



REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO N.º , DE 2024
(Do Senhor Evair Vieira de Melo)

Requer, nos termos constitucionais e regimentais, que sejam prestadas informações pela Excelentíssima ministra da Saúde, Senhora Nísia Trindade, sobre o descumprimento de portaria e os gastos de R\$ 457 milhões pelo Governo Federal com o medicamento Zolgensma, destinado ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME), em meio a atrasos na sua disponibilização pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

Senhor **Presidente**,

Com fundamento no art. 50, § 2º, da Constituição Federal, combinado com os arts. 115 e 116 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados que, ouvida a Mesa, seja encaminhado pedido de informações à Excelentíssima ministra da Saúde, Senhora Nísia Trindade, sobre o descumprimento de portaria e os gastos de R\$ 457 milhões pelo Governo Federal com o medicamento Zolgensma, destinado ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME), em meio a atrasos na sua disponibilização pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

Com o intuito de prestar esclarecimentos a esta Honrosa Casa, solicita-se as seguintes informações:

- *Ministra, o Zolgensma foi incorporado ao SUS em dezembro de 2022, e o Ministério da Saúde tinha 180 dias para publicar o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), conforme determina a Lei 12.401/2011 e pelo Decreto*





7.646/2011. Por que, até agora, passados quase 18 meses, o protocolo ainda não foi publicado e o medicamento não está disponível para os pacientes?

- O descumprimento do prazo legal coloca em risco a vida de bebês com AME, uma condição que exige tratamento urgente. Por que o Ministério da Saúde permitiu esse atraso e quais medidas foram tomadas para reparar essa falha?
- O governo gastou R\$ 457 milhões com o Zolgensma em ações judiciais nos últimos dois anos, enquanto a terapia poderia ser disponibilizada de forma mais eficiente e acessível por meio do SUS. Por que o Ministério tem optado por arcar com custos mais altos por meio de judicialização em vez de resolver a pendência administrativa para garantir acesso universal?
- Qual é a posição do Ministério sobre a negociação com a Novartis, considerando que o preço do medicamento foi apontado como um dos principais entraves? O governo tem trabalhado ativamente para fechar o Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR), ou as famílias continuarão dependendo da via judicial?
- O Ministério afirma que o medicamento será oferecido apenas mediante ordem judicial enquanto não houver formalização do ACR. Como essa abordagem condiz com o princípio da universalidade e equidade do SUS?
- Famílias de crianças com AME tipo III continuam sem acesso a qualquer tratamento pelo SUS, enquanto as com AME tipo I dependem de processos judiciais para obter o Zolgensma. Quais ações concretas o Ministério planeja implementar para corrigir essa desigualdade?
- A Lei 14.154/2021, que prevê o teste do pezinho ampliado para detectar AME em recém-nascidos, ainda não foi





regulamentada pelo Ministério. Quando o governo federal planeja cumprir sua obrigação e implementar essa medida crucial para o diagnóstico precoce da doença?

- O Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) apresenta avanços desiguais no país, com apenas algumas regiões oferecendo diagnóstico de AME. O Ministério reconhece sua responsabilidade em garantir acesso universal ao teste ampliado? Quais ações estão em andamento para corrigir essas disparidades regionais?*
- Com base nas informações divulgadas, o orçamento destinado à compra do Zolgensma está alocado na Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e no Complexo Econômico-Industrial da Saúde. Considerando os atrasos, houve falhas na gestão desses recursos? Quem será responsabilizado por esse descaso?*
- O custo elevado do Zolgensma está sendo usado como justificativa para a demora em sua disponibilização. O Ministério tem algum plano estratégico para renegociar valores com a Novartis ou buscar alternativas viáveis, como parcerias público-privadas ou produção nacional?*

JUSTIFICATIVA

Este requerimento tenciona o pedido de informações informações à Excelentíssima ministra da Saúde, Senhora Nísia Trindade, sobre o descumprimento de portaria e os gastos de R\$ 457 milhões pelo Governo Federal com o medicamento Zolgensma, destinado ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME), em meio a atrasos na sua disponibilização pelo Sistema Único de Saúde





(SUS).

Isto porque, conforme noticiado¹, o Ministério da Saúde gastou R\$ 457 milhões com o fornecimento do Zolgensma – usado contra Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I – em 2023 e 2024. Essa terapia gênica da Novartis deveria estar disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) desde 4 de junho do ano passado, mas ainda não é ofertada aos pacientes. Uma das saídas encontradas para que não fiquem sem tratamento passa pela judicialização. Ao todo, o governo federal desembolsou R\$ 305 milhões em 2023, com 64 ações judiciais em 12 estados e no Distrito Federal. Mais R\$ 152 milhões saíram dos cofres em 2024, com 41 processos em nove estados e na capital federal – recordista em casos judicializados.

