impõe como princípio estruturante do nosso ordenamento jurídico, tal pressuposto está previsto no artigo 1º, inciso III da Constituição Federal e constitui um dos fundamentos do Estado Democrático de Direito, inerente à República. Isso significa que o princípio fundamental instituído na Carta Magna é assegurar ao homem o mínimo de direitos que devem ser respeitados pela sociedade e pelo poder público e assim preservar a valorização do ser humano, a valorização da vida.

A dignidade humana é pautada em princípios e valores que almejam a garantia de que cada cidadão tenha seus direitos respeitados pelo Estado, possui objetivo também da garantia ao respeito em questões e valores pessoais, resguardando o bem-estar de todos os cidadãos por meio das ações governamentais, seja na esfera federal ou municipal, seja entre legislativo ou executivo.

Diante do exposto acima, o objetivo desse projeto de lei é expor o caso da Atrofia Muscular Espinal – AME e como essa doença cruel atinge a vida de milhares de crianças pelo Brasil e pelo mundo. Além disso, baseado no conceito e aplicação dos princípios morais da dignidade e valorização da vida humana, cabe ao governo a manutenção da vida humana, seja com remédios, com assistência médica e demais instrumentos que permitam a vivência saudável. Não restam dúvidas de que é competência do Estado, da União e dos Municípios o fornecimento de medicamentos para o tratamento da saúde e, dessa forma, se torna claro o viés constitucional desse quesito, por meio do art. 196.



\* c d 2 0 7 2 7 6 0 1 2 4 0 0 \*

Além disso, segundo o próprio Ministro Luiz Fux, do Supremo Tribunal Federal, no entendimento do referido artigo, proferiu a seguinte afirmação: “o tratamento médico adequado aos necessitados se insere no rol dos deveres do Estado, porquanto responsabilidade solidária dos entes federados. O polo passivo pode ser composto por qualquer um deles, isoladamente ou conjuntamente” (RE 855178 RG).

Ainda cabe aqui, a exposição do art. 5º da referida Constituição em que todos têm direito à vida, ora, sabemos da ocorrência das doenças raras, como o caso da atrofia muscular espinhal (AME) e que graças a estudos realizados, atualmente, podem ser feitos tratamentos que minimizam os efeitos dolorosos da doença, podendo chegar até mesmo a cura.

Dito como uma alternativa para o tratamento da doença, o Zolgensma é um tratamento genético que busca reparar os genes para que eles sejam capazes de produzir proteínas em quantidade normais e assim minimizar e até mesmo reparar as consequências danosas nas crianças. Segundo a própria Novartis, dona de sua patente, ele foi testado em crianças com menos de dois anos de idade e, dois anos depois, todos aqueles que o receberam em altas doses ainda estavam vivos e sem a necessidade de ajuda para respirar, de acordo com o jornal inglês Financial Times.

A semana do dia 17 de agosto foi marcada por iniciar com a excelente notícia de que a Anvisa, após seus estudos e testes, regulamentou o uso do medicamento Zolgensma para o tratamento da AME. A isenção de tributos de importação decretada pelo Governo Federal foi uma grande conquista, porém o medicamento continuará tendo que ser custeado e por isso aqui cabe o nosso apelo.

Muitas famílias das crianças que são acometidas pela doença não dispõem de R\$ 12 milhões para custear o medicamento e seu tratamento,



sendo o Zolgensma o remédio mais caro do mundo e por isso, contamos com o apoio dos nossos pares para que o remédio possa ser distribuído pelo Sistema Único de Saúde e garantir o mínimo de dignidade às essas crianças para que cresçam saudáveis.

Sala das Sessões, em \_\_\_\_\_ de \_\_\_\_\_ de 2020.

Deputado CELSO MALDANER

Documento eletrônico assinado por Celso Maldaner (MDB/SC), através do ponto SDR\_56472, na forma do art. 102, § 1º, do RICD c/c o art. 2º, do Ato da Mesa n. 80 de 2016.



\* c d 2 0 7 2 7 6 0 1 2 4 0 0 \*

**LEGISLAÇÃO CITADA ANEXADA PELA**  
**Coordenação de Organização da Informação Legislativa - CELEG**  
**Serviço de Tratamento da Informação Legislativa - SETIL**  
**Seção de Legislação Citada - SELEC**

**CONSTITUIÇÃO  
DA  
REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL  
1988**

**PREÂMBULO**

Nós, representantes do povo brasileiro, reunidos em Assembléia Nacional Constituinte para instituir um Estado democrático, destinado a assegurar o exercício dos direitos sociais e individuais, a liberdade, a segurança, o bem-estar, o desenvolvimento, a igualdade e a justiça como valores supremos de uma sociedade fraterna, pluralista e sem preconceitos, fundada na harmonia social e comprometida, na ordem interna e internacional, com a solução pacífica das controvérsias, promulgamos, sob a proteção de Deus, a seguinte Constituição da República Federativa do Brasil.

**TÍTULO I  
DOS PRINCÍPIOS FUNDAMENTAIS**

Art. 1º A República Federativa do Brasil, formada pela união indissolúvel dos Estados e Municípios e do Distrito Federal, constitui-se em Estado democrático de direito e tem como fundamentos:

- I - a soberania;
- II - a cidadania;
- III - a dignidade da pessoa humana;
- IV - os valores sociais do trabalho e da livre iniciativa;
- V - o pluralismo político.

Parágrafo único. Todo o poder emana do povo, que o exerce por meio de representantes eleitos ou diretamente, nos termos desta Constituição.

Art. 2º São Poderes da União, independentes e harmônicos entre si, o Legislativo, o Executivo e o Judiciário.

Art. 3º Constituem objetivos fundamentais da República Federativa do Brasil:

- I - construir uma sociedade livre, justa e solidária;
- II - garantir o desenvolvimento nacional;
- III - erradicar a pobreza e a marginalização e reduzir as desigualdades sociais e regionais;
- IV - promover o bem de todos, sem preconceitos de origem, raça, sexo, cor, idade e quaisquer outras formas de discriminação.

