

**INDICAÇÃO Nº     , DE 2022**  
(Do Sr. CARLOS HENRIQUE GAGUIM)

Sugere ao Poder Executivo urgência na análise do processo que trata da incorporação do tratamento para Lipofuscinose Ceróide Neuronal (CLN2) no Sistema Único de Saúde.

Excelentíssimo Senhor Ministro da Saúde,

O dia 28 de fevereiro marca o Dia Mundial das Doenças Raras, data importante para a divulgação e conscientização sobre mais de 7 mil doenças existentes no Mundo. Segundo o webinar patrocinado pela BioMarin realizado pela Casa Jota, em 03.02.2022, parcela pequena das doenças raras ou ultrarraras já identificadas possui medicamentos específicos para tratamento.

No caso específico para a doença ultrarrara lipojuscinose ceróide neuronal tipo 2 (CLN2), a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) aprovou o registro do medicamento alfacerylponase, da farmácia Bio Marin, único existente para a doença.

A Lipofuscinose Ceróide Neuronal (CLN2) – também conhecida como Doença de Batten Infantil Tardia ou Doença de Jansky-Bielschowsky – é uma doença genética rara, autossômica recessiva, que se caracteriza pelo depósito de lipopigmento auto fluorescente nos neurónios e em outras células. É causada pela deficiência da enzima tripeptidyl peptidase1 (TPP1), o que gera um acúmulo de pigmento lipídico dentro dos lisossomos dos neurônios e acarreta danos degenerativos nessas células e na retina. Os sintomas são progressivos e incapacitantes. A doença se manifesta entre os dois e quatro anos de idade de crianças previamente saudáveis, que então passam a ter convulsões e declínio na linguagem. Rapidamente, evoluem para declínio motor, linguístico, cognitivo e visual no período de quatro a seis anos.



Essa doença afeta entre 1.200 e 1.600 crianças em todo o mundo. **No Brasil**, de acordo com a Federação de Doenças Raras Norte, Nordeste e Centro-Oeste (Fedram) **quinze crianças diagnosticadas lutam pelo seu tratamento.**

Registro, entretanto, que, em outubro do ano passado, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (Conitec) recomendou que o tratamento não fosse incorporado no Sistema Único de Saúde. O tema passou a ser novamente discutido, agora, a partir de novo parecer, a decisão da incorporação do tratamento caberá à Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde.

Vimos, assim, sugerir a V. Exa. urgência por um posicionamento a respeito do andamento e de quais procedimentos já foram realizados no tocante à incorporação desse fármaco no SUS. Essa é a esperança de quinze famílias brasileiras que esperam agilidade para fazer justiça a essas crianças.

Sala das Sessões, em        de        de 2022.

Deputado CARLOS HENRIQUE GAGUIM



**REQUERIMENTO Nº           , DE 2022**  
(Do Sr. CARLOS HENRIQUE GAGUIM)

Requer o envio de Indicação ao Poder Executivo, relativa à urgência na análise do processo que trata da incorporação do tratamento para Lipofuscinose Ceróide Neuronal (CLN2) no Sistema Único de Saúde.

Senhor Presidente:

Nos termos do art. 113, inciso I e § 1º, do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, requeiro a V. Ex<sup>a</sup>. seja encaminhada ao Poder Executivo a Indicação anexa, sugerindo urgência por um posicionamento a respeito do andamento e de quais procedimentos já foram realizados no tocante à incorporação do medicamento alfacerliponase, da farmácia Bio Mari no Sistema Único de para tratamento da doença Lipofuscinose Ceróide Neuronal (CLN2).

Sala das Sessões, em           de           de 2022.

Deputado CARLOS HENRIQUE GAGUIM

Apresentação: 16/02/2022 09:41 - Mesa

INC n.59/2022



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Carlos Henrique Gaguim  
Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD227084687400>

