



**PROJETO DE LEI N. \_\_\_\_\_, DE 2024**  
(Da Deputada Rosana Valle)

Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, e aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

O **CONGRESSO NACIONAL** decreta:

**CAPÍTULO I**  
**DAS DISPOSIÇÕES GERAIS**

**Art. 1.º** Esta Lei institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS).

**Art. 2.º** A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras tem abrangência transversal às redes temáticas prioritárias do SUS, em especial à Rede de Atenção às Pessoas com Doenças Crônicas, Rede de Atenção à Pessoa com Deficiência, Rede de Urgência e Emergência, Rede de Atenção Psicossocial.

**Art. 3.º** Para efeito desta Lei, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

**CAPÍTULO II**  
**DOS OBJETIVOS**

**Art. 4.º** A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio





## **CÂMARA DOS DEPUTADOS**

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

**Art. 5.º** São objetivos específicos da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras:

**I** - garantir a universalidade, a integralidade e a equidade das ações e serviços de saúde em relação às pessoas com doenças raras, com consequente redução da morbidade e mortalidade;

**II** - estabelecer as diretrizes de cuidado às pessoas com doenças raras em todos os níveis de atenção do SUS;

**III** - proporcionar a atenção integral à saúde das pessoas com doença rara na Rede de Atenção à Saúde (RAS);

**IV** - ampliar o acesso universal e regulado das pessoas com doenças raras na RAS;

**V** - garantir às pessoas com doenças raras, em tempo oportuno, acesso aos meios diagnósticos e terapêuticos disponíveis conforme suas necessidades;

**VI** - qualificar a atenção às pessoas com doenças raras.

### **CAPÍTULO III DOS PRINCÍPIOS E DAS DIRETRIZES**

**Art. 6.º** A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras é constituída a partir dos seguintes princípios.

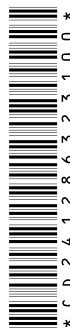
**I** - atenção humanizada e centrada nas necessidades das pessoas;

**II** - reconhecimento da doença rara e da necessidade de oferta de cuidado integral, considerando-se as diretrizes da RAS no âmbito do SUS;

**III** - promoção do respeito às diferenças e aceitação de pessoas com doenças raras, com enfrentamento de estigmas e preconceitos;

**IV** - garantia de acesso e de qualidade dos serviços, ofertando cuidado integral e atenção multiprofissional;

**V** - articulação intersetorial e garantia de ampla participação e controle social;





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**VI** - incorporação e uso de tecnologias voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral na RAS, incluindo tratamento medicamentoso e fórmulas nutricionais quando indicados no âmbito do SUS, que devem ser resultados das recomendações formuladas por órgãos governamentais a partir do processo de avaliação e aprovação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) e Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT);

**VII** - promoção da acessibilidade das pessoas com doenças raras a edificações, mobiliário, espaços e equipamentos urbanos.

**Art. 7.º** São diretrizes da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras:

**I** - educação permanente de profissionais de saúde, por meio de atividades que visem à aquisição e ao aprimoramento de conhecimentos, habilidades e atitudes para a atenção à pessoa com doença rara;

**II** - promoção de ações intersetoriais, buscando-se parcerias que propiciem o desenvolvimento das ações de promoção da saúde;

**III** - organização das ações e serviços de acordo com a RAS para o cuidado da pessoa com doença rara;

**IV** - oferta de cuidado com ações que visem à habilitação/reabilitação das pessoas com doenças raras, além de medidas assistivas para os casos que as exijam;

**V** - diversificação das estratégias de cuidado às pessoas com doenças raras;

**VI** - desenvolvimento de atividades no território que favoreçam a inclusão social com vistas à promoção de autonomia e ao exercício da cidadania.

