

# PROJETO DE LEI Nº , DE 2023

(Da Sra. Rosângela Moro)

Dispõe sobre o prazo para realização de diagnóstico e tratamento do paciente com doença rara.

O Congresso Nacional decreta:

**Art. 1º** O paciente com doença rara receberá, gratuitamente, no Sistema Único de Saúde (SUS), todos os tratamentos incorporados, na forma desta Lei.

Parágrafo único. A padronização de terapias para doenças raras, cirúrgicas e ambulatoriais, deverá ser revista, republicada e atualizada sempre que se fizer necessário, para adequação ao conhecimento científico e à disponibilidade de novos tratamentos comprovados.

**Art. 2º** O paciente com doença rara tem direito de se submeter ao primeiro tratamento no Sistema Único de Saúde (SUS), no prazo de até 60 (sessenta) dias contados a partir do dia em que for firmado o diagnóstico em exame clínico, laboratorial e genético ou em prazo menor, conforme a necessidade terapêutica do caso registrada em prontuário único.

§1º Para efeito do cumprimento do prazo estipulado no caput, considerar-se-á efetivamente iniciado o primeiro tratamento da doença rara, com a realização de terapia cirúrgica ou com o início de tratamento medicamentoso ou com terapia multidisciplinar, conforme a necessidade terapêutica do caso.

§ 2º Os pacientes acometidos por manifestações dolorosas consequentes da doença rara terão tratamento preferencial e gratuito, quanto ao acesso às prescrições e dispensação de analgésicos específicos.

§ 3º Nos casos em que a principal hipótese diagnóstica seja a de doença rara, os exames necessários à elucidação devem ser realizados no prazo máximo de 30 (trinta) dias, mediante solicitação fundamentada do médico responsável.

**Art. 3º** O descumprimento desta Lei sujeitará os gestores direta e indiretamente responsáveis às penalidades administrativas.



**Art. 4º** Os Estados que apresentarem grandes espaços territoriais sem serviços especializados em doença rara deverão produzir planos regionais de instalação deles, para superar essa situação.

**Art. 5º** As doenças, agravos e eventos em saúde relacionados às doenças raras terão notificação e registro compulsórios, nos serviços de saúde públicos e privados em todo o território nacional, nos termos regulamentares.

**Art. 6º** Esta Lei entra em vigor após decorridos 180 (cento e oitenta) dias de sua publicação oficial.

## JUSTIFICAÇÃO

O presente Projeto de Lei tem a finalidade de criar a “Lei Anthony Daher”, com o intuito de atender a um problema de extrema relevância que afeta a qualidade de vida e a saúde de cidadãos diagnosticados com doenças raras em nosso país.

A demora do diagnóstico e a incerteza do tratamento representam uma angústia constante para milhões de pacientes, familiares e cuidadores em todo Brasil. E, uma vez diagnosticado o tratamento disponibilizado pelo SUS deve ser sumariamente fornecido, sob pena de evitar sequelas, e também, maior dependência do SUS e SUAS ao longo da vida do enfermo.

O ponto central repousa sobre a demora enfrentada por esses pacientes para obter atendimento em serviços especializados e planos de manejo apropriados para condições específicas.

Para os pacientes com neoplasia maligna comprovada o legislador já estabeleceu prazo para seu início do tratamento, de até 60 (sessenta) dias contados a partir do dia em que for firmado o diagnóstico em laudo patológico ou em prazo menor, conforme a necessidade terapêutica do caso registrada em prontuário único, conforme se infere da Lei nº 12. 732 de 22 de novembro 2012.

Deste modo, para as pessoas diagnosticadas com doenças raras a mesma prioridade deve ser conferida para os casos em que haja tratamento incorporado pelo SUS.



As dificuldades encontradas pelas famílias são por vezes imensuráveis. Diante de um diagnóstico muitas famílias se desfazem. Não raras vezes pais abandonam suas esposas, mães abandonam seus filhos, e filhos abandonam os pais por medo do desconhecido, por imaturidade ou mero descaso. Os que mantêm os laços familiares e enfrentam a doença se deparam com movimentos desafiadores: falta de acesso a profissionais especializados, falta de atendimento, demora e lentidão que, por si só, desafiam a vida do paciente.

Neste cenário de dificuldades quero compartilhar com os nobres pares a história de Anthony Daher, hoje com 13 (treze) anos de idade, que superou a sobrevida projetada pelos médicos.

Anthony é filho de Antoine Daher, um empresário libanês, dono de confecção de roupas no Brás, São Paulo, e da brasileira, Fernanda, dentista por profissão. Aos 03 (três) anos de idade, Anthony foi diagnosticado com Mucopolissacaridose tipo II, também conhecida como a Síndrome de Hunter.

A Mucopolissacaridose tipo II é uma doença de origem genética e afeta inúmeros órgãos do corpo humano e, como a maioria das doenças raras, se detectada tardiamente pode provocar sequelas e, inclusive, levar à morte.

