

COMISSÃO DE SAÚDE

PROJETO DE LEI Nº 4.058, DE 2023.

Institui o Estatuto da Pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, destinado a assegurar e a promover, em condições de igualdade, o acesso ao tratamento adequado e o exercício dos direitos e das liberdades fundamentais da pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, com vistas a garantir o respeito à dignidade, à cidadania e à sua inclusão social.

Autores: Deputado Marcelo Lima - PSB/SP, Maria Rosas - REPUBLIC/SP.

Relatora: Deputada ROSANGELA MORO.

I - RELATÓRIO

O Projeto de Lei nº 4.058, de 2023, de autoria dos nobres colegas Deputado Marcelo Lima (PSB/SP) e Deputada Maria Rosas institui o Estatuto da Pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, com o objetivo de assegurar e promover, em condições de igualdade, o acesso ao tratamento adequado e ao exercício dos direitos e das liberdades fundamentais da pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, para garantir o respeito à dignidade, à cidadania e à sua inclusão social.

Os autores fundamentam que a proposta “*tem como objetivo instituir o Estatuto da Pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, promovendo conscientização da garantia de direitos, acesso à tratamentos adequados, estímulos às pesquisas, desenvolver terapias específicas para abordagem das Doenças Crônicas Complexas e Raras, melhorar a qualidade de vida dos pacientes e cuidadores, trazendo princípios, direitos e diretrizes que devem ser observados para a formulação de políticas públicas direcionadas a essa população.*”

Prosseguem: “O diagnóstico de uma doença rara pode ser emocionalmente desafiador para os diagnosticados e suas famílias. O tratamento não



se limita apenas à abordagem médica, mas também inclui suporte psicológico e social para ajudar os pacientes a enfrentar os desafios emocionais associados à condição.

A legislação brasileira relacionada à saúde pública é fundamental para assegurar um sistema de saúde abrangente e equitativo. A Lei 8.080/1990, também conhecida como Lei Orgânica da Saúde, estabelece os princípios e diretrizes do Sistema Único de Saúde (SUS), garantindo o acesso universal a serviços de saúde de qualidade. Ela define a saúde como um direito de todos e dever do Estado, priorizando ações preventivas, promoção da saúde e assistência médica”.

Ao justificar a proposta trazem à baila o arcabouço legal em vigor no país, que disciplina o tema, a saber: a Portaria 199 de 30 de janeiro de 2014, que Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio.

Destacam a importância da Portaria, instituída para estabelecer um guia essencial para os profissionais de saúde no tratamento e acompanhamento desses pacientes, além de incluir orientações sobre diagnóstico precoce, terapias especializadas, suporte multidisciplinar e acesso a tratamentos inovadores, quando disponíveis.

Ressaltam a relevante função que a norma desempenha ao instituir incentivos financeiros de custeio, tendo em vista que recursos adicionais são alocados para garantir a implementação eficaz da política, contribuindo para a disponibilidade de serviços de qualidade e aprimorando a rede de assistência aos indivíduos com doenças raras.

Deste modo, os autores concluem a justificação da proposta, argumentando que a *“instituição do Estatuto é de suma importância, pois estabelece o escopo de atuação dos Serviços de Atenção Especializada e Serviços de Referência em Doenças Crônicas Complexas e Raras no Sistema Único de Saúde, bem como as qualidades técnicas necessárias ao bom desempenho de suas funções no contexto da rede assistencial”*.

Trata-se de proposição sujeita à apreciação conclusiva pelas comissões, despachada à Comissão de Saúde (CSAUDE); à Comissão de Finanças e Tributação (Art. 54 RICD), e a Constituição e Justiça e de Cidadania (Art. 54 RICD)



para análise dos aspectos constitucionais, legais, jurídicos, regimentais e de técnica legislativa.

Tramita em regime ordinário (art. 151, III, do RICD).

Findo o prazo regimental, não foram apresentadas emendas.

É o relatório.

II - VOTO DA RELATORA

É atribuição desta Comissão apreciar e deliberar sobre o mérito das proposições em relação à saúde, nos termos do art.22 combinado com art. 32, inc. XVII do Regimento Interno da Câmara dos Deputados.

