



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 61/2025/ASPAR/MS

Brasília, 15 de janeiro de 2025.

A Sua Excelência o Senhor

Deputado Federal Luciano Bivar

Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

Referência: Requerimento de Informação nº 4426/2024

Assunto: Informações sobre a notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I.

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício nº 460/2024, proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente ao **Requerimento de Informação nº 4426/2024**, de autoria do Deputado Federal **Gustavo Gayer - (PL/GO)**, por meio do qual são requisitadas informações sobre a notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I, sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, por meio da Nota Técnica nº 1/2025-DAF/SECTICS/MS (0045316989), Nota Técnica nº 7/2025-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0045345903) e por meio de despacho (0045494619), e os Despachos ratificados do Secretário (0045405902) e (0045516455).
2. Em complementação às informações prestadas, e em resposta à questão 11, informo abaixo:

O Ministério da Saúde trabalha continuamente na avaliação e implementação de novos medicamentos, práticas terapêuticas e tecnologias, sempre pautado nos mais rigorosos critérios da legislação vigente. Esse processo de análise, conduzido com seriedade e responsabilidade, reforça o compromisso com a confiança da população no Sistema Único de Saúde (SUS). Em nenhum momento essas atividades representam um descumprimento da lei; ao contrário, evidenciam o esforço constante para garantir a segurança, eficácia e acessibilidade dos tratamentos oferecidos.

A prioridade do Ministério da Saúde é, inegavelmente, o bem-estar do povo brasileiro, com uma atenção especial às crianças. Por meio dessas iniciativas, o Ministério reafirma seu compromisso com a promoção de uma saúde pública de qualidade, justa e eficiente para todos.
3. Desse modo, no âmbito do Ministério da Saúde, essas foram as informações exaradas pelo corpo técnico sobre o assunto.
4. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

NÍSIA TRINDADE LIMA

Ministra de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Nísia Verônica Trindade Lima, Ministra de Estado da Saúde**, em 15/01/2025, às 18:34, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0045526483** e o código CRC **D91EF9A5**.

Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos - ASPAR
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde
Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos

NOTA TÉCNICA Nº 1/2025-DAF/SECTICS/MS

1. **ASSUNTO**

1.1. Trata-se do Requerimento de Informação - RIC n. 4426/2024 (0045056397), do Gabinete do Deputado Federal Gustavo Gayer PL/GO, que solicita informações a respeito da notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I.

2. **RELATÓRIO**

2.1. Consta do RIC n. 4426/2024 (0045056397), notícia que "o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I". Isto posto, questiona-se:

- 1- Quais são as razões específicas para o descumprimento da portaria que garante o fornecimento da medicação Zolgensma no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I? Qual a falha administrativa existente ou problemas no processo de aquisição ou distribuição do medicamento?
- 2- Sabemos que a AME tipo I é uma doença progressiva e fatal, e o Zolgensma oferece uma oportunidade única de tratamento eficaz. Quais são as ações concretas do governo para garantir que as crianças diagnosticadas com essa doença recebam o tratamento dentro da janela terapêutica ideal, antes que o quadro se torne irreversível?
- 3- O governo está ciente de que o descumprimento da portaria representa uma grave violação do direito dessas crianças ao acesso à saúde?
- 4- Como o governo responde à frustração e ao sofrimento das famílias que dependem do SUS para o fornecimento dessa medicação vital?
- 5- Considerando a gravidade da situação, o governo tem alguma alternativa imediata para as famílias que não conseguem acessar o Zolgensma devido ao descumprimento da portaria? Qual o apoio emergencial para garantir que essas crianças não fiquem sem tratamento enquanto o problema é resolvido?
- 6- Quais medidas o governo está adotando para assegurar que o fornecimento de Zolgensma será regularizado de forma definitiva? Existe um plano de ação específico para evitar que esse tipo de descumprimento se repita no futuro?
- 7- Quais são os obstáculos financeiros ou burocráticos que impedem o cumprimento da portaria até o momento? O Ministério da Saúde tem recursos suficientes para garantir o fornecimento contínuo do Zolgensma para todas as crianças que atendem aos critérios estabelecidos pela portaria?
- 8- Como o governo está acompanhando o processo de fornecimento do Zolgensma no SUS? Existe algum tipo de fiscalização eficaz para garantir que os medicamentos cheguem às crianças que precisam dele, sem mais atrasos ou falhas na distribuição?