Art. 4º A República Federativa do Brasil rege-se nas suas relações internacionais pelos seguintes princípios:

- I - independência nacional;
- II - prevalência dos direitos humanos;
- III - autodeterminação dos povos;
- IV - não-intervenção;
- V - igualdade entre os Estados;
- VI - defesa da paz;
- VII - solução pacífica dos conflitos;
- VIII - repúdio ao terrorismo e ao racismo;
- IX - cooperação entre os povos para o progresso da humanidade;
- X - concessão de asilo político.

Parágrafo único. A República Federativa do Brasil buscará a integração econômica, política, social e cultural dos povos da América Latina, visando à formação de uma comunidade latino-americana de nações.

## TÍTULO II DOS DIREITOS E GARANTIAS FUNDAMENTAIS

### CAPÍTULO I DOS DIREITOS E DEVERES INDIVIDUAIS E COLETIVOS

Art. 5º Todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade, nos termos seguintes:

I - homens e mulheres são iguais em direitos e obrigações, nos termos desta Constituição;

II - ninguém será obrigado a fazer ou deixar de fazer alguma coisa senão em virtude de lei;

III - ninguém será submetido a tortura nem a tratamento desumano ou degradante;

IV - é livre a manifestação do pensamento, sendo vedado o anonimato;

V - é assegurado o direito de resposta, proporcional ao agravo, além da indenização por dano material, moral ou à imagem;

VI - é inviolável a liberdade de consciência e de crença, sendo assegurado o livre exercício dos cultos religiosos e garantida, na forma da lei, a proteção aos locais de culto e a suas liturgias;

VII - é assegurada, nos termos da lei, a prestação de assistência religiosa nas entidades civis e militares de internação coletiva;

VIII - ninguém será privado de direitos por motivo de crença religiosa ou de convicção filosófica ou política, salvo se as invocar para eximir-se de obrigação legal a todos imposta e recusar-se a cumprir prestação alternativa, fixada em lei;

IX - é livre a expressão da atividade intelectual, artística, científica e de comunicação, independentemente de censura ou licença;

X - são invioláveis a intimidade, a vida privada, a honra e a imagem das pessoas, assegurado o direito a indenização pelo dano material ou moral decorrente de sua violação;

XI - a casa é asilo inviolável do indivíduo, ninguém nela podendo penetrar sem consentimento do morador, salvo em caso de flagrante delito ou desastre, ou para prestar socorro, ou, durante o dia, por determinação judicial;

XII - é inviolável o sigilo da correspondência e das comunicações telegráficas, de dados e das comunicações telefônicas, salvo, no último caso, por ordem judicial, nas hipóteses e na forma que a lei estabelecer para fins de investigação criminal ou instrução processual penal;

XIII - é livre o exercício de qualquer trabalho, ofício ou profissão, atendidas as qualificações profissionais que a lei estabelecer;

XIV - é assegurado a todos o acesso à informação e resguardado o sigilo da fonte, quando necessário ao exercício profissional;

XV - é livre a locomoção no território nacional em tempo de paz, podendo qualquer pessoa, nos termos da lei, nele entrar, permanecer ou dele sair com seus bens;

XVI - todos podem reunir-se pacificamente, sem armas, em locais abertos ao público, independentemente de autorização, desde que não frustrem outra reunião anteriormente convocada para o mesmo local, sendo apenas exigido prévio aviso à autoridade competente;

XVII - é plena a liberdade de associação para fins lícitos, vedada a de caráter paramilitar;

XVIII - a criação de associações e, na forma da lei, a de cooperativas independem de autorização, sendo vedada a interferência estatal em seu funcionamento;

XIX - as associações só poderão ser compulsoriamente dissolvidas ou ter suas atividades suspensas por decisão judicial, exigindo-se, no primeiro caso, o trânsito em julgado;

XX - ninguém poderá ser compelido a associar-se ou a permanecer associado;

XXI - as entidades associativas, quando expressamente autorizadas, têm legitimidade para representar seus filiados judicial ou extrajudicialmente;

XXII - é garantido o direito de propriedade;

XXIII - a propriedade atenderá a sua função social;

XXIV - a lei estabelecerá o procedimento para desapropriação por necessidade ou utilidade pública, ou por interesse social, mediante justa e prévia indenização em dinheiro, ressalvados os casos previstos nesta Constituição;

XXV - no caso de iminente perigo público, a autoridade competente poderá usar de propriedade particular, assegurada ao proprietário indenização ulterior, se houver dano;

XXVI - a pequena propriedade rural, assim definida em lei, desde que trabalhada pela família, não será objeto de penhora para pagamento de débitos decorrentes de sua atividade produtiva, dispondo a lei sobre os meios de financiar o seu desenvolvimento;

XXVII - aos autores pertence o direito exclusivo de utilização, publicação ou reprodução de suas obras, transmissível aos herdeiros pelo tempo que a lei fixar;

XXVIII - são assegurados, nos termos da lei:

a) a proteção às participações individuais em obras coletivas e à reprodução da imagem e voz humanas, inclusive nas atividades desportivas;

b) o direito de fiscalização do aproveitamento econômico das obras que criarem ou de que participarem aos criadores, aos intérpretes e às respectivas representações sindicais e associativas;

XXIX - a lei assegurará aos autores de inventos industriais privilégio temporário para sua utilização, bem como proteção às criações industriais, à propriedade das marcas, aos nomes de empresas e a outros signos distintivos, tendo em vista o interesse social e o desenvolvimento tecnológico e econômico do País;

XXX - é garantido o direito de herança;

XXXI - a sucessão de bens de estrangeiros situados no País será regulada pela lei brasileira em benefício do cônjuge ou dos filhos brasileiros, sempre que não lhes seja mais favorável a lei pessoal do *de cujus*;

XXXII - o Estado promoverá, na forma da lei, a defesa do consumidor;

XXXIII - todos têm direito a receber dos órgãos públicos informações de seu interesse particular, ou de interesse coletivo ou geral, que serão prestadas no prazo da lei, sob pena de responsabilidade, ressalvadas aquelas cujo sigilo seja imprescindível à segurança da sociedade e do Estado;

XXXIV - são a todos assegurados, independentemente do pagamento de taxas:

a) o direito de petição aos poderes públicos em defesa de direitos ou contra ilegalidade ou abuso de poder;

b) a obtenção de certidões em repartições públicas, para defesa de direitos e esclarecimento de situações de interesse pessoal;

