

COMISSÃO DE DEFESA DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA

PROJETO DE LEI Nº 4.691, DE 2019

Apensados: PL nº 3.302/2015, PL nº 4.345/2016, PL nº 4.812/2016, PL nº 4.818/2016, PL nº 5.017/2016, PL nº 5.998/2016, PL nº 3.543/2019, PL nº 705/2019, PL nº 3.262/2020, PL nº 3.650/2020, PL nº 4.352/2020, PL nº 5.374/2020, PL nº 1.035/2021, PL nº 1.907/2021, PL nº 2.817/2021, PL nº 656/2021, PL nº 992/2022, PL nº 1.502/2023, PL nº 2.684/2023, PL nº 2.960/2023, PL nº 3.888/2023, PL nº 5.508/2023, PL nº 5.732/2023, PL nº 6.110/2023, PL nº 1.203/2024, PL nº 1.208/2024, PL nº 2.922/2024, PL nº 756/2024, PL nº 757/2024 e PL nº 758/2024

Altera a Lei nº 6.259, de 30 de outubro de 1975, que “dispõe sobre a organização das ações de Vigilância Epidemiológica, sobre o Programa Nacional de Imunizações, estabelece normas relativas à notificação compulsória de doenças, e dá outras providências”, para tornar obrigatória a notificação de doenças raras.

Autor: SENADO FEDERAL - LEILA BARROS

Relator: Deputado DANIEL AGROBOM

I - RELATÓRIO

O Projeto de Lei nº 4.691, de 2019, oriundo do Senado Federal, propõe alterar a Lei nº 6.259, de 1975, que “dispõe sobre a organização das ações de Vigilância Epidemiológica, sobre o Programa Nacional de Imunizações, estabelece normas relativas à notificação compulsória de doenças, e dá outras providências”, para tornar obrigatória a notificação de doenças raras.

Apensados em razão de também abordarem o tema das doenças raras, encontram-se os seguintes projetos de lei:



1. PL nº 3.302/2015, de autoria do Sr. Pedro Cunha Lima, que dispõe sobre a aplicação mínima de recursos para a pesquisa e o desenvolvimento de diagnósticos, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras, e destina parcela dos recursos recuperados em ações de ressarcimento ao erário da União às ações de atenção integral às pessoas com doenças raras no Sistema Único de Saúde.

2. PL nº 4.345/2016, de autoria do Sr. Átila A. Nunes, que cria os centros para tratamento de doenças raras em todos os estados da federação e dá outras providências.

3. PL nº 4.812/2016, de autoria do Sr. Ronaldo Carletto, que dispõe sobre o financiamento da pesquisa e do desenvolvimento de diagnósticos, vacinas, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de epidemias virais e do câncer.

4. PL nº 4.818/2016, de autoria da Sra. Mariana Carvalho, que autoriza o uso de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras.

5. PL nº 5.017/2016, de autoria da Sra. Leandre, que dispõe sobre o uso compassivo de fármacos em fase experimental.

6. PL nº 5.998/2016, de autoria da Sra. Mariana Carvalho, que acrescenta o § 3º ao art. 19-Q da Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critérios diferenciados para a avaliação e a incorporação de medicamentos órfãos, destinados ao tratamento das doenças raras.

7. PL nº 3.543/2019, de autoria da Sra. Edna Henrique, que altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para incluir treinamentos em doenças raras na política de recursos humanos da área da saúde.

8. PL nº 705/2019, de autoria do Sr. Célio Studart, que institui, em todo o território nacional, o Programa de mapeamento, identificação e cadastro de pessoas com doenças raras.

9. PL nº 3.262/2020, de autoria do Sr. Eduardo da Fonte, que altera a lei nº 13.930, de 10 de dezembro de 2019 e cria o Fundo Nacional para



Custeio e Fornecimento de Medicamentos e Terapias destinadas ao Tratamento de Doenças Raras ou Negligenciadas.

