



## CÂMARA DOS DEPUTADOS

### COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

#### PROJETO DE LEI Nº 5.253, DE 2020

Apensados: PL nº 1.531/2021 e PL nº 2.300/2021

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

**Autor:** Deputado CELSO MALDANER

**Relator:** Deputado LUCAS REDECKER

#### I - RELATÓRIO

O Projeto de Lei em epígrafe, de autoria do Deputado 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 autor da proposição justifica sua iniciativa citando que a Atrofia Muscular Espinal – AME é uma doença degenerativa irreversível que atinge a vida de milhares de crianças pelo Brasil e pelo mundo, que dispõe atualmente de um tratamento genético em dose única. Demonstra que é competência do Estado auxiliar nessas situações, em especial por se tratar do medicamento mais caro do mundo, inacessível para a absoluta maioria dos brasileiros.

Foram apensados ao projeto original:

- PL nº 1.531/2021, de autoria do Deputado Guilherme Mussi, que 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.

Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Lucas Redecker

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD214362859400>



- PL nº 2.300/2021, de autoria do Deputado Eduardo da Fonte, que 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.

Os projetos foram distribuídos às Comissões de Seguridade Social e Família, Finanças e Tributação, e Constituição e Justiça e de Cidadania, esta última apenas para análise de constitucionalidade e de juridicidade, conforme art. 54 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados (RICD).

A apreciação é conclusiva pelas Comissões e o regime de tramitação é ordinário, conforme o art. 24, inciso II, e o art. 151, inciso III, ambos do RICD.

Ao fim do prazo regimental, não foram apresentadas emendas nesta Comissão.

É o relatório.

## II - VOTO DO RELATOR

Cabe a esta Comissão a apreciação de proposições, quanto ao mérito, no que tange a questões referentes a seu campo temático e áreas de atividade, nos termos regimentais.

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



\* C D 2 1 4 3 6 2 8 5 9 4 0 0 \*lexEdit

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 era considerada incurável até pouco tempo atrás, sendo os tratamentos 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 de novos tratamentos, como a primeira terapia gênica, 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. Utilizando um adenovírus como veículo, é feita 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. Além disso, quanto mais tardio o tratamento, maior a necessidade de equipamentos, internação, UTI, cirurgias, terapias intensas. Quanto mais cíclere o tratamento, menores os custos periféricos não exauridos na lista mencionada. Por seu turno, o tratamento em dose única poderia evitar esses gastos perenes, que são de difícil estimativa, mas nos permite deduzir que, possivelmente, a



\* C D 2 1 4 3 6 2 8 5 9 4 0 0 LexEdit

despesa única com a terapia gênica não seja tão cara quanto muitos imaginam quando considerado o custo-benefício a longo prazo.

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, esta 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 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 promotora de maior isonomia entre os pacientes atendidos nos serviços de saúde.

Dessa forma, a inclusão dos medicamentos possibilita que o médico e a família decidam, de maneira técnica, qual é a melhor opção



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Lucas Redecker

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD214362859400>



LexEdit  
 \* CD214362859400\*

terapêutica para cada criança, considerando as vantagens e desvantagens de cada uma das terapias.

Portanto, tendo tais fundamentos como norteadores, considero que as proposições em análise se revelam meritórias para o direito à saúde e para todas as crianças acometidas com a AME. Elaboramos substitutivo que reúne as propostas, estabelecendo as regras para uso destes novos medicamentos.

Ante o exposto, voto pela **aprovação** do Projeto de Lei nº 5.253, de 2020, e dos apensados PL nº 1.531/2021 e PL nº 2.300/2021, **na forma do Substitutivo anexo.**

Sala da Comissão, em \_\_\_\_\_ de \_\_\_\_\_ de 2021.

Deputado LUCAS REDECKER  
Relator



## COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

### SUBSTITUTIVO AO PROJETO DE LEI Nº 5.253, DE 2020

Apensados: PL nº 1.531/2021 e PL nº 2.300/2021

Dispõe sobre o direito da pessoa com Atrofia Muscular Espinal (AME) de receber os tratamentos mais eficazes no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º. Esta Lei dispõe sobre o direito da pessoa com Atrofia Muscular Espinal (AME) de receber os tratamentos mais eficazes no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

Art. 2º. É direito da pessoa com atrofia muscular espinhal receber, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), de modo universal, gratuito e oportuno, os tratamentos inovadores com eficácia comprovada cientificamente.

§ 1º Para uso no SUS, os medicamentos necessários ao tratamento da atrofia muscular espinhal deverão estar previamente registrados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) para esta indicação.

§ 2º Uma vez registrado um novo medicamento indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal, o mesmo deverá passar por processo de avaliação diferenciado, para comparação com as terapias existentes, sendo considerados, para a análise de custos, os efeitos de longo prazo, incluindo o ganho de capacidade e produtividade para os pacientes, e a economia prevista relacionada à melhoria do prognóstico.

§ 3º Ficam incorporados, dentre as possibilidades terapêuticas do Sistema Único de Saúde (SUS) para tratamento da atrofia muscular espinhal, os seguintes medicamentos, respeitados os protocolos clínicos e diretrizes



terapêuticas, nos termos do art. 19-M da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990<sup>1</sup>:

I - onasemnogeno abeparvoveque;

II – risdiplam.

§ 4º A inclusão dos tratamentos elencados não obsta a posterior inclusão de outros que sejam desenvolvidos para Atrofia Muscular Espinal.

Art. 3º. Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação.

Sala da Comissão, em \_\_\_\_\_ de \_\_\_\_\_ de 2021.

Deputado LUCAS REDECKER  
Relator

---

<sup>1</sup> BRASIL. Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990. Disponível em:

<[http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/leis/l8080.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm)>

Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Lucas Redecker

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD214362859400>



LexEdit

\* C D 2 1 4 3 6 2 8 5 9 4 0 0 \*