O diagnóstico demorou demais (quase três anos), e quando feito, o médico disse que ele não chegaria aos 10 anos de idade. Ele já mostrou para todos a que veio.

Infelizmente, essa demora no diagnóstico é comum nas doenças raras, e geralmente leva de 7 a 10 anos para ocorrer.

O pai de Anthony, Toni, viajou o mundo em busca de tratamento para seu filho, mas conseguiu muito mais. As dificuldades enfrentadas serviram de incentivo para a família buscar alternativas terapêuticas que garantissem qualidade e sobrevida para Anthony. A família buscou por tecnologias em grandes centros de pesquisas de países como Japão, Alemanha, Estados Unidos, dentre outros. Diante dessa procura por tratamentos, eles se depararam com caminhos terapêuticos não apenas para a Mucopolissacaridose tipo II, mas para muitas outras doenças raras e pacientes. Seus pais possibilitaram que outras pesquisas fossem realizadas no Brasil, como para doença de Fabry, Mucopolissacaridose Tipo I, Tipo IV e Tipo VII, impactando centenas de pacientes em todo o país.

Recentemente sua atuação idealizou e fundou o Centro de Atendimento Integral e Treinamento em Doenças Raras foi construído em Porto Alegre pela parceria



do Instituto Genética para Todos com a Casa Hunter, duas Organizações da Sociedade Civil que desenvolvem projetos na área de doenças genéticas raras.

Iniciativa inédita na América Latina, a Casa dos Raros surgiu com a proposta de estabelecer uma rede interligada de atendimento integral às pessoas com doenças raras. O objetivo é a promoção de assistência integral e multidisciplinar aos pacientes e familiares a partir de diagnóstico rápido e preciso, de tratamentos avançados de pesquisas clínicas voltadas para doenças genéticas raras, e do treinamento e capacitação de profissionais de saúde para atuar na área

Além da situação específica de Anthony, relatos apresentados em diversas reuniões e eventos científicos indicam um tempo médio alarmante: superior a 5 (cinco) anos, desde o início dos sintomas até o diagnóstico, e, em casos extremos, chegando a 20 (vinte) anos. Adicionalmente, constata-se que em alguns estados da federação, a demora para o primeiro atendimento em serviços especializados ultrapassa 4 (quarto) anos.

Essa realidade é inquietante, uma vez que o diagnóstico precoce é crucial para iniciar tratamentos adequados, beneficiando não apenas o paciente, mas também seu núcleo familiar e eventualmente a equipe de cuidadores.

A urgência de intervenção se justifica considerando que o diagnóstico precoce é fundamental para doenças raras, sendo que 75% delas afetam pacientes na primeira infância, do nascimento aos dois anos de idade. Além disso, aproximadamente 30% dos pacientes com doenças raras não sobrevivem aos 5 (cinco) anos de idade.

Diante desse cenário, é imperativo que se estabeleça um limite máximo para o tempo de espera desde a solicitação da consulta até a sua efetivação, garantindo assim a pronta assistência a esses pacientes tão vulneráveis.

Nesse contexto, torna-se fundamental a aprovação deste projeto de lei para que seja implementada uma normativa que estabeleça diretrizes claras objetivando a redução dos prazos de espera para pacientes com suspeita de apresentar uma doença rara.

Acreditamos que a instituição desses limites temporais é crucial, uma vez que o diagnóstico precoce não apenas alivia o sofrimento dos pacientes, mas também pode alterar significativamente o desfecho dessas condições, conferindo-lhes melhores perspectivas de vida.

Ao buscar esta normativa, esperamos contribuir para um sistema de saúde mais ágil, eficiente e centrado nas necessidades dos pacientes com doenças raras,



assegurando-lhes o acesso oportuno a serviços especializados e promovendo, assim, a melhoria da qualidade de vida para essa parcela da população tão vulnerável.

Assim, ante a todo o exposto, solicitamos o imprescindível apoio dos ilustres pares para a aprovação do projeto que ora apresentamos.

Sala das Sessões, em 19 de dezembro de 2023.

**Rosângela Moro**  
**Deputada Federal - UNIÃO/SP**





## **Projeto de Lei** **(Da Sra. Rosângela Moro)**

Dispõe sobre o prazo para  
realização de diagnóstico e tratamento do  
paciente com doença rara.

Assinaram eletronicamente o documento CD236146076300, nesta ordem:

- 1 Dep. Rosângela Moro (UNIÃO/SP)
- 2 Dep. Diego Garcia (REPUBLIC/PR)
- 3 Dep. Fernanda Pessoa (UNIÃO/CE)
- 4 Dep. Osmar Terra (MDB/RS)
- 5 Dep. Dr. Zacharias Calil (UNIÃO/GO)
- 6 Dep. Zé Vitor (PL/MG)
- 7 Dep. Flávia Moraes (PDT/GO)