10. PL nº 3.650/2020, de autoria do Sr.Geninho Zuliani, que altera dispositivos da Lei nº 12.715, de 17 de setembro de 2012, que dispõe sobre alteração da alíquota das contribuições previdenciárias sobre a folha de salários devidas pelas empresas que especifica; institui o Programa de Incentivo à Inovação Tecnológica e Adensamento da Cadeia Produtiva de Veículos Automotores, o Regime Especial de Tributação do Programa Nacional de Banda Larga para Implantação de Redes de Telecomunicações, o Regime Especial de Incentivo a Computadores para Uso Educacional, o Programa Nacional de Apoio à Atenção Oncológica e o Programa Nacional de Apoio à Atenção da Saúde da Pessoa com Deficiência; restabelece o Programa Um Computador por Aluno; altera o Programa de Apoio ao Desenvolvimento Tecnológico da Indústria de Semicondutores, instituído pela Lei nº 11.484, de 31 de maio de 2007; altera as Leis nº s 9.250, de 26 de dezembro de 1995, 11.033, de 21 de dezembro de 2004, 9.430, de 27 de dezembro de 1996, 10.865, de 30 de abril de 2004, 11.774, de 17 de setembro de 2008, 12.546, de 14 de dezembro de 2011, 11.484, de 31 de maio de 2007, 10.637, de 30 de dezembro de 2002, 11.196, de 21 de novembro de 2005, 10.406, de 10 de janeiro de 2002, 9.532, de 10 de dezembro de 1997, 12.431, de 24 de junho de 2011, 12.414, de 9 de junho de 2011, 8.666, de 21 de junho de 1993, 10.925, de 23 de julho de 2004, os Decretos-Leis nº s 1.455, de 7 de abril de 1976, 1.593, de 21 de dezembro de 1977, e a Medida Provisória nº 2.199-14, de 24 de agosto de 2001; e dá outras providências.

11. PL nº 4.352/2020, de autoria do Sr.Julio Cesar Ribeiro, que altera a lei nº 13.930, de 10 de dezembro de 2019, para o direcionamento de percentuais no custeio de medicamentos ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas.

12. PL nº 5.374/2020, de autoria do Sr.Juninho do Pneu, que dispõe sobre as diretrizes para o tratamento de doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde.

13. PL nº 1.035/2021, de autoria do Sr.Lucas Redecker, que institui o Cadastro Nacional de Pessoas com Doenças Raras – Cad.Raras - e dá outras providências.



14. PL nº 1.907/2021, de autoria do Sr.Benes Leocádio, que altera a Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, para definir percentual mínimo de aplicação de recursos na pesquisa e desenvolvimento de vacinas.

15. PL nº 2.817/2021, de autoria do Sr.José Guimarães, que altera a Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, que dispõe sobre o Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, para garantir a aplicação mínima de 20% dos recursos, por um período de 10 anos, em pesquisa para desenvolvimento de novas vacinas e na criação de estrutura para produção nacional de imunizantes e de Insumos Farmacêuticos Ativos (IFAs).

16. PL nº 656/2021, de autoria do Sr.Marcelo Freixo, que dispõe sobre os tratamentos de síndrome ou doença rara, na forma que menciona.

17. PL nº 992/2022, de autoria da Sra.Silvia Cristina e do Sr.Weliton Prado, que institui o Estatuto da Pessoa com Doença Rara.

18. PL nº 1.502/2023, de autoria da Sra.Clarissa Tércio, que altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para instituir o Subsistema de Atenção à Saúde das Pessoas com Doenças Raras, no âmbito do Sistema Único de Saúde.

19. PL nº 2.684/2023, de autoria da Sra.Cristiane Lopes e da Sra.Delegada Katarina, que institui a Política de Atenção Integral à Saúde das Pessoas com Doenças Raras.

20. PL nº 2.960/2023, de autoria do Sr.Marcelo Lima, que institui o Programa de Apoio a Famílias e Responsáveis por Pessoas Portadoras de Atrofia Muscular Espinhal (AME), Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA) e outras doenças raras.