XXXV - a lei não excluirá da apreciação do Poder Judiciário lesão ou ameaça a direito;

XXXVI - a lei não prejudicará o direito adquirido, o ato jurídico perfeito e a coisa julgada;

XXXVII - não haverá juízo ou tribunal de exceção;

XXXVIII - é reconhecida a instituição do júri, com a organização que lhe der a lei, assegurados:

a) a plenitude de defesa;

b) o sigilo das votações;

c) a soberania dos veredictos;

d) a competência para o julgamento dos crimes dolosos contra a vida;

XXXIX - não há crime sem lei anterior que o defina, nem pena sem prévia cominação legal;

XL - a lei penal não retroagirá, salvo para beneficiar o réu;

XLI - a lei punirá qualquer discriminação atentatória dos direitos e liberdades fundamentais;

XLII - a prática do racismo constitui crime inafiançável e imprescritível, sujeito à pena de reclusão, nos termos da lei;

XLIII - a lei considerará crimes inafiançáveis e insuscetíveis de graça ou anistia a prática da tortura, o tráfico ilícito de entorpecentes e drogas afins, o terrorismo e os definidos como crimes hediondos, por eles respondendo os mandantes, os executores e os que, podendo evitá-los, se omitirem;

XLIV - constitui crime inafiançável e imprescritível a ação de grupos armados, civis ou militares, contra a ordem constitucional e o Estado democrático;

XLV - nenhuma pena passará da pessoa do condenado, podendo a obrigação de reparar o dano e a decretação do perdimento de bens ser, nos termos da lei, estendidas aos sucessores e contra eles executadas, até o limite do valor do patrimônio transferido;

XLVI - a lei regulará a individualização da pena e adotará, entre outras, as seguintes:

a) privação ou restrição da liberdade;

b) perda de bens;

c) multa;

d) prestação social alternativa;

e) suspensão ou interdição de direitos;

XLVII - não haverá penas:

a) de morte, salvo em caso de guerra declarada, nos termos do art. 84, XIX;

b) de caráter perpétuo;

c) de trabalhos forçados;

d) de banimento;

e) cruéis;

XLVIII - a pena será cumprida em estabelecimentos distintos, de acordo com a natureza do delito, a idade e o sexo do apenado;

XLIX - é assegurado aos presos o respeito à integridade física e moral;

L - às presidiárias serão asseguradas condições para que possam permanecer com seus filhos durante o período de amamentação;

LI - nenhum brasileiro será extraditado, salvo o naturalizado, em caso de crime comum, praticado antes da naturalização, ou de comprovado envolvimento em tráfico ilícito de entorpecentes e drogas afins, na forma da lei;

LII - não será concedida extradição de estrangeiro por crime político ou de opinião;

LIII - ninguém será processado nem sentenciado senão pela autoridade competente;

LIV - ninguém será privado da liberdade ou de seus bens sem o devido processo legal;

LV - aos litigantes, em processo judicial ou administrativo, e aos acusados em geral são assegurados o contraditório e a ampla defesa, com os meios e recursos a ela inerentes;

LVI - são inadmissíveis, no processo, as provas obtidas por meios ilícitos;

LVII - ninguém será considerado culpado até o trânsito em julgado de sentença penal condenatória;

LVIII - o civilmente identificado não será submetido a identificação criminal, salvo nas hipóteses previstas em lei;

LIX - será admitida ação privada nos crimes de ação pública, se esta não for intentada no prazo legal;

LX - a lei só poderá restringir a publicidade dos atos processuais quando a defesa da intimidade ou o interesse social o exigirem;

LXI - ninguém será preso senão em flagrante delito ou por ordem escrita e fundamentada de autoridade judiciária competente, salvo nos casos de transgressão militar ou crime propriamente militar, definidos em lei;

LXII - a prisão de qualquer pessoa e o local onde se encontre serão comunicados imediatamente ao juiz competente e à família do preso ou à pessoa por ele indicada;

LXIII - o preso será informado de seus direitos, entre os quais o de permanecer calado, sendo-lhe assegurada a assistência da família e de advogado;

LXIV - o preso tem direito à identificação dos responsáveis por sua prisão ou por seu interrogatório policial;

LXV - a prisão ilegal será imediatamente relaxada pela autoridade judiciária;

LXVI - ninguém será levado à prisão ou nela mantido quando a lei admitir a liberdade provisória, com ou sem fiança;

LXVII - não haverá prisão civil por dívida, salvo a do responsável pelo inadimplemento voluntário e inescusável de obrigação alimentícia e a do depositário infiel;

LXVIII - conceder-se-á *habeas corpus* sempre que alguém sofrer ou se achar ameaçado de sofrer violência ou coação em sua liberdade de locomoção, por ilegalidade ou abuso de poder;

LXIX - conceder-se-á mandado de segurança para proteger direito líquido e certo, não amparado por *habeas corpus* ou *habeas data*, quando o responsável pela ilegalidade ou abuso de poder for autoridade pública ou agente de pessoa jurídica no exercício de atribuições do poder público;

LXX - o mandado de segurança coletivo pode ser impetrado por:

a) partido político com representação no Congresso Nacional;

b) organização sindical, entidade de classe ou associação legalmente constituída e em funcionamento há pelo menos um ano, em defesa dos interesses de seus membros ou associados;

LXXI - conceder-se-á mandado de injunção sempre que a falta de norma regulamentadora torne inviável o exercício dos direitos e liberdades constitucionais e das prerrogativas inerentes à nacionalidade, à soberania e à cidadania;

LXXII - conceder-se-á *habeas data*:

a) para assegurar o conhecimento de informações relativas à pessoa do impetrante, constantes de registros ou bancos de dados de entidades governamentais ou de caráter público;

b) para a retificação de dados, quando não se prefira fazê-lo por processo sigiloso, judicial ou administrativo;

LXXIII - qualquer cidadão é parte legítima para propor ação popular que vise a anular ato lesivo ao patrimônio público ou de entidade de que o Estado participe, à moralidade administrativa, ao meio ambiente e ao patrimônio histórico e cultural, ficando o autor, salvo comprovada má-fé, isento de custas judiciais e do ônus da sucumbência;

LXXIV - o Estado prestará assistência jurídica integral e gratuita aos que comprovarem insuficiência de recursos;

LXXV - o Estado indenizará o condenado por erro judiciário, assim como o que ficar preso além do tempo fixado na sentença;

LXXVI - são gratuitos para os reconhecidamente pobres, na forma da lei:

a) o registro civil de nascimento;

b) a certidão de óbito;

LXXVII - são gratuitas as ações de *habeas corpus* e *habeas data*, e, na forma da lei, os atos necessários ao exercício da cidadania.