2.2. É o relatório. Passa-se à manifestação.

3. **DA DELIMITAÇÃO DE COMPETÊNCIA**

3.1. Em se tratando da assistência farmacêutica, o acesso ambulatorial aos medicamentos e insumos dá-se com base nas relações instituídas pelo gestor federal do Sistema Único de Saúde - SUS, observadas as competências dos entes, cuja responsabilidade pelo financiamento e aquisição é pactuada na Comissão Intergestores Tripartite - CIT. A CIT é constituída, no âmbito federal, paritariamente, por representantes do Ministério da Saúde - MS, do Conselho Nacional de Secretários de Saúde - Conass e do Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde - Conasems, os dois últimos, reconhecidos como entidades representativas dos entes estaduais e municipais, respectivamente, para tratar de matérias referentes à saúde^[1]. Na esfera estadual, as deliberações dão-se na Comissão Intergestores Bipartite - CIB, sendo os entes municipais representados pelos Conselhos de Secretarias Municipais de Saúde - Cosems, desde que estes sejam vinculados institucionalmente ao Conasems^[2].

3.2. No âmbito do SUS, a assistência farmacêutica está organizada em três componentes. Cada um deles possui características, forma de organização, financiamento e elenco de medicamentos diferenciados entre si, bem como critérios distintos para o acesso e disponibilização dos medicamentos e insumos.

3.3. São os componentes da assistência farmacêutica:

- a) Componente Básico da Assistência Farmacêutica - Cbaf;
- b) Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - Ceaf; e
- c) Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica - Cesaf.

3.4. Cada um dos Componentes possui características, forma de organização, financiamento e elenco de medicamentos diferenciados entre si, bem como critérios distintos para o acesso e disponibilização dos medicamentos. O elenco de medicamentos disponíveis, divididos por Componentes, pode ser consultado na Rename atualizada.

3.5. Especificamente, sobre o Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF, cabe pontuar que está regulamentado por meio do anexo XXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 02 e capítulo II da Portaria de Consolidação GM/MS nº 06, ambas de 28 de setembro de 2017, é uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do SUS, caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que fazem parte das linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos conforme características, responsabilidades e formas de organização distintas, consoante o artigo nº 49 do Anexo XXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 02/2017, *in verbis*:

Art. 49. Os medicamentos que fazem parte das linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos conforme características, responsabilidades e formas de organização distintas:

I - Grupo 1: medicamentos sob responsabilidade de financiamento pelo Ministério da Saúde, sendo dividido em:

a) Grupo 1A: medicamentos com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica; e

b) Grupo 1B: medicamentos financiados pelo Ministério da Saúde mediante transferência de recursos financeiros para aquisição pelas Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica;

II - Grupo 2: medicamentos sob responsabilidade das Secretarias de Saúde dos Estados e do Distrito Federal pelo financiamento, aquisição, programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica; e

III - Grupo 3: medicamentos sob responsabilidade das Secretarias de Saúde do Distrito Federal e dos Municípios para aquisição, programação, armazenamento, distribuição e dispensação e que está estabelecida em ato normativo específico que regulamenta o Componente Básico da Assistência Farmacêutica.

3.6. Feita essa delimitação, verifica-se que somente os itens 1 e 5 possuem relação com as competências do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos - DAF/SECTICS, cabendo a prestação das seguintes informações.

4. ITEM "1) QUAIS SÃO AS RAZÕES ESPECÍFICAS PARA O DESCUMPRIMENTO DA PORTARIA QUE GARANTE O FORNECIMENTO DA MEDICAÇÃO ZOLGENSMA NO TRATAMENTO DA ATROFIA MUSCULAR ESPINHAL (AME) TIPO I? QUAL A FALHA ADMINISTRATIVA EXISTENTE OU PROBLEMAS NO PROCESSO DE AQUISIÇÃO OU DISTRIBUIÇÃO DO MEDICAMENTO?