21. PL nº 3.888/2023, de autoria da Sra.Rosangela Moro, que altera a Lei nº 13.756, de 12 de dezembro de 2018; destina parcela do produto da arrecadação da loteria de prognóstico numérico para a aquisição de medicamentos destinados exclusivamente ao tratamento de doenças raras definidas pelo Ministério da Saúde.

22. PL nº 5.508/2023, de autoria da Sra.Renata Abreu, que institui a Lei de Proteção à Pessoa com Doença Rara.

23. PL nº 5.732/2023, de autoria da Sra.Rosangela Moro, que dispõe sobre medidas para incentivar profissionais de saúde a participarem de



ações de educação continuada e reciclagem com ênfase em doenças raras na atenção primária à saúde.

24. PL nº 6.110/2023, de autoria da Sra.Rosangela Moro e outros, que dispõe sobre o prazo para realização de diagnóstico e tratamento do paciente com doença rara.

25. PL nº 1.203/2024, de autoria do Sr.André Ferreira, que dispõe sobre a realização de exames laboratoriais e de imagem para diagnóstico e acompanhamento de pessoas com doenças raras de causa genética gratuitamente via Sistema Único de Saúde (SUS).

26. PL nº 1.208/2024, de autoria da Sra.Maria Arraes, que cria o Banco de Dados Nacional de Doenças Raras.

27. PL nº 2.922/2024, de autoria da Sra.Missionária Michele Collins, que dispõe sobre a implantação do Serviço de Referência de Doenças Raras.

28. PL nº 756/2024, de autoria da Sra.Nely Aquino, que altera a Lei nº 13.693, de 10 de julho de 2018, para especificar ações de conscientização sobre doenças raras.

29. PL nº 757/2024, de autoria da Sra.Nely Aquino, que dispõe sobre a assistência psicossocial a pessoas com doenças raras e seus cuidadores

30. PL nº 758/2024, de autoria da Sra.Nely Aquino, que altera a Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, para aumentar o financiamento de pesquisas e para a produção de medicamentos para doenças raras.

Trata-se de proposição sujeita à apreciação conclusiva pelas comissões; despachada à Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência (CPD); à Comissão de Saúde (CSAUDE); à Comissão de Finanças e Tributação (CFT), para análise do mérito e da adequação financeira e orçamentária; e à Comissão de Constituição e Justiça e de Cidadania (CCJC), para análise dos aspectos constitucionais, legais, jurídicos, regimentais e de técnica legislativa.

Tramita em regime de **prioridade** (art. 151, II, do RICD).

Findo o prazo regimental, não foram apresentadas emendas.

É o relatório.



II - VOTO DO RELATOR

Cabe a esta Comissão manifestar-se sobre o mérito da proposição em relação aos direitos da pessoa com deficiência, nos termos do inciso XXIII, do artigo 32 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados.

Atualmente, o cuidado das doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde segue a Portaria nº 199, de 2014, que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, representando um marco nesse tema; porém, ainda é insuficiente para contemplar todas as necessidades das pessoas com doenças raras.

O Projeto de Lei nº 4.691, de 2019, prevê tornar obrigatória a notificação de doenças raras. Assemelham-se a esta o Projeto de Lei nº 705, de 2019, e o Projeto de Lei nº 1.035, de 2021, que instituem cadastros de pessoas com doenças raras, que nada mais são do que registros onde são armazenados os dados pessoais oriundos de notificações e outras fontes de informações. Faltam dados epidemiológicos fidedignos sobre doenças raras e ultrarraras dificultando o correto planejamento de políticas públicas específicas.

Cabe, contudo, ressaltar que a notificação de malformações congênitas está incluída na Declaração de Nascido Vivo (DNV) desde 2000, e a triagem neonatal (inclusive da rede privada) desde 2001.

Desta forma, a fim de conferir maior unidade ao sistema, no substitutivo que propusemos ao final deste voto, acrescentamos às propostas desses projetos de lei essas informações, que já são obrigatórias há mais de 20 anos e, portanto, não constituem nenhum ônus adicional.