O PL nº 4.058, de 2023 Institui o Estatuto da Pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, destinado a assegurar e a promover, em condições de igualdade, o acesso ao tratamento adequado e o exercício dos direitos e das liberdades fundamentais da pessoa com Doenças Crônicas Complexas e Raras, com vistas a garantir o respeito à dignidade, à cidadania e à sua inclusão social.

O Brasil adota o critério da prevalência da Organização Mundial de Saúde, segundo o qual é considerada uma doença rara aquela que afeta até 65 pessoas para cada grupo de 100.000 habitantes.

O número de doenças raras conhecidas é apontado entre 6.000 a 8.000, considerando os dados internacionais que estimam que até 6% da população tem alguma doença rara. Pela projeção de população do IBGE de 203 milhões de Brasileiros, estima-se que cerca de 12 milhões de brasileiros tem alguma doença rara. Se considerarmos a diminuição da mortalidade por outras causas devido a melhoria da saúde materno-infantil nas últimas décadas, as doenças raras tornaram-se a segunda causa de mortalidade infantil proporcional. Estima-se que apenas 10% das doenças raras tenham algum tipo de tratamento medicamentoso específico.¹

¹ Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. PORTARIA No 199, DE 30 DE JANEIRO DE 2014. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio.

Iriart JAB et al. Da busca pelo diagnóstico às incertezas do tratamento: desafios do cuidado para as doenças genéticas raras no Brasil. Ciência & Saúde Coletiva, 24(10):3637-3650, 2019.



As doenças raras são muito diversas, afetam órgãos diferentes e tem sintomas distintos. A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras considerou as enfermidades, de acordo com suas características:²

- Doenças raras de origem genética: 80% são causadas por fatores ligados à genética do paciente. Alguns exemplos são erros inatos do metabolismo (distúrbios que, em geral, se relacionam à produção de enzimas no organismo que não conseguem quebrar, armazenar ou transportar as moléculas no organismo) e anomalias congênitas ou de manifestação tardia (alterações que podem ocorrer durante o desenvolvimento do embrião que geram deformações estéticas ou afetam até mesmo as funções de alguns órgãos/sistemas).
- Doenças raras de origem não genética: demais enfermidades que podem ocorrer por fatores ambientais, como problemas infecciosos, inflamatórios, autoimunes e outras doenças raras de origem não genética. Estimando que apenas 10% das doenças raras tenham algum tipo de tratamento medicamentoso específico.

Com efeito, a portaria foi um relevante marco para a atenção aos pacientes com doenças raras. Contudo, mesmo em vigência desde 2014, a efetiva implementação desta política e diretrizes permanece desafiadora devido à ausência de mecanismos assertivos de estabelecimento e controle dos processos, bem como de um fundo específico de financiamento das ações já estabelecidas.

É necessário destacar que a atual política de atenção aos raros tem seu foco mais voltado à estruturação da rede de diagnóstico e aconselhamento genético do que, efetivamente, no gerenciamento e tratamento dos pacientes com doenças raras.

Os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT) também são instrumentos valiosos no atendimento dos pacientes com doenças raras no Brasil,

Nguengang Wakap S, Lambert DM, Olry A, et al. Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. Eur J Hum Genet. 2020;28(2):165-173. doi:10.1038/s41431-019-0508-0.

IBGE/Diretoria de Pesquisas. Coordenação de População e Indicadores Sociais. Gerência de Estudos e Análises da Dinâmica Demográfica. Censo demográfico 2022. População e domicílios. Primeiros resultados.

Vieira DKR, Attianezi M, Horovitz D, Llerena Jr J. Atenção em genética médica no SUS: a experiência de um município de médio porte. Physis 2013; 23(1):243-261.

Aureliano WA. Trajetórias Terapêuticas Familiares: doenças raras hereditárias como sofrimento de longa duração. Cien Saude Colet 2018; 23(2):369-380.

2

<https://www.casahunter.org.br/lista-doencas-raras/>



porém, alcançam apenas uma parcela das doenças raras, tendo seu maior foco na oferta de assistência farmacêutica de alto custo.

Os temas de incorporação e financiamento dos pacientes raros no SUS também são altamente relevantes e demandam uma profunda transformação, para atender de forma completa, integrada e assertiva os pacientes raros. A implementação de um processo de análise multicritério que leve em consideração todas as peculiaridades inerentes às doenças raras, incluindo uma avaliação de custo-efetividade justa e condizente com a natureza dessas doenças é elementar.