4.1. A Portaria SCTIE/MS nº 172, de 06 de dezembro de 2022, tornou pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o onasemnogeno abeparvoveque para o tratamento de pacientes pediátricos até 6 meses de idade com Atrofia Muscular Espinhal (AME) do tipo I que estejam fora de ventilação invasiva acima de 16 horas por dia, **conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Acordo de Compartilhamento de Risco.**

4.2. Posteriormente, o medicamento onasemnogene abeparvoveque foi pactuado na 12ª Reunião Ordinária da Comissão Intergestores Tripartite (CIT), ocorrida em 15/12/2022, para compor o Grupo 1A de financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), cuja aquisição é centralizada pelo Ministério da Saúde com fornecimento às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação.

4.3. Destaca-se que, o CEAF é uma estratégia de acesso a medicamentos no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde.

4.4. De acordo com a Portaria de Consolidação GM/MS nº 02, de 28 de maio de 2017, que consolida as normas sobre as políticas nacionais de saúde do SUS, os seguintes pressupostos devem ser atendidos para efetivar a disponibilização de medicamentos no âmbito do CEAF:

1. Decisão de incorporação

"Art. 61. A incorporação, exclusão, ampliação ou redução de cobertura de medicamentos no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica ocorrerá mediante decisão do Ministério da Saúde, assessorado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)";

2. Pactuação de financiamento no âmbito da CIT

"Art 61 (...)

§ 2º A responsabilidade pelo financiamento das incorporações de medicamentos, de ampliação de cobertura para medicamentos já incorporados e incorporações de novas concentrações e/ou apresentações farmacêuticas será pactuada no âmbito da Comissão Intergestores Tripartite (CIT), respeitando-se a manutenção do equilíbrio financeiro entre as esferas de gestão do SUS e a garantia da linha de cuidado da doença";

3. Publicação do PCDT em sua versão final

"Art. 62. A inclusão efetiva de um medicamento nos Grupos 1, 2 e 3 deste Componente ocorrerá somente após a publicação da versão final do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas específico pelo Ministério da Saúde, observadas as pactuações no âmbito da CIT".

4.5. Dessa forma, aguarda-se a publicação da versão final da atualização PCDT de Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q Tipo 1 e 2, com a inclusão do medicamento onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma®), bem como o estabelecimento do Acordo de Compartilhamento de Risco para a efetiva disponibilização do medicamento, conforme disposto na Portaria SCTIE/MS nº 172, de 06 de dezembro de 2022.

5. ITEM "5) CONSIDERANDO A GRAVIDADE DA SITUAÇÃO, O GOVERNO TEM ALGUMA ALTERNATIVA IMEDIATA PARA AS FAMÍLIAS QUE NÃO CONSEGUEM ACESSAR O ZOLGENSMA DEVIDO AO DESCUMPRIMENTO DA PORTARIA? QUAL O APOIO EMERGENCIAL PARA GARANTIR QUE ESSAS CRIANÇAS NÃO FIQUEM SEM TRATAMENTO ENQUANTO O PROBLEMA É RESOLVIDO?

5.1. Atualmente, para o tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME) 5q Tipos I e II no SUS são disponibilizados outros dois medicamentos, por meio do CEAF, conforme PCDT vigente publicado pela Portaria Conjunta SAES/SECTICS/MS nº 06, de 15 de maio de 2023: risdiplam (pó para solução oral de 0,75 mg/mL) e nusinersena (solução injetável de 2,4 mg/mL). Ambos os medicamentos fazem parte do Grupo 1A do CEAF, cuja aquisição é centralizada pelo Ministério da Saúde com fornecimento às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação.

5.2. Para a solicitação dos referidos medicamentos é necessária a apresentação dos seguintes documentos do paciente:

I - Cópia do Cartão Nacional de Saúde (CNS);

II - Cópia de documento de identidade;

III - Laudo para Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (LME), adequadamente preenchido;

IV - Prescrição médica devidamente preenchida;

- V - Documentos exigidos nos PCDT publicados na versão final pelo Ministério da Saúde, conforme a doença e o medicamento solicitado;
VI - Cópia do comprovante de residência.