O Projeto de Lei nº 5.374, de 2020; o Projeto de Lei nº 992, de 2022; o Projeto de Lei nº 1.502, de 2023; o Projeto de Lei nº 2.684, de 2023; o Projeto de Lei nº 5.508, de 2023; Projeto de Lei nº 2922, de 2024; o Projeto de Lei nº 6.110, de 2023; o Projeto de Lei nº 757, de 2024, e o Projeto de Lei nº 1.203, de 2024, estabelecem normas para a reorganização do SUS e para a



assistência às doenças raras. Entendemos que tais propostas são bastante pertinentes, considerando a especificidade das doenças raras em relação a um sistema inicialmente concebido para cuidar das doenças mais comuns, o que é logicamente contrário ao cuidado das doenças raras. Quanto ao prazo para início do tratamento, entendemos que 60 dias é um prazo bastante razoável, tendo em vista que muitas vezes o tratamento pode demandar a realização de cirurgias de alta complexidade ou a compra de medicamentos não padronizados; ressaltando-se a possibilidade de esse prazo ser mais curto se houver justificativa médica devidamente registrada no prontuário do paciente.

O Projeto de Lei nº 4.345, de 2016, propõe a criação de centros para tratamento de doenças raras em todos os estados. Embora seja uma medida necessária, é preciso notar que em diversos estados no Brasil não há um único médico com especialização em genética para que se possa cogitar a criação de tais centros, razão pela qual não se pode impor esta obrigação ao poder público. Assim, consideramos mais viável garantir a referência dos casos de doenças raras para os locais onde haja médicos especialistas, mediante coordenação dos gestores estaduais (no caso de atendimentos dentro do estado) ou federais (no caso de referência para outro estado) do SUS.

O Projeto de Lei nº 4.818, de 2016, o Projeto de Lei nº 5.017, de 2016, e o Projeto de Lei nº 5.998, de 2016, tratam da utilização de fármacos, substâncias químicas, produtos biológicos e correlatos ainda em fase experimental e/ou não registrados, por pacientes com doenças graves ou raras no âmbito do SUS. Entendemos que há contribuições importantes nessas proposições, mas que necessitam de algumas adaptações em razão da publicação superveniente da Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022. Cabe ainda observar que muitos medicamentos em fase de pesquisa são ainda moléculas em desenvolvimento e sequer encontram-se disponíveis no mercado para prescrição.

O Projeto de Lei nº 656, de 2021, dispõe sobre os tratamentos de doenças raras no âmbito dos planos de saúde. Entendemos ser o mesmo caso do SUS, ressalvadas a segmentação do plano contratado – ou seja, se houver cobertura para internação o tratamento para doença rara deve ser garantido, mesmo que não haja protocolo clínico ou diretriz terapêutica, ou que



o uso seja considerado *off label* – o que já teria sido contemplado na Lei nº 14.307, de 3 de março de 2022.

Cabe aqui ressaltar que a pesquisa clínica envolvendo seres humanos é rigidamente controlada de modo a proteger a dignidade do ser humano, sendo inafastável a responsabilidade do pesquisador.

O PL nº 3.543, de 2019, o PL nº 5.732, de 2023 e o PL nº 1.208/2024 propõem ações de educação continuada e treinamento em doenças raras na política de recursos humanos da área da saúde. Entendemos que isso vai aprimorar a capacidade dos profissionais das portas de entrada de diagnosticar precocemente essas doenças e oferecer o tratamento correto ao paciente.

O PL nº 756, de 2024, dispõe sobre ações de conscientização sobre doenças raras. Trata-se de uma proposta muito adequada, que ajudará na conscientização da sociedade sobre esse tema.

O PL nº 2.960, de 2023, dispõe normas gerais para o cuidado de pessoas com atrofia muscular espinhal. Tais disposições encontram-se englobadas já na lei do SUS e no substitutivo que propusemos.

Por fim, o PL nº 3.302, de 2015, o PL nº 4.812, de 2016, o PL nº 3.262, de 2020, o PL nº 3.650, de 2020, o PL nº 4.352, de 2020, o PL nº 1.907, de 2021, o PL nº 2.817, de 2021, o PL nº 3.888, de 2023, e o PL nº 758, de 2024, tratam de normas de custeio para assistência farmacêutica e pesquisa clínica.