A coluna obteve os dados por meio da Lei de Acesso à Informação (LAI), cuja resposta foi recebida na última quarta-feira (27/11).

O Instituto Nacional da Atrofia Muscular Espinhal (Iname) estima que existam 1.795 pacientes com AME no Brasil. Desses, 75 têm até 2 anos de idade, faixa etária limite para o uso do medicamento, conforme aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Das oito terapias gênicas aprovadas pela Anvisa, o Zolgensma (onasemnogeno abeparvoque) representou, de longe, o maior gasto durante o governo de Luiz Inácio Lula da Silva (PT). Seu custo acumulado é 44 vezes superior ao do segundo medicamento mais oneroso: o Kymriah (tisagenlecleucel), usado no tratamento de alguns tipos de câncer hematológico, que custou R\$ 10,3 milhões ao governo em quatro processos este ano.

Na terceira posição está o Luxturna (voretigene neparvoveque), indicado para a perda de visão causada por distrofia hereditária da retina, com um gasto de R\$ 4,6 milhões em um processo de 2023. Os

¹ <https://www.metropoles.com/colunas/tacio-lorran/sus-zolgensma-governo-lula>





outros cinco medicamentos aprovados não geraram judicializações no período.

O principal entrave para a disponibilização do Zolgensma no SUS, segundo apuração da coluna, é a indefinição do preço que será assumido pelo governo. Interlocutores informaram que representantes do Ministério da Saúde e da Novartis têm reunião marcada para esta segunda-feira (2/12) com o objetivo de discutir ajustes no Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR). O último encontro entre as partes ocorreu em 22 de novembro.

“O maior desafio para as pessoas com AME hoje é a equidade no acesso aos tratamentos. Temos um medicamento que já foi incorporado, mas ainda não está disponível para as famílias: o Zolgensma. Além disso, os pacientes do tipo III continuam sem acesso a tratamento. Essas questões precisam de solução urgente, pois quem convive com uma doença degenerativa não pode esperar”, afirmou a diretora nacional do Iname, Diovana Loriato.

Atualmente, existe apenas um protocolo de intenções, assinado pelo ex-ministro da Saúde Marcelo Queiroga e pela Novartis em dezembro de 2022, pouco antes do fim do mandato. Conforme o anúncio oficial da época, as diretrizes do SUS estabelecem que o medicamento pode ser administrado em bebês com AME tipo I, com até 6 meses de idade e que não estejam em ventilação invasiva por mais de 16 horas diárias.

Na época, a justificativa para limitar a idade era a maior eficácia do tratamento nessa faixa etária. No entanto, algumas famílias têm recorrido à judicialização para obter a terapia gênica fora dos critérios estabelecidos pelo Ministério.

“Para que o medicamento seja disponibilizado à população, é necessária a atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e a formalização de um Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR), atualmente em fase de negociação. Por isso, o Ministério da





Saúde fornece o Zolgensma apenas mediante ordem judicial, com a devida instrução da Advocacia-Geral da União (AGU)”, esclareceu a pasta em nota oficial.

Outra dificuldade está no diagnóstico, que frequentemente é de difícil acesso e precisa ser realizado precocemente para garantir melhores resultados no tratamento.

“Se a criança não recebe o Zolgensma, perde toda a possibilidade de melhora clínica, porque, no caso da AME, os neurônios perdidos não são recuperados. O objetivo é evitar a perda desses neurônios. Por isso, é fundamental iniciar o tratamento o mais cedo possível”, explicou Mayana Zatz, geneticista e professora do Departamento de Genética e Biologia Evolutiva do Instituto de Biociências da Universidade de São Paulo (USP).

A Lei 14.154/2021, que institui o teste do pezinho ampliado, busca mudar esse cenário ao incluir a detecção da AME na quinta fase do exame. Contudo, essa legislação ainda não foi regulamentada. Atualmente, apenas o Distrito Federal e Minas Gerais oferecem o exame já com a capacidade de diagnosticar a AME, refletindo o avanço desigual do Programa Nacional da Triagem Neonatal (PNTN), coordenado pelo Ministério da Saúde.