5.3. A solicitação do medicamento pode ser realizada presencialmente ou de forma eletrônica, por meio de sítio eletrônico ou endereço definido por cada Secretaria Estadual de Saúde.

5.4. Ademais, os documentos para a solicitação dos medicamentos podem ser procedentes de serviços públicos ou privados de saúde.

6. CONCLUSÃO

6.1. Ante o exposto, entende-se como prestadas as informações, no que é afeto às competências do DAF/SECTICS, sobre notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I, solicitadas por meio do RIC n. 4426/2024 (0045056397), do Gabinete do Deputado Federal Gustavo Gayer PL/GO. Demais informações devem ser prestadas pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde - DGITS/SECTICS/MS.

Sem mais, colocamo-nos à disposição para os esclarecimentos que se fizerem necessários.

MARCO AURÉLIO PEREIRA
Diretor

- [1] Art. 14-B da Lei n. 8.080/1990.
[2] Art. 14-B, § 2º, da Lei n. 8.080/1990.



Documento assinado eletronicamente por **Marco Aurelio Pereira, Diretor(a) do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos**, em 03/01/2025, às 10:44, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0045316989** e o código CRC **59E792F5**.



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde
Coordenação de Incorporação de Tecnologias

NOTA TÉCNICA Nº 7/2025-CITEC/DGITS/SECTICS/MS

ASSUNTO: Requerimento de Informação nº 4426/2024. Solicita informações sobre a disponibilização do onasemnogeno abeparvoveque.

INTERESSADO: Câmara dos Deputados – Gabinete do Deputado Federal Gustavo Gayer.

NUP: 25000.190345/2024-52.

I. OBJETIVO

Esta Nota Técnica tem por objetivo apresentar informações sobre a incorporação do onasemnogeno abeparvoveque no Sistema Único de Saúde.

II. DOS FATOS

Trata-se do Requerimento de Informação nº 4426/2024 (0045056397), de 03/12/2024, que solicitou informações:

- “1- Quais são as razões específicas para o descumprimento da portaria que garante o fornecimento da medicação Zolgensma no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I? Qual a falha administrativa existente ou problemas no processo de aquisição ou distribuição do medicamento?*
- 2- Sabemos que a AME tipo I é uma doença progressiva e fatal, e o Zolgensma oferece uma oportunidade única de tratamento eficaz. Quais são as ações concretas do governo para garantir que as crianças diagnosticadas com essa doença recebam o tratamento dentro da janela terapêutica ideal, antes que o quadro se torne irreversível?*
- 3- O governo está ciente de que o descumprimento da portaria representa uma grave violação do direito dessas crianças ao acesso à saúde?*
- 4- Como o governo responde à frustração e ao sofrimento das famílias que dependem do SUS para o fornecimento dessa medicação vital?*
- 5- Considerando a gravidade da situação, o governo tem alguma alternativa imediata para as famílias que não conseguem acessar o Zolgensma devido ao descumprimento da portaria? Qual o apoio emergencial para garantir que essas crianças não fiquem sem tratamento enquanto o problema é resolvido?*
- 6- Quais medidas o governo está adotando para assegurar que o fornecimento de Zolgensma será regularizado de forma definitiva? Existe um plano de ação específico para evitar que esse tipo de descumprimento se repita no futuro?*
- 7- Quais são os obstáculos financeiros ou burocráticos que impedem o cumprimento da portaria até o momento? O Ministério da Saúde tem recursos suficientes para garantir o fornecimento contínuo do Zolgensma para todas as crianças que atendem aos critérios estabelecidos pela portaria?*
- 8- Como o governo está acompanhando o processo de fornecimento do Zolgensma no SUS? Existe algum tipo de fiscalização eficaz para garantir que os medicamentos cheguem às crianças que precisam dele, sem mais atrasos ou falhas na distribuição?*
- 9- O governo está em contato com as famílias afetadas, informando-as sobre o status do fornecimento do Zolgensma? Qual é a estratégia do governo para garantir que os pais e responsáveis por crianças com AME tipo I tenham informações claras e acessíveis sobre o andamento do processo?*
- 10- O governo está comprometido com a implementação de tratamentos inovadores, como o Zolgensma, para doenças raras e graves, garantindo que esses tratamentos cheguem a quem mais precisa, independentemente de sua condição socioeconômica? Como o governo pretende garantir que outros tratamentos inovadores não enfrentem os mesmos obstáculos que o Zolgensma?*
- 11- Qual é o impacto desse descumprimento da portaria sobre a confiança da população no SUS? O que está sendo feito para evitar que esse episódio prejudique ainda mais a credibilidade do sistema de saúde pública brasileiro, especialmente em um contexto onde a saúde das crianças é uma prioridade?”.*