LXXVIII - a todos, no âmbito judicial e administrativo, são assegurados a razoável duração do processo e os meios que garantam a celeridade de sua tramitação. ([Inciso acrescido pela Emenda Constitucional nº 45, de 2004](#))

§ 1º As normas definidoras dos direitos e garantias fundamentais têm aplicação imediata.

§ 2º Os direitos e garantias expressos nesta Constituição não excluem outros decorrentes do regime e dos princípios por ela adotados, ou dos tratados internacionais em que a República Federativa do Brasil seja parte.

§ 3º Os tratados e convenções internacionais sobre direitos humanos que forem aprovados, em cada Casa do Congresso Nacional, em dois turnos, por três quintos dos votos dos respectivos membros, serão equivalentes às emendas constitucionais. ([Parágrafo acrescido pela Emenda Constitucional nº 45, de 2004](#))

§ 4º O Brasil se submete à jurisdição de Tribunal Penal Internacional a cuja criação tenha manifestado adesão. ([Parágrafo acrescido pela Emenda Constitucional nº 45, de 2004](#))

## CAPÍTULO II DOS DIREITOS SOCIAIS

Art. 6º São direitos sociais a educação, a saúde, a alimentação, o trabalho, a moradia, o transporte, o lazer, a segurança, a previdência social, a proteção à maternidade e à infância, a assistência aos desamparados, na forma desta Constituição. ([Artigo com redação dada pela Emenda Constitucional nº 90, de 2015](#))

.....

## TÍTULO VIII DA ORDEM SOCIAL

.....

**CAPÍTULO II  
DA SEGURIDADE SOCIAL**

**Seção I  
Disposições Gerais**

---

**Seção II  
Da Saúde**

Art. 196. A saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doença e de outros agravos e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação.

Art. 197. São de relevância pública as ações e serviços de saúde, cabendo ao poder público dispor, nos termos da lei, sobre sua regulamentação, fiscalização e controle, devendo sua execução ser feita diretamente ou através de terceiros e, também, por pessoa física ou jurídica de direito privado.

---

---

**PROJETO DE LEI N.º 1.531, 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.

**DESPACHO:**  
APENSE-SE AO PL 5253/20.

**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 2 1 0 1 2 7 0 2 9 0 0 0 \*

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 paralisiação 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/](https://veja.abril.com.br/saude/a-bebe-brasileira-que-recebeu-o-remedio-de-r-9-mi-o-mais-caro-do-mundo/)

<sup>2</sup>Vide [in https://iname.org.br/zolgensma-e-aprovado-pela-anvisa/](https://iname.org.br/zolgensma-e-aprovado-pela-anvisa/)



\* c d 2 1 2 7 0 2 9 0 0 0 \*

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    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>



\* C D 2 1 0 1 2 7 0 2 9 0 0 \*

**LEGISLAÇÃO CITADA ANEXADA PELA**  
**Coordenação de Organização da Informação Legislativa - CELEG**  
**Serviço de Tratamento da Informação Legislativa - SETIL**  
**Seção de Legislação Citada - SELEC**

**CONSTITUIÇÃO  
DA  
REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL  
1988**

**PREÂMBULO**

Nós, representantes do povo brasileiro, reunidos em Assembléia Nacional Constituinte para instituir um Estado democrático, destinado a assegurar o exercício dos direitos sociais e individuais, a liberdade, a segurança, o bem-estar, o desenvolvimento, a igualdade e a justiça como valores supremos de uma sociedade fraterna, pluralista e sem preconceitos, fundada na harmonia social e comprometida, na ordem interna e internacional, com a solução pacífica das controvérsias, promulgamos, sob a proteção de Deus, a seguinte Constituição da República Federativa do Brasil.

---

**TÍTULO II  
DOS DIREITOS E GARANTIAS FUNDAMENTAIS**

**CAPÍTULO I  
DOS DIREITOS E DEVERES INDIVIDUAIS E COLETIVOS**

Art. 5º Todos são iguais perante a lei, sem distinção de qualquer natureza, garantindo-se aos brasileiros e aos estrangeiros residentes no País a inviolabilidade do direito à vida, à liberdade, à igualdade, à segurança e à propriedade, nos termos seguintes:

I - homens e mulheres são iguais em direitos e obrigações, nos termos desta Constituição;

II - ninguém será obrigado a fazer ou deixar de fazer alguma coisa senão em virtude de lei;

III - ninguém será submetido a tortura nem a tratamento desumano ou degradante;

IV - é livre a manifestação do pensamento, sendo vedado o anonimato;

V - é assegurado o direito de resposta, proporcional ao agravo, além da indenização por dano material, moral ou à imagem;

VI - é inviolável a liberdade de consciência e de crença, sendo assegurado o livre exercício dos cultos religiosos e garantida, na forma da lei, a proteção aos locais de culto e a suas liturgias;

VII - é assegurada, nos termos da lei, a prestação de assistência religiosa nas entidades civis e militares de internação coletiva;

VIII - ninguém será privado de direitos por motivo de crença religiosa ou de convicção filosófica ou política, salvo se as invocar para eximir-se de obrigação legal a todos imposta e recusar-se a cumprir prestação alternativa, fixada em lei;

IX - é livre a expressão da atividade intelectual, artística, científica e de comunicação, independentemente de censura ou licença;

X - são invioláveis a intimidade, a vida privada, a honra e a imagem das pessoas, assegurado o direito a indenização pelo dano material ou moral decorrente de sua violação;

XI - a casa é asilo inviolável do indivíduo, ninguém nela podendo penetrar sem consentimento do morador, salvo em caso de flagrante delito ou desastre, ou para prestar socorro, ou, durante o dia, por determinação judicial;

XII - é inviolável o sigilo da correspondência e das comunicações telegráficas, de dados e das comunicações telefônicas, salvo, no último caso, por ordem judicial, nas hipóteses e na forma que a lei estabelecer para fins de investigação criminal ou instrução processual penal;