### CAPÍTULO IV DAS RESPONSABILIDADES

**Art. 8.º** São responsabilidades comuns do Ministério da Saúde e das Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios em seu âmbito de atuação:





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**I** - garantir que todos os serviços de saúde que prestam atendimento às pessoas com doenças raras possuam infraestrutura adequada, recursos humanos capacitados e qualificados, recursos materiais, equipamentos e insumos suficientes, de maneira a garantir o cuidado necessário;

**II** - garantir o financiamento tripartite para o cuidado integral das pessoas com doenças raras, de acordo com suas responsabilidades e pactuações;

**III** - garantir a formação e a qualificação dos profissionais e dos trabalhadores de saúde de acordo com as diretrizes da Política de Educação Permanente em Saúde (PNEPS);

**IV** - definir critérios técnicos para o funcionamento dos serviços que atuam no escopo das doenças raras nos diversos níveis de atenção, bem como os mecanismos para seu monitoramento e avaliação;

**V** - garantir o compartilhamento das informações na RAS e entre as esferas de gestão;

**VI** - adotar mecanismos de monitoramento, avaliação e auditoria, com vistas à melhoria da qualidade das ações e dos serviços ofertados, considerando as especificidades dos serviços de saúde e suas responsabilidades;

**VII** - promover o intercâmbio de experiências e estimular o desenvolvimento de estudos e de pesquisas que busquem o aperfeiçoamento, a inovação de tecnologias e a disseminação de conhecimentos voltados à promoção da saúde, à prevenção, ao cuidado e à reabilitação/habilitação das pessoas com doenças raras;

**VIII** - estimular a participação popular e o controle social visando à contribuição na elaboração de estratégias e no controle da execução da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras;

**IX** - contribuir para o desenvolvimento de processos e métodos de coleta, análise e produção de informações, aperfeiçoando permanentemente a confiabilidade dos dados e a capilarização das informações, na perspectiva de usá-las para alinhar estratégias de aprimoramento da gestão, disseminação das informações e planejamento em saúde;





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**X** - monitorar e avaliar o desempenho e qualidade das ações e serviços de prevenção e de controle das doenças raras no país no âmbito do SUS, bem como auditar, quando pertinente.

**Art. 9.º** Compete ao Ministério da Saúde:

**I** - prestar apoio institucional às Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios no processo de qualificação e de consolidação da atenção ao paciente com doença rara;

**II** - analisar, consolidar e divulgar as informações providas dos sistemas de informação federais vigentes que tenham relação com doenças raras, que devem ser enviadas pelas Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios, e utilizá-las para planejamento e programação de ações e de serviços de saúde e para tomada de decisão;

**III** - definir diretrizes gerais para a organização do cuidado às doenças raras na população brasileira;

**IV** - estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras;

**V** - efetuar a homologação da habilitação dos estabelecimentos de saúde que realizam a atenção à saúde das pessoas com doenças raras, de acordo com critérios técnicos estabelecidos previamente com Estados e Municípios;

**VI** - disponibilizar sistema de informação para registro das ações prestadas no cuidado às pessoas com doenças raras em todos os serviços de saúde, seja na atenção básica ou especializada, ambulatorial ou hospitalar.

**Art. 10** Às Secretarias de Saúde dos Estados e do Distrito Federal compete:

**I** - pactuar regionalmente, por intermédio do Colegiado Intergestores Regional (CIR) e da Comissão Intergestores Bipartite (CIB) todas as ações e os serviços necessários para a atenção integral às pessoas com doenças raras;

**II** - definir estratégias de articulação com as Secretarias Municipais de Saúde com vistas à inclusão da atenção e do cuidado





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

integral às pessoas com doenças raras nos planos municipais, estadual e planejamento regional integrado;

**III** - apoiar tecnicamente os Municípios para organização e implantação do cuidado para as pessoas com doenças raras;

**IV** - realizar a regulação visando à garantia do atendimento local, regional, estadual ou nacional às pessoas com doenças raras, de acordo com as necessidades de saúde;

**V** - analisar os dados estaduais relacionados às doenças raras produzidos pelos sistemas de informação vigentes e utilizá-los de forma a aperfeiçoar o planejamento das ações e a qualificar a atenção prestada às pessoas com doenças raras;

**VI** - definir os estabelecimentos de saúde de natureza pública, sob sua gestão, que ofertam ações de promoção e prevenção e que prestam o cuidado às pessoas com doenças raras, em conformidade com a legislação vigente;