Os autos foram encaminhados ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde - DGITS/SECTICS/MS por atuar, nos termos do art. 13 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1, de 28 de setembro de 2017, como a Secretaria-Executiva da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - Conitec.

III. DA ANÁLISE

Para melhor compreensão, os questionamentos serão divididos e respondidos individualmente.

“1- Quais são as razões específicas para o descumprimento da portaria que garante o fornecimento da medicação Zolgensma no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I? Qual a falha administrativa existente ou problemas no processo de aquisição ou distribuição do medicamento?”

A disponibilização da terapia gênica onasemnogeno abeparvoveque depende do estabelecimento de Acordo de Compartilhamento de Risco - ACR entre o Ministério da Saúde e a empresa fabricante (Novartis). O ACR, em negociação, é a primeira iniciativa de acesso gerenciado envolvendo monitoramento dos pacientes com pagamento atrelado à performance da tecnologia. Tal inovação impõe a criação de soluções adequadas à sua implementação pela gestão, um processo complexo e que gera importantes custos administrativos. O acordo tem sido tratado como prioridade pela Pasta. O tema foi analisado pela Subcomissão Técnica de Acesso Gerenciado e tem sido discutido em profundidade pelas áreas técnicas para ter sua implementação viabilizada.

Quanto à atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas - PCDT da Atrofia Muscular Espinhal - AME 5q Tipos 1 e 2, dentro do que cabe ao DGITS/SECTICS, informa-se que o documento que preconiza o uso da terapia foi aprovado pela Conitec em dezembro de 2023 e encaminhado para decisão do Secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde - SECTICS/MS. Conforme rito legal especificado no art. 22 do Decreto nº 7.646/2011, o Secretário da SECTICS/MS remeteu o documento ao titular da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde - SAES/MS para manifestação e publicação de portaria decisória no Diário Oficial da União – DOU. Assim, sugere-se verificar a manifestação da área.

“2- Sabemos que a AME tipo I é uma doença progressiva e fatal, e o Zolgensma oferece uma oportunidade única de tratamento eficaz. Quais são as ações concretas do governo para garantir que as crianças diagnosticadas com essa doença recebam o tratamento dentro da janela terapêutica ideal, antes que o quadro se torne irreversível?”

Como informando anteriormente, o ACR tem sido tratado como prioridade no Ministério da Saúde para viabilizar a implementação da terapia gênica onasemnogeno abeparvoveque.

Destaca-se que, de acordo com o PCDT da AME 5q Tipos 1 e 2^[1] (0045346372), publicado por meio da Portaria Conjunta SAES/SECTICS/MS nº 6^[2], de 15 de maio de 2023, os bebês com o subtipo 1 da condição dispõem dos medicamentos nusinersena e risdiplam no âmbito do SUS. Os critérios de elegibilidade para efetiva dispensação estão definidos no documento. Estão preconizados e são disponibilizados, também, suporte nutricional e cuidados respiratórios, ortopédicos, fisioterápicos, fonoaudiológicos e de terapia ocupacional.

“3- O governo está ciente de que o descumprimento da portaria representa uma grave violação do direito dessas crianças ao acesso à saúde?”

As crianças diagnosticadas com AME tipos 1 e 2 dispõem de tratamento medicamentoso específico para a condição com os medicamentos nusinersena e risdiplam.

“4- Como o governo responde à frustração e ao sofrimento das famílias que dependem do SUS para o fornecimento dessa medicação vital?”

O ACR tem sido tratado como prioridade no Ministério da Saúde para viabilizar a implementação da terapia gênica onasemnogeno abeparvoveque.