Cabe à pasta a responsabilidade de adquirir o Zolgensma de forma centralizada junto à fabricante. Conforme um ofício enviado à coluna, o orçamento destinado ao cumprimento de decisões judiciais é alocado de acordo com a política ou o programa de saúde relacionado, em conjunto com a Subsecretaria de Planejamento e Orçamento (SPO). No caso do Zolgensma, o recurso está vinculado à Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e ao Complexo Econômico-Industrial da Saúde (Sectics), atualmente sob a gestão do economista Carlos Gadelha.

Associações têm se mobilizado para pressionar o governo pela liberação da terapia gênica. “Até que as famílias consigam o





medicamento por via judicial (processo que pode levar mais de 12 meses), os pacientes começam o tratamento com outra medicação disponível no SUS. O custo elevado desse tratamento alternativo poderia ser evitado caso o Zolgensma estivesse disponível de imediato como primeira opção terapêutica”, destacou um manifesto do Universo Coletivo AME, obtido pela coluna.

Reconhecido como um dos medicamentos mais caros do mundo, o Zolgensma foi incorporado ao SUS em dezembro de 2022, após aprovação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec). A partir dessa data, o Ministério da Saúde tinha 180 dias para publicar o Protocolo de Tratamento e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) – documento que orienta o manejo clínico do paciente – e disponibilizar a terapia gênica.

Contudo, o prazo estipulado pela Lei 12.401/2011 e pelo Decreto 7.646/2011 não foi cumprido. Até esta segunda-feira (2/12), a disponibilização do Zolgensma na rede pública já acumulava um atraso de quase 1 ano e 6 meses. Inicialmente, o parecer da Conitec foi desfavorável à incorporação do medicamento. No entanto, após consulta pública e a apresentação de uma proposta de Acordo de Compartilhamento de Risco (ACR) pela Novartis, a decisão foi revertida.

O ACR foi determinante para a mudança de rumo. Conforme anunciado, o acordo estabelece que o pagamento pelo medicamento será dividido em cinco parcelas anuais de 20% cada, condicionadas à evolução clínica do paciente. Além disso, 3% do valor total devem ser destinados ao Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN), segundo a Novartis. Nesse modelo, a União fica isenta de arcar com os custos em casos de piora ou morte do paciente. Entretanto, os termos do acordo ainda estão em negociação.

“A Novartis é contrária à judicialização como política de acesso a medicamentos, pois isso compromete a sustentabilidade do sistema e não garante amplo acesso aos pacientes. Por esse motivo, a empresa





trabalha em colaboração estreita com os atores do sistema de saúde para desenvolver modelos customizados e sustentáveis de acesso. Todos os centros habilitados para o tratamento com o Zolgensma já possuem acordos comerciais estabelecidos e estão aptos a negociar casos individualmente, se necessário”, informou a empresa em nota.

Os requisitos de cobertura pelo SUS também se aplicam aos planos de saúde. O Zolgensma foi incluído no rol da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) em fevereiro de 2023. Desde então, os planos de saúde são obrigados a custear o tratamento, o que gerou debates no setor.

O prazo para as operadoras de planos de saúde é mais curto do que o da rede pública. Conforme a Lei 14.307/2022, os planos têm até 60 dias para incluir em sua cobertura qualquer tratamento aprovado pela Conitec e incorporado ao SUS.

A AME é uma doença genética rara, degenerativa, progressiva e hereditária que afeta as células nervosas da medula espinhal e do cérebro. Sua causa está associada a uma mutação no gene SMN1, responsável pela produção da proteína SMN – cuja deficiência provoca a degeneração e a morte dos neurônios motores, responsáveis por controlar os movimentos musculares do corpo.

A doença é classificada em três tipos principais:

- Tipo I: A forma mais grave, que afeta bebês.
- Tipo II: Manifesta-se em crianças com até 10 anos de idade.
- Tipo III: Surge na adolescência ou na vida adulta.

De acordo com estimativas, a AME afeta aproximadamente 1 em cada 10 mil pessoas. Além do Zolgensma, o Ministério da Saúde já incorporou outros tratamentos para a AME, como o nusinersena e o risdiplam.

Destarte, apresentamos este requerimento com a finalidade de desanuviar as dúvidas sobre o descumprimento de portaria e os





CÂMARA DOS DEPUTADOS

gastos de R\$ 457 milhões pelo Governo Federal com o medicamento Zolgensma, destinado ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME), em meio a atrasos na sua disponibilização pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

Brasília, de de 2024.

DEPUTADO Evair Vieira de Melo

Apresentação: 02/12/2024 14:19:13.150 - MESA

RIC n.4418/2024



Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD240726713200>
Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Evair Vieira de Melo