A ampliação da discussão e visibilidade ao tema Doenças Raras, com rede específica de atenção integral aos pacientes com Doenças Raras no sistema único de saúde (SUS), traria ganhos no gerenciamento de recursos a promover a sustentabilidade do Sistema Único de Saúde (SUS). Para materializar as propostas de melhorias no SUS em benefício dos pacientes com doenças raras e do próprio sistema de saúde com o estabelecimento de instrumentos que tragam maior previsibilidade e assertividade no investimento.

Este é o mérito do projeto apresentado pelos nobres autores.

Contudo, as doenças raras distinguem-se das doenças crônicas, que estão disciplinadas na Portaria 483 de 01 de abril de 2014 com a definição da Rede de Atenção à Saúde das Pessoas com Doenças Crônicas no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e estabelece diretrizes para a organização das suas linhas de cuidado.

Merecem, certamente, atenção dessa casa legislativa em instrumento diverso, porque não se confundem com as doenças raras, conceituadas, como dito anteriormente, pelo critério da prevalência. As doenças crônicas, por sua vez, são doenças que apresentam início gradual, com duração longa ou incerta, que, em geral, apresentam múltiplas causas e cujo tratamento envolve mudanças de estilo de vida, em um processo de cuidado contínuo que, usualmente, não leva à cura.

Para que ambas tenham a atenção e cuidado devidamente estabelecidas em normativas consideramos que é mais apropriado e efetivo que as políticas referentes às Doenças Crônicas Complexas, e Raras, sejam trabalhadas de forma autônomas e separadas em Estatutos próprios, levando em conta a complexidade de cada tema específico.



Deste modo, o estabelecimento, em 2014, da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e das Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas no âmbito do Sistema Único de Saúde, deve ser reconhecido como um importante avanço na atenção aos pacientes com doenças raras.

Entretanto, portarias são atos administrativos emanados do Poder Executivo e, portanto de natureza frágil porque podem ser alteradas a qualquer momento. Diferentemente das leis que tem a carga da perenidade até que outra lhe revogue ou substitua.

É chegada a hora das pessoas com doenças raras gozarem de um Estatuto próprio e único, pois são 13 milhões de brasileiros que possuem alguma doença rara.

Também, é importante salientar que a atual política de atenção aos raros tem seu foco mais voltado à estruturação da rede de diagnóstico e aconselhamento genético do que, efetivamente, no gerenciamento e tratamento dos pacientes com doenças raras.

Os protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT) também são um instrumento valioso no atendimento dos pacientes com doenças raras no Brasil, porém cobrem apenas uma parcela das doenças raras, tendo seu maior foco na oferta de assistência farmacêutica de alto custo.

Os temas de incorporação e financiamento dos pacientes raros no SUS também são altamente relevantes e demandam uma profunda transformação, tanto para atender de forma completa, integrada e assertiva os pacientes raros. Assim, a implementação oficial de um processo de análise multicritério que leve em consideração todas as peculiaridades inerentes às doenças raras, incluindo uma avaliação de custo-efetividade justa e condizente com a natureza dessas doenças.

A ampliação da discussão e visibilidade ao tema Doenças Raras, estabelecendo uma rede específica de atenção integral aos pacientes com Doenças Raras no sistema único de saúde (SUS), traria ganhos no gerenciamento de recursos como também promover a sustentabilidade do Sistema Único de Saúde (SUS).

Assim, dentro do que cabe a esta Comissão de Saúde se manifestar nos termos regimentais, entendo que o projeto de lei ora em análise é meritório e de fundamental importância.



Diante do exposto, voto pela APROVAÇÃO do PL nº 4.058, de 2023,
na forma do SUBSTITUTIVO anexo.

Sala da Comissão, em 27 de novembro de 2023.

Deputada ROSANGELA MORO
Relatora



COMISSÃO DE SAÚDE

SUBSTITUTIVO AO PROJETO DE LEI Nº 4.058, DE 2023.

Institui o Estatuto da Pessoa com Doença Rara e dá outras providências.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Fica instituído o Estatuto da Pessoa com Doença Rara, destinado a assegurar e a promover o exercício de direitos e garantias fundamentais, reduzir estigmas e melhorar a saúde e a qualidade da vida dessas pessoas.