**VII** - apoiar os Municípios na educação permanente dos profissionais de saúde a fim de promover a qualificação profissional, desenvolvendo competências e habilidades relacionadas às ações de prevenção, controle e no cuidado às pessoas com doenças raras;

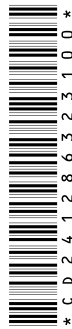
**VIII** - efetuar e manter atualizado o cadastramento dos serviços de saúde sob sua gestão no sistema de informação federal vigente para esse fim e que realizam a atenção à saúde das pessoas com doenças raras, de acordo com critérios técnicos estabelecidos em Portarias específicas do Ministério da Saúde;

**IX** - planejar e programar as ações e os serviços necessários para atender a população de acordo com a contratualização dos serviços, quando for de gestão estadual.

**Art. 11** Compete às Secretarias Municipais de Saúde:

**I** - pactuar regionalmente, por intermédio do Colegiado Intergestores Regional (CIR) e da Comissão Intergestores Bipartite (CIB) todas as ações e os serviços necessários para a atenção integral das pessoas com doenças raras;

**II** - planejar e programar as ações e os serviços de doenças raras, assim como o cuidado das pessoas com doenças raras, considerando-se sua base territorial e as necessidades de saúde locais;





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**III** - - organizar as ações e serviços de atenção para doenças raras, assim como o cuidado das pessoas com doenças raras, considerando-se os serviços disponíveis no Município;

**IV** - planejar e programar as ações e os serviços necessários para atender a população e operacionalizar a contratualização dos serviços, quando não existir capacidade própria;

**V** - planejar e programar as ações e os serviços necessários para atender a população de acordo com a contratualização dos serviços, quando de gestão municipal;

**VI** - realizar regulação visando à garantia do atendimento local, regional, estadual ou nacional às pessoas com doenças raras, de acordo com as necessidades de saúde;

**VII** - realizar a regulação entre os componentes da rede de atenção à saúde, com definição de fluxos de atendimento à saúde para fins de controle do acesso e da garantia de equidade, promovendo a otimização de recursos segundo a complexidade e a densidade tecnológica necessárias à atenção à pessoa com doenças raras, com sustentabilidade do sistema público de saúde;

**VIII** - realizar a articulação interfederativa para pactuação de ações e de serviços em âmbito regional ou inter-regional para garantia da equidade e da integralidade do cuidado;

**IX** - implantar o acolhimento e a humanização da atenção de acordo com a Política Nacional de Humanização (PNH);

**X** - analisar os dados municipais relativos às ações de prevenção e às ações de serviços prestados às pessoas com doenças raras, produzidos pelos sistemas de informação vigentes e utilizá-los de forma a aperfeiçoar o planejamento das ações locais e a qualificar a atenção das pessoas com doenças raras;

**XI** - definir os estabelecimentos de saúde de natureza pública, sob sua gestão, que ofertam ações de promoção e prevenção e que prestam o cuidado às pessoas com doenças raras, em conformidade com a legislação vigente;

**XII** - efetuar e manter atualizado os dados dos profissionais e de serviços de saúde que estão sob gestão municipal, públicos e privados, que prestam serviço ao SUS no Sistema do Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde (SCNES);

**XIII** - programar ações de qualificação para profissionais e trabalhadores de saúde para o desenvolvimento de competências e





## **CÂMARA DOS DEPUTADOS**

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

de habilidades relacionadas às ações de prevenção e de controle das doenças raras.

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024







## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

### CAPÍTULO V DA ORGANIZAÇÃO DA ATENÇÃO

**Art. 12** A organização do cuidado das pessoas com doenças raras será estruturada nos seguintes eixos:

**I** - Eixo I: composto pelas doenças raras de origem genética e organizado nos seguintes grupos:

- a) anomalias congênitas ou de manifestação tardia;
- b) deficiência intelectual;
- c) erros inatos de metabolismo;

**II** - Eixo II: composto por doenças raras de origem não genética e organizado nos seguintes grupos:

- a) infecciosas;
- b) inflamatórias;
- c) autoimunes.