Cabe aqui observar a publicação da Lei nº 13.930, de 2019, que alterou a Lei nº 10.332, de 2001, para já garantir que 30% dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde sejam aplicados em atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas destinadas ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas.

Feitas todas essas considerações, dentro do que cabe a esta Comissão manifestar-se nos termos regimentais, concluímos que tanto a proposição principal ora em análise quanto as apensadas são meritórias.



Em face do exposto, voto pela APROVAÇÃO do PL nº 4.691, de 2019, e de todos os projetos de lei apensados – PL nº 3.302/2015, PL nº 4.345/2016, PL nº 4.812/2016, PL nº 4.818/2016, PL nº 5.017/2016, PL nº 5.998/2016, PL nº 3.543/2019, PL nº 705/2019, PL nº 3.262/2020, PL nº 3.650/2020, PL nº 4.352/2020, PL nº 5.374/2020, PL nº 1.035/2021, PL nº 1.907/2021, PL nº 2.817/2021, PL nº 656/2021, PL nº 992/2022, PL nº 1.502/2023, PL nº 2.684/2023, PL nº 2.960/2023, PL nº 3.888/2023, PL nº 5.508/2023, PL nº 5.732/2023, PL nº 6.110/2023, PL nº 1.203/2024, PL nº 1.208/2024, PL nº 2.922/2024, PL nº 756/2024, PL nº 757/2024 e PL nº 758/2024 –, na forma do SUBSTITUTIVO anexo.

Sala da Comissão, em de de 2024.

Deputado DANIEL AGROBOM
Relator

2024-7386



COMISSÃO DE DEFESA DOS DIREITOS DAS PESSOAS COM DEFICIÊNCIA

SUBSTITUTIVO A O PROJETO DE LEI Nº 4.691, DE 2019

Apensados: PL nº 3.302/2015, PL nº 4.345/2016, PL nº 4.812/2016, PL nº 4.818/2016, PL nº 5.017/2016, PL nº 5.998/2016, PL nº 3.543/2019, PL nº 705/2019, PL nº 3.262/2020, PL nº 3.650/2020, PL nº 4.352/2020, PL nº 5.374/2020, PL nº 1.035/2021, PL nº 1.907/2021, PL nº 2.817/2021, PL nº 656/2021, PL nº 992/2022, PL nº 1.502/2023, PL nº 2.684/2023, PL nº 2.960/2023, PL nº 3.888/2023, PL nº 5.508/2023, PL nº 5.732/2023, PL nº 6.110/2023, PL nº 1.203/2024, PL nº 1.208/2024, PL nº 2.922/2024, PL nº 756/2024, PL nº 757/2024 e PL nº 758/2024

Altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para dispor sobre a atenção às doenças raras e dá outras providências.

O Congresso Nacional decreta:

Art. 1º Esta lei altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, que “Dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências”; a Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, que “Institui mecanismo de financiamento para o Programa de Ciência e Tecnologia para o Agronegócio, para o Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, para o Programa Biotecnologia e Recursos Genéticos – Genoma, para o Programa de Ciência e Tecnologia para o Setor Aeronáutico e para o Programa de Inovação para Competitividade, e dá outras providências”; a Lei nº 6.259, de 30 de outubro de 1975, que “Dispõe sobre a organização das ações de Vigilância Epidemiológica, sobre o Programa Nacional de Imunizações, estabelece normas relativas à notificação compulsória de doenças, e dá outras providências”; e a Lei nº 13.693, de 10 de julho de 2018, que “Institui o Dia Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras e a Semana Nacional da Informação, Capacitação e Pesquisa sobre Doenças Raras”, para dispor sobre a atenção às doenças raras.