XIII - é livre o exercício de qualquer trabalho, ofício ou profissão, atendidas as qualificações profissionais que a lei estabelecer;

XIV - é assegurado a todos o acesso à informação e resguardado o sigilo da fonte, quando necessário ao exercício profissional;

XV - é livre a locomoção no território nacional em tempo de paz, podendo qualquer pessoa, nos termos da lei, nele entrar, permanecer ou dele sair com seus bens;

XVI - todos podem reunir-se pacificamente, sem armas, em locais abertos ao público, independentemente de autorização, desde que não frustrem outra reunião anteriormente convocada para o mesmo local, sendo apenas exigido prévio aviso à autoridade competente;

XVII - é plena a liberdade de associação para fins lícitos, vedada a de caráter paramilitar;

XVIII - a criação de associações e, na forma da lei, a de cooperativas independem de autorização, sendo vedada a interferência estatal em seu funcionamento;

XIX - as associações só poderão ser compulsoriamente dissolvidas ou ter suas atividades suspensas por decisão judicial, exigindo-se, no primeiro caso, o trânsito em julgado;

XX - ninguém poderá ser compelido a associar-se ou a permanecer associado;

XXI - as entidades associativas, quando expressamente autorizadas, têm legitimidade para representar seus filiados judicial ou extrajudicialmente;

XXII - é garantido o direito de propriedade;

XXIII - a propriedade atenderá a sua função social;

XXIV - a lei estabelecerá o procedimento para desapropriação por necessidade ou utilidade pública, ou por interesse social, mediante justa e prévia indenização em dinheiro, ressalvados os casos previstos nesta Constituição;

XXV - no caso de iminente perigo público, a autoridade competente poderá usar de propriedade particular, assegurada ao proprietário indenização ulterior, se houver dano;

XXVI - a pequena propriedade rural, assim definida em lei, desde que trabalhada pela família, não será objeto de penhora para pagamento de débitos decorrentes de sua atividade produtiva, dispondo a lei sobre os meios de financiar o seu desenvolvimento;

XXVII - aos autores pertence o direito exclusivo de utilização, publicação ou reprodução de suas obras, transmissível aos herdeiros pelo tempo que a lei fixar;

XXVIII - são assegurados, nos termos da lei:

a) a proteção às participações individuais em obras coletivas e à reprodução da imagem e voz humanas, inclusive nas atividades desportivas;

b) o direito de fiscalização do aproveitamento econômico das obras que criarem ou de que participarem aos criadores, aos intérpretes e às respectivas representações sindicais e associativas;

XXIX - a lei assegurará aos autores de inventos industriais privilégio temporário para sua utilização, bem como proteção às criações industriais, à propriedade das marcas, aos

nomes de empresas e a outros signos distintivos, tendo em vista o interesse social e o desenvolvimento tecnológico e econômico do País;

XXX - é garantido o direito de herança;

XXXI - a sucessão de bens de estrangeiros situados no País será regulada pela lei brasileira em benefício do cônjuge ou dos filhos brasileiros, sempre que não lhes seja mais favorável a lei pessoal do *de cùjus*;

XXXII - o Estado promoverá, na forma da lei, a defesa do consumidor;

XXXIII - todos têm direito a receber dos órgãos públicos informações de seu interesse particular, ou de interesse coletivo ou geral, que serão prestadas no prazo da lei, sob pena de responsabilidade, ressalvadas aquelas cujo sigilo seja imprescindível à segurança da sociedade e do Estado;

XXXIV - são a todos assegurados, independentemente do pagamento de taxas:

a) o direito de petição aos poderes públicos em defesa de direitos ou contra ilegalidade ou abuso de poder;

b) a obtenção de certidões em repartições públicas, para defesa de direitos e esclarecimento de situações de interesse pessoal;

XXXV - a lei não excluirá da apreciação do Poder Judiciário lesão ou ameaça a direito;

XXXVI - a lei não prejudicará o direito adquirido, o ato jurídico perfeito e a coisa julgada;

XXXVII - não haverá juízo ou tribunal de exceção;

XXXVIII - é reconhecida a instituição do júri, com a organização que lhe der a lei, assegurados:

a) a plenitude de defesa;

b) o sigilo das votações;

c) a soberania dos veredictos;

d) a competência para o julgamento dos crimes dolosos contra a vida;

XXXIX - não há crime sem lei anterior que o defina, nem pena sem prévia cominação legal;

XL - a lei penal não retroagirá, salvo para beneficiar o réu;

XLI - a lei punirá qualquer discriminação atentatória dos direitos e liberdades fundamentais;

XLII - a prática do racismo constitui crime inafiançável e imprescritível, sujeito à pena de reclusão, nos termos da lei;

XLIII - a lei considerará crimes inafiançáveis e insuscetíveis de graça ou anistia a prática da tortura, o tráfico ilícito de entorpecentes e drogas afins, o terrorismo e os definidos como crimes hediondos, por eles respondendo os mandantes, os executores e os que, podendo evitá-los, se omitirem;

XLIV - constitui crime inafiançável e imprescritível a ação de grupos armados, civis ou militares, contra a ordem constitucional e o Estado democrático;

XLV - nenhuma pena passará da pessoa do condenado, podendo a obrigação de reparar o dano e a decretação do perdimento de bens ser, nos termos da lei, estendidas aos sucessores e contra eles executadas, até o limite do valor do patrimônio transferido;

XLVI - a lei regulará a individualização da pena e adotará, entre outras, as seguintes:

a) privação ou restrição da liberdade;

b) perda de bens;

c) multa;

d) prestação social alternativa;

e) suspensão ou interdição de direitos;

XLVII - não haverá penas:

- a) de morte, salvo em caso de guerra declarada, nos termos do art. 84, XIX;
- b) de caráter perpétuo;
- c) de trabalhos forçados;
- d) de banimento;
- e) cruéis;

XLVIII - a pena será cumprida em estabelecimentos distintos, de acordo com a natureza do delito, a idade e o sexo do apenado;

XLIX - é assegurado aos presos o respeito à integridade física e moral;

L - às presidiárias serão asseguradas condições para que possam permanecer com seus filhos durante o período de amamentação;