### CAPÍTULO V DA ESTRUTURA DA LINHA DE CUIDADO DA ATENÇÃO ÀS PESSOAS COM DOENÇAS RARAS

**Art. 13** A linha de cuidado da atenção aos usuários com demanda para a realização das ações na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras é estruturada pela Atenção Básica e Atenção Especializada, em conformidade com a RAS e seguindo as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS.

**§ 1.º** À Atenção Básica, que é responsável pela coordenação do cuidado e por realizar a atenção contínua da população que está sob sua responsabilidade adstrita, além de ser a porta de entrada prioritária do usuário na rede, compete:

**I** - realizar ações de promoção da saúde com foco nos fatores de proteção relativos às doenças raras;

**II** - desenvolver ações voltadas aos usuários com doenças raras, na perspectiva de reduzir os danos relacionados a essas doenças no seu território;

**III** - avaliar a vulnerabilidade e a capacidade de autocuidado das pessoas com doenças raras e realizar atividades





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

educativas, conforme necessidade identificada, ampliando a autonomia dos usuários e seus familiares;

**IV** - implementar ações de diagnóstico precoce, por meio da identificação de sinais e de sintomas, e seguimento das pessoas com resultados alterados, de acordo com as diretrizes técnicas vigentes, respeitando-se o que compete a este nível de atenção;

**V** - encaminhar oportunamente a pessoa com suspeita de doença rara para confirmação diagnóstica;

**VI** - coordenar e manter o cuidado das pessoas com doenças raras, quando referenciados para outros pontos da RAS;

**VII** - registrar as informações referentes às doenças raras nos sistemas de informação vigentes, quando couber;

**VIII** - realizar o cuidado domiciliar às pessoas com doenças raras, de forma integrada com as equipes de atenção domiciliar e com os serviços de atenção especializada e serviços de referência em doenças raras locais e com demais pontos de atenção, conforme proposta definida para a região de saúde;

**IX** - implantar o acolhimento e a humanização da atenção de acordo com a PNH.

**§ 2.º** A Atenção Especializada, composta pelo conjunto de pontos de atenção com diferentes densidades tecnológicas para a realização de ações e serviços de urgência, ambulatorial especializado e hospitalar, apoiando e complementando os serviços da atenção básica de forma integral, resolutiva e em tempo oportuno, é composta, ainda, por:

**I** - Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras, a quem compete oferecer atenção diagnóstica e terapêutica específica para uma ou mais doenças raras, em caráter multidisciplinar;

**II** - Serviço de Referência em Doenças Raras, que oferece atenção diagnóstica e terapêutica específica, em caráter multidisciplinar.

**§ 3.º** Compete a Atenção Domiciliar:

**I** - realizar o cuidado às pessoas com doença rara de forma integrada com os componentes da Atenção Básica e da Atenção Especializada;

**II** - implantar o acolhimento e a humanização da atenção de acordo com a PNH;





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**III** - instrumentalizar e orientar cuidadores e familiares para o cuidado domiciliar;

**IV** - contribuir para a qualidade de vida da pessoa com doença rara no ambiente familiar;

**V** - promover ações que auxiliem a autonomia das pessoas com doenças raras.

**§ 4.º** Os pontos de atenção à saúde garantirão tecnologias adequadas e profissionais aptos e suficientes para atender à região de saúde, considerando-se que a caracterização desses pontos de atenção deve obedecer a uma definição mínima de competências e de responsabilidades, mediante articulação dos distintos componentes da RAS.

**Art. 14** A Atenção Especializada às Pessoas com Doenças Raras será integrada por:

**I** - Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras;

**II** - Serviço de Referência em Doenças Raras.

**§ 1.º** O Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras é o serviço de saúde que possui condições técnicas, instalações físicas, equipamentos e recursos humanos adequados à prestação da atenção especializada em uma ou mais doenças raras.