Art. 2º A Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, passa a vigorar com as seguintes alterações:

“Art. 7º

VII- utilização da equidade e da epidemiologia para o estabelecimento de prioridades, a alocação de recursos e a orientação programática

.....
XVI- organização de ações e serviços públicos de saúde dirigidos à promoção, proteção e recuperação da saúde mental, individuais e coletivas, para pessoas com doenças raras e seus cuidadores (NR)”

“Art. 16

III-

e) de assistência às doenças raras.

.....
XXI- formular, financiar, avaliar, e participar da execução de ações e serviços públicos de saúde para assistência às pessoas com doenças raras. (NR)”

“Art. 17

IV-

f) de assistência às doenças raras.

..... (NR)”

“Art. 18

IV-

g) de assistência às doenças raras.

..... (NR)”

“Art. 19-P



.....
IV- no caso de doenças raras, com base nas recomendações das associações médicas de especialistas na doença ou agravamento à saúde para o qual o medicamento foi prescrito, independente da relação de medicamentos do ente federado; desde que não seja considerada experimental pelo Conselho Federal de Medicina. (NR)”

“Art. 19-Q.

.....
§ 4º Na avaliação para incorporação de medicamentos destinados ao tratamento de doenças raras, será dispensada a avaliação custo-efetividade, quando não houver outro medicamento para comparação passível de ser utilizada na mesma situação.” (NR)

“Art. 19-T

.....
Parágrafo único.

.....
III- medicamentos e produtos para doenças raras, desde que:

a) seu uso não tenha sido objeto de processo de avaliação de tecnologias em saúde pelo gestor do Sistema Único de Saúde que realiza a dispensação, pagamento, ressarcimento ou reembolso do produto ou serviço;

b) sejam demonstradas evidências científicas de eficácia, acurácia, efetividade e segurança;

c) haja recomendação das associações médicas de especialistas na doença ou agravamento à saúde para o qual o medicamento ou produto tenha sido indicado;

IV- medicamento, produto e procedimento clínico ou cirúrgico experimental, utilizada no âmbito de projetos de pesquisa de interesse do SUS, desde que em conformidade com protocolo de pesquisa aprovado pelas comissões de ética em pesquisa com seres humanos competentes e autorizado pelo gestor do SUS. (NR)”

“CAPÍTULO IX

DO SUBSISTEMA DE ATENÇÃO ÀS DOENÇAS RARAS



Art. 19-V O Subsistema de Atenção às Doenças Raras é formado pelo conjunto articulado de políticas públicas, ações de saúde e pontos de atenção nas redes de assistência à saúde, dirigidas ainda que não exclusivamente ao cuidado das pessoas com doenças raras.

Parágrafo único. Considera-se “doença rara” aquelas cuja prevalência no Brasil seja de até 65 casos em cada 100.000 habitantes.

Art. 19-W A direção nacional do Sistema Único da Saúde, no âmbito do Subsistema de Atenção às Doenças Raras, é responsável por:

- I- realização e coordenar a rede de nacional de serviços de referência em doenças raras, no Sistema Único de Saúde;
- II- implementar e coordenar a rede de laboratórios para a realização de exames de triagem neonatal, exames genéticos e de alta complexidade para doenças raras;
- III- organizar a referência e contrarreferência dos casos que não tenham sido objeto de pactuação entre os gestores do Sistema Único de Saúde.

§ 1º Caberá à União, com recursos próprios, financiar todas as ações, incluindo a assistência farmacêutica, integral e de acesso universal, dentro do Subsistema de Atenção às Doenças Raras.

§ 2º A aquisição de medicamentos e de outros produtos de interesse a saúde necessários ao cuidado de pessoas com doenças raras será realizada conforme protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas, sob responsabilidade da direção nacional do Sistema Único da Saúde.

§ 3º As direções estaduais, distrital e municipais do Sistema Único da Saúde poderão elaborar e utilizar protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas próprios, sendo responsável pelos custos daquilo que divergir do estabelecido pela direção nacional do Sistema Único da Saúde.

§ 4º É vedado a realização de pesquisa clínica bem como a prescrição ou realização de procedimento experimental em doenças raras em desacordo com a legislação que rege a prática de pesquisas em seres humanos, incluindo a prévia aprovação do protocolo de pesquisa pelos comitês de ética em pesquisa competentes e a assinatura de termo de consentimento livre e esclarecido.”

