



REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº /2024

Requer que sejam prestadas, pela **Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima**, informações acerca da publicação da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Niemann Pick tipo C.

Senhor Presidente,

Requeiro a Vossa Excelência, nos termos do art. 50, §2º da Constituição Federal, e dos arts. 115 e 116 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, que sejam prestadas, pela **Exma. Sra. Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima**, informações acerca da publicação da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Niemann Pick tipo C.

Para tanto, apresentamos, respeitosamente, as seguintes indagações e solicitações:

- 1. Quais são os tratamentos disponíveis no Sistema Único de Saúde para a Niemann Pick tipo C?**
- 2. Há algum medicamento já incorporado e incluso no PCDT de Niemann Pick tipo C?**
- 3. Há algum medicamento que está sendo avaliado para a incorporação no tratamento da Niemann Pick tipo C?**
- 4. Já tramitou ou está tramitando no Ministério algum pedido de incorporação do medicamento Miglustat (Zavesca) para o tratamento da doença Niemann Pick Tipo C? Se já tramitou,**

Câmara dos Deputados – Anexo IV – Gabinete: 434 – CEP: 70160-900 – Brasília (DF)

Telefones: (61) 3215-5434 – dep.rosangelamoro@camara.leg.br





qual foi a decisão e o que a baseou? Se estiver tramitando, qual a previsão para sair a decisão?

- 5. Já tramitou ou está tramitando no Ministério algum outro pedido de incorporação de medicamento para o tratamento da doença Niemann Pick Tipo C? Se já tramitou, para quais medicamentos? Quais foram as decisões e o que as baseou? Se estiver tramitando, quais os medicamentos e a previsão para sair a decisão?**
- 6. Qual a previsão do Ministério para o medicamento Miglustat (Zavesca) passar a estar disponível para pessoas com Niemann Pick Tipo C?**
- 7. Quando o Ministério pretende atualizar o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Niemann Pick Tipo C?**

JUSTIFICAÇÃO

A doença rara de Niemann-Pick afeta cerca de 1 pessoa para cada 50 mil, tem origem genética e gera distúrbios metabólicos que resultam no acúmulo de gordura nas células nervosas, representada por concentração de gordura no fígado, baço, pulmão, cérebro e até medula óssea. É composta de distúrbios genéticos que afetam o metabolismo lipídico do corpo, que pode resultar em uma variedade de sintomas, a depender do tipo da doença.

A Niemann-Pick tipo C é causada por uma deficiência no transporte intracelular de colesterol, levando a sintomas como dificuldade de coordenação motora, problemas de aprendizagem, dificuldades de deglutição, icterícia, hepatomegalia e esplenomegalia. Pode ser diagnosticada em qualquer fase da vida, desde a infância até a fase





adulta, sendo também comum a apresentação de problemas neurológicos progressivos.

Embora a doença rara de Niemann-Pick apresente desafios significativos para os pacientes e suas famílias, é possível gerenciar os sintomas e melhorar a qualidade de vida obtendo um diagnóstico correto, suporte adequado e avanços na pesquisa clínica. Para isso, é necessário que haja melhorias no processo de acesso ao tratamento, garantindo que as pessoas afetadas pela Niemann-Pick e outras condições raras tenham a oportunidade de receber os cuidados médicos essenciais para a gestão eficaz de suas doenças.

Entretanto, o medicamento Miglustat (Zavesca), até então o único indicado para o tratamento da doença Niemann-Pick tipo C, por não haver outro com o mesmo princípio ativo, está disponível no Sistema Único de Saúde somente para portadores da Doença de Gaucher. Por ser um tratamento de alto custo (cerca de R\$ 158 mil ao ano), a compra individual pelos portadores da doença acaba se tornando inviável.

Considerando os pontos destacados, é imperativo que o Poder Legislativo e a sociedade civil se unam em busca de uma ação efetiva do Ministério da Saúde para garantir o tratamento de pessoas com Niemann-Pick tipo C. Os pacientes brasileiros atendidos pelo SUS estão privados do acesso ao medicamento, que poderia melhorar significativamente sua qualidade de vida.

Desta forma, requeiro a aprovação da proposta para obtenção de informações acerca da publicação da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Niemann Pick tipo C.

Termos em que peço deferimento.





PODER LEGISLATIVO
Câmara dos Deputados
Gabinete da Deputada Rosangela Moro

Sala das sessões, 26 de novembro de 2024.

Apresentação: 27/11/2024 11:09:58.933 - Mesa

RIC n.4301/2024

ROSANGELA MORO
Deputada Federal - UNIÃO/SP

Câmara dos Deputados – Anexo IV – Gabinete: 434 – CEP: 70160-900 – Brasília (DF)
Telefones: (61) 3215-5434 – dep.rosangelamoro@camara.leg.br



Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD244209891500>
Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Rosangela Moro



* C D 2 4 4 2 0 9 8 9 1 5 0 0 *