**§ 2.º** O Serviço de Referência em Doenças Raras é o serviço de saúde que possui condições técnicas, instalações físicas, equipamentos e recursos humanos adequados à prestação da atenção especializada para pessoas com doenças raras pertencentes a, no mínimo, dois eixos assistenciais, de acordo com os seguintes parâmetros:

**I** - oferta atenção diagnóstica e terapêutica para no mínimo 2 (duas) doenças raras dos grupos do Eixo I de que trata o art. 12;

**II** - oferta atenção diagnóstica e terapêutica para no mínimo 2 (duas) doenças raras dos grupos do Eixo II de que trata o art. 12;

**III** - oferta atenção diagnóstica e terapêutica para no mínimo 1 (um) grupo de cada um dos Eixos de que trata o art. 12.

**§ 3.º** Os Serviços de Atenção Especializada e Serviços de Referência em Doenças Raras são responsáveis também por ações diagnósticas, terapêuticas e preventivas às pessoas com doenças raras ou sob risco de desenvolvê-las, de acordo com os dois eixos assistenciais.





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**Art. 15** Compete ao Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras e ao Serviço de Referência em Doenças Raras:

**I** - compor a RAS regional, de forma que se garantam os princípios, as diretrizes e competências descritas na Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras;

**II** - ter uma população definida como de sua responsabilidade para o cuidado, assim como ter vinculado a si os serviços para os quais é a referência para tratamento às pessoas com doenças raras, podendo ser de abrangência local, regional, estadual ou nacional;

**III** - apoiar os outros serviços de atenção à saúde no que se refere ao cuidado da pessoa com doença rara, participando sempre que necessário da educação permanente dos profissionais de saúde que atuam neste cuidado;

**IV** - utilizar os sistemas de informação vigentes para registro da atenção dispensada no cuidado às pessoas com doenças raras, conforme normas técnico-operacionais preconizadas pelo Ministério da Saúde;

**V** - garantir a integralidade do cuidado às pessoas com doenças raras;

**VI** - reavaliar periodicamente as pessoas, de acordo com cada doença rara;

**VII** - estabelecer avaliações para verificar outras pessoas em risco de doenças raras;

**VIII** - encaminhar as pessoas para a Atenção Básica para a continuidade do seguimento clínico, garantindo seu matriciamento;

**IX** - submeter-se à regulação, fiscalização, monitoramento e avaliação do Gestor Municipal, Estadual e do Distrito Federal, conforme as atribuições estabelecidas nas respectivas condições de gestão;

**X** - investigar e buscar determinar o diagnóstico definitivo e assegurar a continuidade do atendimento de acordo com as rotinas e as condutas estabelecidas, sempre com base nos PCDT estabelecidos pelo Ministério da Saúde;

**XI** - garantir, por meio dos profissionais da RAS, o acesso às diversas categorias profissionais necessárias para o cuidado e tratamento integral às pessoas com doenças raras, incluindo as diversas especialidades médicas e profissionais para atendimento





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

ambulatorial e hospitalar de acordo com as necessidades do cuidado às doenças raras;

**XII** - encaminhar as pessoas para os Centros Especializados de Reabilitação (CER) ou outros com a finalidade de reabilitação para complementaridade do cuidado, sem se eximir de continuar ofertando o cuidado integral às pessoas com doenças raras, garantidos mediante regulação;

**XIII** - realizar tratamento clínico e medicamentoso, quando houver, das pessoas com doenças raras segundo os PCDT instituídos;

**XIV** - oferecer atenção diagnóstica e terapêutica específica para uma ou mais doenças raras, em caráter multidisciplinar;

**XV** - referenciar as pessoas para os Serviços de Referência em Doenças Raras, quando se fizer necessário;

**XVI** - garantir a investigação diagnóstica e o acompanhamento das doenças para as quais estiverem habilitados;

**XVII** - acolher o encaminhamento regulado de pessoas com diagnóstico ou suspeita de doença rara, provenientes da atenção básica ou especializada, para fins de investigação e tratamento;

**XVIII** - garantir, por meio dos profissionais da RAS, o acesso regulado às diversas categorias profissionais necessárias para o cuidado e tratamento integral às pessoas com doenças raras, incluindo as diversas especialidades médicas e profissionais para atendimento ambulatorial e hospitalar de acordo com as necessidades do cuidado às pessoas com doenças raras;

**XIX** - oferecer atenção diagnóstica e terapêutica específica, em caráter multidisciplinar, de acordo com os eixos assistenciais e baseados nos PCDT instituídos.