Art. 2º A pessoa com doença rara é considerada pessoa com deficiência, para todos os efeitos legais.

Parágrafo único. Considera-se ainda pessoa com deficiência a pessoa que mesmo sem diagnóstico definitivo, sofre impedimento de longo prazo de natureza física, mental, intelectual ou sensorial, o qual, em interação com uma ou mais barreiras, pode obstruir sua participação plena e efetiva na sociedade em igualdade de condições com as demais pessoas.

Art. 3º As ações e serviços de saúde pública para doenças raras, incluindo a assistência farmacêutica, são de acesso universal e igualitário, sem distinções de sexo, idade, raça, cor, orientação sexual, nível socioeconômico ou qualquer outro marcador social de diferenças que possa ser utilizado para discriminar um ser humano.

Parágrafo único. É assegurada a participação da pessoa com doença rara na elaboração das políticas de saúde a ela destinadas, bem como na elaboração de protocolos clínicos, diretrizes terapêuticas e linhas de cuidado.

Art. 4º As ações e os serviços de saúde pública, destinados à pessoa com doença rara devem assegurar:

I - diagnóstico e intervenção precoces, realizados por equipe multidisciplinar;



II - atendimento domiciliar, tratamento ambulatorial e internação;

III - atendimento psicológico, inclusive para seus familiares e cuidadores;

IV - serviços de habilitação e de reabilitação, inclusive para a manutenção da melhor condição de saúde e qualidade de vida que possa atingir em razão de sua doença;

V - dispensação de órteses, próteses, meios auxiliares de locomoção, medicamentos, insumos e fórmulas nutricionais, conforme as normas vigentes do Ministério da Saúde;

VI - incorporação em tempo adequado e o uso racional de tecnologias voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral das doenças raras, incluindo medicamentos e fórmulas nutricionais quando indicados;

VII - informação adequada e acessível à pessoa com doença rara e a seus familiares sobre sua condição de saúde; e

VIII - vacinação adequada para todos os ciclos de vida.

Parágrafo único. O cuidado com a saúde da pessoa rara não se limita e não tem como único objetivo a cura da doença, mas a consecução do melhor estado de bem-estar físico, mental e social que a pessoa tem o potencial de atingir.

Art. 5º A pessoa com doença rara não poderá ser obrigada a se submeter a intervenção clínica ou cirúrgica, ainda que previsto em protocolo clínico ou diretriz terapêutica.

Parágrafo único. O consentimento prévio, livre e esclarecido da pessoa com doença rara é indispensável para a realização de tratamento, procedimento e hospitalização, ressalvadas as situações de emergência ou risco de morte estando o paciente incapaz de exprimir sua vontade, quando será assistido ou representado na forma da lei.

Art. 6º Compete ao SUS, no âmbito da saúde materno-infantil, desenvolver ações destinadas à prevenção de doenças raras por causas evitáveis, inclusive por meio de:



I - atenção sexual e reprodutiva, incluindo o direito a aconselhamento genético, fertilização assistida, diagnósticos pré-implantacional e pré-natal;

II - identificação e controle da gestante de alto risco;

III - acompanhamento da gravidez, parto e puerpério, de forma humanizada;

IV - expansão e universalização da triagem neonatal, incluindo o início precoce do tratamento nos casos em que sua demora pode causar sequelas físicas e neurológicas irreversíveis;

V - respeito à especificidade, à identidade de gênero e à orientação sexual da pessoa com estados intersexuais ou anomalias da formação, desenvolvimento e maturação do sistema geniturinário.

Art. 7º A pessoa com doença rara tem direito a receber atendimento prioritário em quaisquer circunstâncias.

§ 1º Em situações de risco, emergência ou estado de calamidade pública, a pessoa com doença rara será considerada vulnerável, devendo o poder público adotar medidas para sua proteção e segurança.

§ 2º Nos serviços de emergência públicos e privados, a prioridade conferida por esta Lei será condicionada aos protocolos de estratificação de risco, quando adotados.

Art. 8º Às operadoras de planos e seguros privados de saúde são vedadas todas as formas de discriminação contra a pessoa com doença rara, inclusive por meio de cobrança de valores diferenciados em razão de sua condição clínica ou de fatores genéticos.