LI - nenhum brasileiro será extraditado, salvo o naturalizado, em caso de crime comum, praticado antes da naturalização, ou de comprovado envolvimento em tráfico ilícito de entorpecentes e drogas afins, na forma da lei;

LII - não será concedida extradição de estrangeiro por crime político ou de opinião;

LIII - ninguém será processado nem sentenciado senão pela autoridade competente;

LIV - ninguém será privado da liberdade ou de seus bens sem o devido processo legal;

LV - aos litigantes, em processo judicial ou administrativo, e aos acusados em geral são assegurados o contraditório e a ampla defesa, com os meios e recursos a ela inerentes;

LVI - são inadmissíveis, no processo, as provas obtidas por meios ilícitos;

LVII - ninguém será considerado culpado até o trânsito em julgado de sentença penal condenatória;

LVIII - o civilmente identificado não será submetido a identificação criminal, salvo nas hipóteses previstas em lei;

LIX - será admitida ação privada nos crimes de ação pública, se esta não for intentada no prazo legal;

LX - a lei só poderá restringir a publicidade dos atos processuais quando a defesa da intimidade ou o interesse social o exigirem;

LXI - ninguém será preso senão em flagrante delito ou por ordem escrita e fundamentada de autoridade judiciária competente, salvo nos casos de transgressão militar ou crime propriamente militar, definidos em lei;

LXII - a prisão de qualquer pessoa e o local onde se encontre serão comunicados imediatamente ao juiz competente e à família do preso ou à pessoa por ele indicada;

LXIII - o preso será informado de seus direitos, entre os quais o de permanecer calado, sendo-lhe assegurada a assistência da família e de advogado;

LXIV - o preso tem direito à identificação dos responsáveis por sua prisão ou por seu interrogatório policial;

LXV - a prisão ilegal será imediatamente relaxada pela autoridade judiciária;

LXVI - ninguém será levado à prisão ou nela mantido quando a lei admitir a liberdade provisória, com ou sem fiança;

LXVII - não haverá prisão civil por dívida, salvo a do responsável pelo inadimplemento voluntário e inescusável de obrigação alimentícia e a do depositário infiel;

LXVIII - conceder-se-á *habeas corpus* sempre que alguém sofrer ou se achar ameaçado de sofrer violência ou coação em sua liberdade de locomoção, por ilegalidade ou abuso de poder;

LXIX - conceder-se-á mandado de segurança para proteger direito líquido e certo, não amparado por *habeas corpus* ou *habeas data*, quando o responsável pela ilegalidade ou abuso de poder for autoridade pública ou agente de pessoa jurídica no exercício de atribuições do poder público;

LXX - o mandado de segurança coletivo pode ser impetrado por:

a) partido político com representação no Congresso Nacional;

b) organização sindical, entidade de classe ou associação legalmente constituída e em funcionamento há pelo menos um ano, em defesa dos interesses de seus membros ou associados;

LXXI - conceder-se-á mandado de injunction sempre que a falta de norma regulamentadora torne inviável o exercício dos direitos e liberdades constitucionais e das prerrogativas inerentes à nacionalidade, à soberania e à cidadania;

LXXII - conceder-se-á *habeas data*:

a) para assegurar o conhecimento de informações relativas à pessoa do impetrante, constantes de registros ou bancos de dados de entidades governamentais ou de caráter público;

b) para a retificação de dados, quando não se prefira fazê-lo por processo sigiloso, judicial ou administrativo;

LXXIII - qualquer cidadão é parte legítima para propor ação popular que vise a anular ato lesivo ao patrimônio público ou de entidade de que o Estado participe, à moralidade administrativa, ao meio ambiente e ao patrimônio histórico e cultural, ficando o autor, salvo comprovada má-fé, isento de custas judiciais e do ônus da sucumbência;

LXXIV - o Estado prestará assistência jurídica integral e gratuita aos que comprovarem insuficiência de recursos;

LXXV - o Estado indenizará o condenado por erro judiciário, assim como o que ficar preso além do tempo fixado na sentença;

LXXVI - são gratuitos para os reconhecidamente pobres, na forma da lei:

a) o registro civil de nascimento;

b) a certidão de óbito;

LXXVII - são gratuitas as ações de *habeas corpus* e *habeas data*, e, na forma da lei, os atos necessários ao exercício da cidadania.

LXXVIII - a todos, no âmbito judicial e administrativo, são assegurados a razoável duração do processo e os meios que garantam a celeridade de sua tramitação. (*Inciso acrescido pela Emenda Constitucional nº 45, de 2004*)

§ 1º As normas definidoras dos direitos e garantias fundamentais têm aplicação imediata.

§ 2º Os direitos e garantias expressos nesta Constituição não excluem outros decorrentes do regime e dos princípios por ela adotados, ou dos tratados internacionais em que a República Federativa do Brasil seja parte.

§ 3º Os tratados e convenções internacionais sobre direitos humanos que forem aprovados, em cada Casa do Congresso Nacional, em dois turnos, por três quintos dos votos dos respectivos membros, serão equivalentes às emendas constitucionais. (*Parágrafo acrescido pela Emenda Constitucional nº 45, de 2004*)

§ 4º O Brasil se submete à jurisdição de Tribunal Penal Internacional a cuja criação tenha manifestado adesão. (*Parágrafo acrescido pela Emenda Constitucional nº 45, de 2004*)

## CAPÍTULO II DOS DIREITOS SOCIAIS

Art. 6º São direitos sociais a educação, a saúde, a alimentação, o trabalho, a moradia, o transporte, o lazer, a segurança, a previdência social, a proteção à maternidade e à infância, a assistência aos desamparados, na forma desta Constituição. (*Artigo com redação dada pela Emenda Constitucional nº 90, de 2015*)

.....  
.....

## **LEI Nº 8.080, DE 19 DE SETEMBRO DE 1990**

Dispõe sobre as condições para promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências.

### **O PRESIDENTE DA REPÚBLICA**

Faço saber que o Congresso Nacional decreta e eu sanciono a seguinte Lei:

#### **DISPOSIÇÃO PRELIMINAR**

Art. 1º Esta Lei regula, em todo o território nacional, as ações e serviços de saúde, executados isolada ou conjuntamente, em caráter permanente ou eventual, por pessoas naturais ou jurídicas de direito Público ou privado.