**Art. 16** São competências específicas do Serviço de Referência em Doenças Raras:

**I** - realizar o acompanhamento clínico especializado multidisciplinar à pessoa com doença rara;

**II** - realizar o aconselhamento genético das pessoas acometidas e seus familiares, quando indicado;

**III** - apresentar estrutura adequada, realizar pesquisa e ensino organizado, com programas e protocolos estabelecidos, reconhecidos e aprovados pelo comitê de ética pertinente;

**IV** - subsidiar ações de saúde dos gestores no âmbito das doenças raras, quando necessário;





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**V** - participar como polo de desenvolvimento profissional em parceria com a gestão, tendo como base a PNEPS;

**VI** - realizar atividades de educação ao público e aos profissionais de saúde no tema doenças raras, em conjunto com os gestores do SUS, os conselhos de saúde, a comunidade científica e as associações civis relacionadas às doenças raras ou outros representantes da sociedade civil organizada, com o objetivo de promover a compreensão da diversidade humana, dos direitos dos usuários e extinção dos preconceitos, buscando sua integração à sociedade.

**Art. 17** A habilitação como Serviço de Atenção Especializada em Doenças Raras ou Serviço de Referência em Doenças Raras dos estabelecimentos de saúde devem obedecer aos requisitos estabelecidos em Portaria pelo Ministério da Saúde.

### **CAPÍTULO VII** **DA ASSISTÊNCIA TERPÊUTICA E INCORPORAÇÃO DE** **TECNOLOGIA EM SAÚDE**

**Art. 18** Será assegurada prioridade pela CONITEC na Avaliação de Tecnologias em Saúde voltadas para a promoção, prevenção e cuidado integral das Doenças Raras, incluindo tratamento medicamentoso e fórmulas nutricionais, bem como na elaboração de PCDT.

**Art. 19** As metodologias empregadas na avaliação econômica das tecnologias voltadas para promoção, prevenção e cuidado integral das Doenças Raras, inclusive em relação aos indicadores e parâmetros de custo-efetividade, serão pautadas em critérios específicos, definidos pelo Ministério da Saúde.

**Art. 20** As terapias de altíssimo custo voltadas às Doenças Raras podem ser incorporadas no SUS, após recomendação da CONITEC, mediante acordo de compartilhamento de risco, celebrado entre a indústria farmacêutica detentora da patente e o Ministério da Saúde.

### **CAPÍTULO VIII** **DA AVALIAÇÃO E DO MONITORAMENTO**





## CÂMARA DOS DEPUTADOS

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

**Art. 21** Os estabelecimentos de saúde autorizados a prestarem a atenção à saúde às pessoas com doenças raras no âmbito do SUS estarão submetidos à regulação, controle e avaliação pelos respectivos gestores públicos de saúde.

**Art. 22** O Ministério da Saúde monitorará e avaliará periodicamente o atendimento contínuo dos serviços prestados para manutenção do repasse dos recursos financeiros ao ente federativo beneficiário, de acordo com as informações no SIA/SUS e Sistema de Informação Hospitalar (SIH/SUS).

**Art. 23** O Ministério da Saúde, as Secretarias de Saúde dos Estados e dos Municípios adotarão as providências necessárias ao cumprimento das normas estabelecidas nesta Lei, podendo estabelecer normas de caráter suplementar, a fim de adequá-las às especificidades locais ou regionais.

**Art. 24** O Ministério da Saúde será responsável pelo monitoramento e a avaliação contínua dos Serviços de Atenção Especializada em Doenças Raras e dos Serviços de Referência em Doenças Raras.

### CAPÍTULO IX DAS DISPOSIÇÕES FINAIS

**Art. 25** As terapias incorporadas no SUS, mediante acordo de compartilhamento de risco de que trata o art. 20, só podem ser realizadas nos Serviços de Referência em Doenças Raras, conforme PCDT definido pelo Ministério da Saúde.