Parágrafo único. As operadoras de planos e seguros privados de saúde são obrigadas a garantir à pessoa com doença rara, no mínimo, todos os serviços e produtos ofertados aos demais consumidores.

Art. 9º É criado o Cadastro Nacional de Pessoas com Doenças Raras (CadRARAS), registro eletrônico com a finalidade de coletar, processar, sistematizar e disseminar informações que permitam a identificação e a caracterização



socioeconômica da pessoa com doença rara, bem como das barreiras que impedem a realização de seus direitos.

§ 1º O CadRARAS será administrado pelo gestor federal do Sistema Único de Saúde.

§ 2º Os dados do CadRARAS somente poderão ser utilizados para:

I - formulação, gestão, monitoramento e avaliação das políticas públicas para a pessoa com doença rara e para identificar as barreiras que impedem a realização de seus direitos;

II - realização de estudos e pesquisas.

§ 3º As pessoas cadastradas no CadRARAS receberão um cartão de identificação contendo: nome social, número de registro no Cadastro de Pessoas Físicas (CPF) da Receita Federal do Brasil, diagnóstico, e meio de verificação da autenticidade do documento.

Art. 10 A Lei nº 7.853, de 24 de outubro de 1989, passa a vigorar com as seguintes alterações:

“Art. 3º As medidas judiciais destinadas à proteção de interesses coletivos, difusos, individuais homogêneos e individuais indisponíveis da pessoa com doença rara poderão ser propostas pelo Ministério Público, pela Defensoria Pública, pela União, pelos Estados, pelos Municípios, pelo Distrito Federal, por associação constituída há mais de 1 (um) ano, nos termos da lei civil, por autarquia, por empresa pública e por fundação ou sociedade de economia mista que inclua, entre suas finalidades institucionais, a proteção dos interesses e a promoção de direitos da pessoa com doença rara.

.....” (NR)

Art. 11 A Lei nº 9.029, de 13 de abril de 1995, passa a vigorar com a seguinte alteração:

“Art. 2º



I - a exigência de teste, exame, perícia, laudo, atestado, declaração ou qualquer outro procedimento relativo à:

- a) esterilização ou a estado de gravidez;
- b) marcadores genéticos de susceptibilidade a doenças;
- c) doenças genéticas não manifestas.

.....” (NR)

Art. 12 O art. 35 da Lei nº 9.250, de 26 de dezembro de 1995, passa a vigorar acrescido do seguinte § 5º:

“Art. 35.

.....

§ 5º Sem prejuízo do disposto no inciso IX do parágrafo único do art. 3º da Lei nº 10.741, de 1º de outubro de 2003, a pessoa com deficiência ou doença rara, ou o contribuinte que tenha dependente nessa condição, tem preferência na restituição referida no inciso III do art. 4º e na alínea “c” do inciso II do art. 8º.” (NR)

Art. 13 O art. 1º da Lei nº 10.048, de 8 de novembro de 2000, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 1º As pessoas com deficiência ou doença rara, os idosos com idade igual ou superior a 60 (sessenta) anos, as gestantes, as lactantes, as pessoas com crianças de colo e os obesos terão atendimento prioritário, nos termos desta Lei.” (NR)

Art. 14 O § 3º do art. 1º da Lei nº 8.142, de 28 de dezembro de 1990, que “Dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre as transferências intergovernamentais de recursos financeiros na área da saúde e dá outras providências”, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 1º

§ 3º Terão representação no Conselho Nacional de Saúde:

I - Conselho Nacional de Secretários de Saúde (Conass);



II - Conselho Nacional de Secretários Municipais de Saúde (Conasems);

III - Representante de pacientes com doenças raras.” (NR)

Art. 15 Os direitos, os prazos e as obrigações previstos nesta Lei não excluem os já estabelecidos em outras legislações, inclusive em pactos, tratados, convenções e declarações internacionais aprovados e promulgados pelo Congresso Nacional, e devem ser aplicados em conformidade com as demais normas internas e acordos internacionais vinculantes sobre a matéria.

Parágrafo único. Prevalecerá a norma mais benéfica à pessoa com doença rara.

Art. 16 Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação.

Sala da Comissão, em 27 de novembro de 2023.

Deputada ROSANGELA MORO
Relatora