Art. 19-X O paciente com doença rara tem direito de se



submeter ao primeiro tratamento no Sistema Único de Saúde, 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, 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. 27

V- ações de educação continuada para os profissionais de saúde para o reconhecimento dos sinais e sintomas de doenças raras, suas linhas de cuidado, protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas; além da disponibilização de material de referência para consulta e ferramentas de apoio diagnóstico.

§ 1º

§ 2º Os profissionais de saúde que atuam em unidades de saúde da atenção básica, unidades de pronto atendimento e nas portas de entrada hospitalares de urgência e emergência, deverão receber treinamento anual para identificação e conduta de casos suspeitos de doenças raras, conforme protocolos de atenção e encaminhamento, elaborados pelos respectivos gestores de Sistema Único de Saúde, em cada esfera de governo. (NR)”

Art. 3º Art. 10. O art. 7º da Lei nº 6.259, de 30 de outubro de 1975, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 7º



.....
III- de doenças raras, nos termos do regulamento, incluindo:

a) malformações e outras anomalias congênitas, por meio da Declaração de Nascido Vivo;

b) dos exames de triagem neonatal, tanto realizados por estabelecimentos públicos quanto privados de saúde, os resultados positivos e duvidosos ou a notificação negativa da ocorrência de doenças constantes do Programa Nacional de Triagem Neonatal;

c) casos de doenças raras diagnosticados em qualquer nível de atenção à saúde

.....
§ 2º O gestor federal do Sistema Único de saúde, anualmente, consolidará as notificações de doenças raras registrados nos seus respectivos sistemas de informação, para fins de obtenção de instrumentos de planejamento e avaliação das ações e serviços de saúde. (NR)”

Art. 4º O art. 2º da Lei nº 10.332, de 19 de dezembro de 2001, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 2º

.....
§ 3º No mínimo 30% (trinta por cento) dos recursos do Programa de Fomento à Pesquisa em Saúde, previsto no inciso II do art. 1º desta Lei, serão aplicados em atividades voltadas para a realização de pesquisas clínicas e o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas destinados ao tratamento de doenças raras ou negligenciadas, assim definidas em regulamento.

§ 4º No mínimo 30% (trinta por cento) dos recursos do Programa de Biotecnologia e Recursos Genéticos - Genoma, previsto no inciso III do art. 1º desta Lei, serão aplicados em atividades voltadas para o desenvolvimento tecnológico de medicamentos, imunobiológicos, produtos para a saúde e outras modalidades terapêuticas destinados ao tratamento de doenças raras de causa genética, assim definidas em regulamento.

§ 5º No mínimo 30% (trinta por cento) dos recursos do Programa de Inovação para Competitividade, previsto no inciso V do art. 1º desta Lei, serão aplicados no desenvolvimento do Complexo Econômico-Industrial da



Saúde para o desenvolvimento e produção de terapias avançadas para o Sistema Único de Saúde. (NR)”

Art. 5º O art. 1º da Lei nº 13.693, de 10 de julho de 2018, passa a vigorar com a seguinte redação:

“Art. 1º

§ 1º O poder público disponibilizará material informativo, em linguagem acessível aos diversos públicos, sobre doenças raras, incluindo:

I- informações sobre as principais doenças raras no Brasil;

II- sinais de alerta que podem indicar a necessidade de avaliação médica;

III- a importância do diagnóstico precoce e dos testes de triagem neonatal;

IV- os direitos e garantias das pessoas com doenças raras.

§ 2º Os profissionais de saúde da atenção primária deverão realizar atividades de conscientização sobre doenças raras em escolas e na comunidade. (NR)”

Art. 6º Esta Lei entra em vigor na data de sua publicação, produzindo efeitos financeiros no exercício financeiro subsequente.

Sala da Comissão, em de de 2024.

Deputado DANIEL AGROBOM

Relator

2024-7386