**Art. 26** Esta Lei entra em vigor na data da sua publicação.





## **JUSTIFICAÇÃO**

O presente projeto de lei busca converter em lei, com os devidos ajustes, a Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014, do Ministério da Saúde, e instituir a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras sob a forma de lei ordinária, garantindo sua manutenção e elevando a sua importância.

A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com doenças Raras é essencial para garantir o cuidado equitativo e humanizado a uma parcela significativa da população brasileira. Estima-se (Ministério da Saúde) que mais de 13 milhões de pessoas no país sejam afetadas por essa situação.

As doenças raras se apresentam como desafios complexos, sejam no diagnóstico, tratamento e manejo clínico.

Esse texto representa um avanço no cumprimento dos princípios do Sistema Único de Saúde (SUS), como a universalidade, integralidade e equidade no atendimento. Atualmente, as pessoas com doenças raras enfrentam barreiras significativas para acessar serviços especializados e tratamentos adequados.

A detecção precoce e o cuidado integral são cruciais para reduzir a morbimortalidade associada às doenças raras. A implementação de ações de prevenção, diagnóstico e reabilitação não apenas melhora os desfechos clínicos, mas também diminui o sofrimento das pessoas afetadas e de seus familiares. Além disso, a inclusão de cuidados paliativos no escopo dessa política assegura um suporte abrangente em todas as etapas da vida, garantindo dignidade e qualidade de vida para os pacientes.

O fortalecimento da Rede de Atenção à Saúde (RAS) também é um dos pilares dessa política, promovendo a articulação entre os diferentes níveis de atenção no SUS. A integração de serviços especializados e a formação de profissionais qualificados são medidas que ampliam a eficiência e a equidade no atendimento, especialmente em regiões mais vulneráveis. Dessa forma, contribui para reduzir desigualdades regionais e assegurar que todos os







## **CÂMARA DOS DEPUTADOS**

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

pacientes recebam o cuidado necessário, independentemente de sua localização.

Outro ponto de destaque é a incorporação de tecnologias e terapias inovadoras ao SUS, muitas das quais possuem alto custo e são inacessíveis para a maioria das famílias brasileiras. A priorização de tecnologias voltadas para doenças raras, incluindo tratamentos medicamentosos e fórmulas nutricionais específicas, possibilita avanços significativos no cuidado, além de impulsionar a pesquisa e a inovação no Brasil. A adoção de mecanismos como o compartilhamento de risco com a indústria farmacêutica é uma solução eficiente para viabilizar essas terapias no sistema público.

A promoção da inclusão social e o enfrentamento do estigma são aspectos fundamentais dessa política. Pessoas com doenças raras frequentemente enfrentam preconceitos e exclusão, o que reforça a importância de ações educativas e campanhas de conscientização para combater essas barreiras. A articulação entre diferentes setores e a participação ativa da sociedade civil fortalecem a construção de uma rede de apoio e integração, promovendo respeito às diferenças e valorização da diversidade.

A capacitação continuada de profissionais de saúde também é uma estratégia indispensável para a efetivação dessa política. A formação técnica e humanizada permitirá que os profissionais estejam aptos a reconhecer, diagnosticar e tratar doenças raras, além de promover o intercâmbio de conhecimento entre especialistas. Essa abordagem fortalece tanto a base assistencial quanto científica do país, gerando impactos positivos em longo prazo.





## **CÂMARA DOS DEPUTADOS**

GABINETE DA DEPUTADA FEDERAL ROSANA VALLE – PL/SP

Por esses motivos, faz-se necessária a conversão em lei da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, para que essa política seja parte integrante da legislação nacional que regula o Sistema Único de Saúde, como política permanente, não sujeita à revogação por ato infralegal, e dando a devida importância e atenção deste Congresso Nacional a esta matéria que é tão cara à nossa população.

Mediante o exposto, solicito aos nobres Pares a aprovação da presente proposta legislativa.

Sala das Sessões, em 19 de dezembro de 2024.

**Rosana Valle**  
Deputada Federal  
PL/SP

Apresentação: 19/12/2024 13:23:48,850 - MESA

PL n.4997/2024