#### **TÍTULO I DAS DISPOSIÇÕES GERAIS**

Art. 2º A saúde é um direito fundamental do ser humano, devendo o Estado prover as condições indispensáveis ao seu pleno exercício.

§ 1º O dever do Estado de garantir a saúde consiste na formulação e execução de políticas econômicas e sociais que visem à redução de riscos de doenças e de outros agravos e no estabelecimento de condições que assegurem acesso universal e igualitário às ações e aos serviços para a sua promoção, proteção e recuperação.

§ 2º O dever do Estado não exclui o das pessoas, da família, das empresas e da sociedade.

.....  
.....

## **PROJETO DE LEI N.º 2.300, DE 2021 (Do Sr. Eduardo da Fonte)**

Dispõe sobre a inclusão e presença obrigatória do medicamento EVRYSDI® (risdiplam) na lista RENAME e sua disponibilização no Sistema Único de Saúde e farmácias populares.

**DESPACHO:**  
APENSE-SE À(AO) PL-5253/2020.



## CÂMARA DOS DEPUTADOS

### PROJETO DE LEI n.º , DE 2021.

(Do Senhor Eduardo da Fonte)

Apresentação: 23/06/2021 16:40 - Mesa

PL n.2300/2021

*Dispõe sobre a inclusão e  
presença obrigatória do medicamento  
EVRYSDI® (risdiplam) na lista  
RENAME e sua disponibilização no  
Sistema Único de Saúde e farmácias  
populares.*

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Fica assegurada a inclusão e a presença obrigatória na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME, do medicamento EVRYSDI (risdiplam).

Art. 2º O Ministério da Saúde consolidará e publicará as atualizações da RENAME, do respectivo Formulário Terapêutico Nacional e dos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas.

Art. 3º Ficam as unidades do programa Farmácia Popular do Brasil, obrigadas a disponibilizar aos interessados, em local de fácil acesso, a listagem medicamentos constantes na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais.

Art. 4º Fica o Governo Federal autorizado a importar o referido medicamento, cuja ausência no âmbito do Sistema Único de Saúde possa causar riscos à saúde pública.

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



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Eduardo da Fonte

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD217660108900>



\* C D 2 1 7 6 6 0 1 0 8 9 0 0 \*



## CÂMARA DOS DEPUTADOS

### JUSTIFICAÇÃO

A Agencia Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) aprovou mais um medicamento para tratamento de pessoas com atrofia muscular espinhal (AME), uma doença genética rara que afeta o neurônio motor espinhal. O novo fármaco é o risdiplam, produzido pela farmacêutica Roche sob nome comercial Evrysdi®.<sup>1</sup>

O registro foi feito por meio da Resolução (RE) 4.079/2020, publicada no Diário Oficial da União (D.O.U.) de terça-feira, dia 13. O medicamento foi priorizado de acordo com as normas da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) 205/2017, que estabelecem um procedimento especial para autorizações de tratamentos de doenças raras.

A atrofia muscular espinhal é uma condição genética com que as pessoas podem nascer, causada pela falta de uma proteína chamada "sobrevivência do neurônio motor" (SMN) no corpo. A proteína SMN é necessária para que os nervos funcionem corretamente. Não ter quantidade suficiente de proteína SMN resulta na perda de neurônios motores, levando à fraqueza muscular e à perda de massa muscular. Atividades básicas como controle de cabeça e pescoço, sentar, engatinhar e caminhar podem ser afetadas. Os músculos usados para respirar e engolir também podem ser afetados.

A medicação funciona ajudando o corpo a produzir mais proteína SMN e a manter os níveis de proteína SMN mais elevados por todo o corpo com o uso contínuo. Isso reduz a perda de células nervosas e pode melhorar a força e a função muscular em uma ampla faixa de idades e tipos de AME.

Importante salientar que as atrofias musculares espinhais (AME) são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de AME estão associadas a numerosas mutações genéticas e significativa variabilidade fenotípica. A AME 5q é a forma mais comum entre esse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico.<sup>2</sup>

A AME 5q é a causa mais frequente de morte infantil decorrente de uma condição monogênica, apresentando uma prevalência de 1-

1 <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/evrysdi-r-risdiplam-novo-registro>

2 <https://iname.org.br/tipos-de-ame/#:~:text=A%20atrofia%20muscular%20espinhal%20%C3%A9%20uma%20condi%C3%A7%C3%A3o%20gen%C3%A9tica%20rara%20que%20afeta%20o%20neur%C3%B4nio%20motor%20espinhal,%20resultando%20em%20uma%20perda%20progressiva%20de%20fun%C3%A7%C3%A3o%20nos%20m%C3%BCsculos%20do%20corpo>





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

2 em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos, conforme verificado em estudos realizados fora do Brasil.

A AME ainda é dividida em subtipos, de I a IV. O subtipo I representa ao redor de 58% de todas as AMEs, a idade de início dos sintomas é de 0 a 6 meses e a expectativa de vida é de menos de 2 anos. A AME tipo II representa ao redor de 29% do total de casos, tem início dos sintomas ao redor de 7 a 18 meses e a expectativa de vida encontra-se entre 2 e 18 anos. A AME tipo 3 representa ao redor de 13% dos casos, os sintomas têm início após os 18 anos e a expectativa de vida é normal, assim como a AME tipo IV.

Nesse sentido, considerando o disposto no artigo 6º da Constituição Federal, que assegura a saúde como um direito social, o objetivo deste projeto de lei é justamente proporcionar o acesso este direito como consectário lógico do princípio da dignidade da pessoa humana.

Diante dessas razões, conto com o apoio dos nobres pares para a aprovação desta matéria.

Sala das Sessões, em \_\_\_\_\_ de \_\_\_\_\_ de 2021.

**Deputado EDUARDO DA FONTE**

**PP/PE**



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Eduardo da Fonte  
Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD217660108900>



**LEGISLAÇÃO CITADA ANEXADA PELA**

Coordenação de Organização da Informação Legislativa - CELEG  
Serviço de Tratamento da Informação Legislativa - SETIL  
Seção de Legislação Citada - SELEC

**CONSTITUIÇÃO  
DA  
REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL  
1988**

**PREÂMBULO**

Nós, representantes do povo brasileiro, reunidos em Assembléia Nacional Constituinte para instituir um Estado democrático, destinado a assegurar o exercício dos direitos sociais e individuais, a liberdade, a segurança, o bem-estar, o desenvolvimento, a igualdade e a justiça como valores supremos de uma sociedade fraterna, pluralista e sem preconceitos, fundada na harmonia social e comprometida, na ordem interna e internacional, com a solução pacífica das controvérsias, promulgamos, sob a proteção de Deus, a seguinte Constituição da República Federativa do Brasil.

.....

**TÍTULO II  
DOS DIREITOS E GARANTIAS FUNDAMENTAIS**

.....

**CAPÍTULO II  
DOS DIREITOS SOCIAIS**

Art. 6º São direitos sociais a educação, a saúde, a alimentação, o trabalho, a moradia, o transporte, o lazer, a segurança, a previdência social, a proteção à maternidade e à infância, a assistência aos desamparados, na forma desta Constituição. ([Artigo com redação dada pela Emenda Constitucional nº 90, de 2015](#))

Art. 7º São direitos dos trabalhadores urbanos e rurais, além de outros que visem à melhoria de sua condição social:

I - relação de emprego protegida contra despedida arbitrária ou sem justa causa, nos termos de lei complementar, que preverá indenização compensatória, dentre outros direitos;

II - seguro-desemprego, em caso de desemprego involuntário;

III - fundo de garantia do tempo de serviço;

IV - salário mínimo, fixado em lei, nacionalmente unificado, capaz de atender às suas necessidades vitais básicas e às de sua família com moradia, alimentação, educação, saúde, lazer, vestuário, higiene, transporte e previdência social, com reajustes periódicos que lhe preservem o poder aquisitivo, sendo vedada sua vinculação para qualquer fim;

V - piso salarial proporcional à extensão e à complexidade do trabalho;

## DIÁRIO OFICIAL DA UNIÃO

Publicado em: 13/10/2020 | Edição: 196 | Seção: 1 | Página: 69

**Órgão: Ministério da Saúde/Agência Nacional de Vigilância Sanitária/Segunda Diretoria/Gerência-Geral de Medicamentos e Produtos Biológicos**

### **RESOLUÇÃO-RE Nº 4.079, DE 8 DE OUTUBRO DE 2020**

O Gerente-Geral de Medicamentos e Produtos Biológicos, no uso das atribuições que lhe confere o art. 130, aliado ao art. 54, I, § 1º do Regimento Interno aprovado pela Resolução de Diretoria Colegiada - RDC nº 255, de 10 de dezembro de 2018, resolve:

Art. 1º Deferir petições relacionadas à Gerência-Geral de Medicamentos, conforme anexo.

Art. 2º Esta Resolução entra em vigor na data de sua publicação.

**GUSTAVO MENDES LIMA SANTOS**

#### **ANEXO**

**NOME DA EMPRESA CNPJ**

**PRINCIPIO(S) ATIVO(S)**

**NOME DO MEDICAMENTO NUMERO DO PROCESSO VENCIMENTO DO REGISTRO**

**ASSUNTO DA PETIÇÃO EXPEDIENTE**

**NUMERO DE REGISTRO VALIDADE**

**APRESENTAÇÃO DO PRODUTO**

**PRINCIPIO(S) ATIVO(S)**

---

**PRODUTOS ROCHE QUÍMICOS E FARMACÊUTICOS S.A.  
33009945000123**

**RISDIPLAM**

**EVRYSDI 25351.116416/2020-41 10/2030**

**11306 MEDICAMENTO NOVO - REGISTRO DE MEDICAMENTO NOVO  
0525095/20-1**

**1.0100.0670.001-5 24 Meses**

**0,75 MG/ML PO SOL OR CT FR VD AMB X 80 ML + 2 SER DOS X 6 ML  
+ 2 SER DOS X 12 ML**

Samsung Bioepis br Pharmaceutical Itda. 24563776000188  
**TRASTUZUMABE**  
 ONTRUZANT 25351.083624/2018-32 05/2029  
 10406 PRODUTO BIOLÓGICO - INCLUSÃO DO LOCAL DE  
 FABRICAÇÃO DO DILUENTE 0977885/20-3

---



---

## **DIÁRIO OFICIAL DA UNIÃO**

Publicado em: 29/12/2017 | Edição: 249 | Seção: 1 | Página: 28-114

Órgão: Diretoria Colegiada

### **RESOLUÇÃO - RDC N° 205, DE 28 DE DEZEMBRO DE 2017**

A Diretoria Colegiada da Agência Nacional de Vigilância Sanitária, no uso da atribuição que lhe confere o art. 15, III e IV, aliado ao art. 7º, III, e IV, da Lei nº 9.782, de 26 de janeiro de 1999, e ao art. 53, V, §§ 1º e 3º do Regimento Interno aprovado nos termos do Anexo I da Resolução da Diretoria Colegiada - RDC nº 61, de 3 de fevereiro de 2016, resolve adotar a seguinte Resolução da Diretoria Colegiada, conforme deliberado em reunião realizada em 12 de dezembro de 2017, e eu, Diretor-Presidente, determino a sua publicação.

#### **CAPÍTULO I**

##### **Disposições Iniciais**

**Art. 1º** Fica aprovado o procedimento especial para:

I - anuênciam de ensaios clínicos a serem realizados no Brasil para avaliação de medicamentos para doenças raras;

II - certificação de boas práticas de fabricação aplicável a medicamentos para doenças raras; e

III - registro sanitário de novos medicamentos para doenças raras.

**Art. 2º** Esta resolução se aplica a novos medicamentos para doenças raras.

**Art. 3º** Para efeito desta Resolução são adotadas as seguintes definições:

I - doença rara: aquela que afeta até sessenta e cinco pessoas em cada cem mil indivíduos, conforme definido pela Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, com base em dados oficiais nacionais ou, quando inexistentes, em dados publicados em documentação técnico-científica;

II - novo medicamento: aquele com insumo farmacêutico ativo (IFA) inédito no país para a doença rara específica;

III - condição séria debilitante: doença ou condição associada a morbidade irreversível ou a alta probabilidade de morte, a menos que o curso da doença seja interrompido; e

.....

<b>FIM DO DOCUMENTO</b>
-------------------------