“5- Considerando a gravidade da situação, o governo tem alguma alternativa imediata para as famílias que não conseguem acessar o Zolgensma devido ao descumprimento da portaria? Qual o apoio emergencial para garantir que essas crianças não fiquem sem tratamento enquanto o problema é resolvido?”

De acordo com o PCDT da AME 5q Tipos 1 e 2^[1] (0045346372), publicado por meio da Portaria Conjunta SAES/SECTICS/MS nº 6^[2], de 15 de maio de 2023, os bebês com os subtipos da condição dispõem dos medicamentos nusinersena e risdiplam no âmbito do SUS. Os critérios de elegibilidade para efetiva dispensação estão definidos no documento.

Estão preconizados e são disponibilizados, também, suporte nutricional e cuidados respiratórios, ortopédicos, fisioterápicos, fonoaudiológicos e de terapia ocupacional.

“6- Quais medidas o governo está adotando para assegurar que o fornecimento de Zolgensma será regularizado de forma definitiva? Existe um plano de ação específico para evitar que esse tipo de descumprimento se repita no futuro?”

O Ministério da Saúde tem conduzido intensas negociações com a fabricante, trabalhando ativamente para fechar o ACR o mais brevemente possível. Diversas reuniões foram realizadas com a empresa e está se trabalhando em uma minuta de acordo.

“7- Quais são os obstáculos financeiros ou burocráticos que impedem o cumprimento da portaria até o momento? O Ministério da Saúde tem recursos suficientes para garantir o fornecimento contínuo do Zolgensma para todas as crianças que atendem aos critérios estabelecidos pela portaria?”

A disponibilização da terapia gênica onasemnogeno abeparvoveque depende do estabelecimento de ACR entre o Ministério da Saúde e a empresa fabricante. O ACR, em negociação, é a primeira iniciativa de acesso gerenciado envolvendo monitoramento dos pacientes com pagamento atrelado à performance da tecnologia. Tal inovação impõe a criação de soluções adequadas à sua implementação pela gestão, um processo complexo e que gera importantes custos administrativos. O acordo tem sido tratado como prioridade pela Pasta. O tema foi analisado pela Subcomissão Técnica de Acesso Gerenciado e tem sido discutido em profundidade pelas áreas técnicas para ter sua implementação viabilizada.

Informações sobre a gestão de recursos extrapolam as atribuições desta área.

"8- Como o governo está acompanhando o processo de fornecimento do Zolgensma no SUS? Existe algum tipo de fiscalização eficaz para garantir que os medicamentos cheguem às crianças que precisam dele, sem mais atrasos ou falhas na distribuição?"

Como informado, o Ministério da Saúde tem conduzido intensas negociações com a fabricante, trabalhando ativamente para fechar o ACR o mais brevemente possível. Diversas reuniões foram realizadas com a empresa e está se trabalhando em uma minuta de acordo.

"9- O governo está em contato com as famílias afetadas, informando-as sobre o status do fornecimento do Zolgensma? Qual é a estratégia do governo para garantir que os pais e responsáveis por crianças com AME tipo I tenham informações claras e acessíveis sobre o andamento do processo?"

O acompanhamento do status referente à publicação da atualização do PCDT da AME 5q Tipos 1 e 2 pode ser conferido em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1> >.

Os relatórios técnicos e para a sociedade, bem como as portarias decisórias podem ser encontrados em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/recomendacoes-conitec> >.

"10-O governo está comprometido com a implementação de tratamentos inovadores, como o Zolgensma, para doenças raras e graves, garantindo que esses tratamentos cheguem a quem mais precisa, independentemente de sua condição socioeconômica? Como o governo pretende garantir que outros tratamentos inovadores não enfrentem os mesmos obstáculos que o Zolgensma?"

Os PCDT são documentos que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS.

Os critérios de elegibilidade são definidos com base nas melhores evidências científicas sobre eficácia, acurácia, efetividade e segurança da tecnologia, bem como a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas ao SUS. Dessa forma, condição socioeconômica de pacientes não é critério para disponibilização de medicamentos.

IV. CONCLUSÃO

Com base no apresentado, conclui-se que todos os questionamentos foram respondidos.

Encaminha-se, em anexo, o PCDT da AME 5q Tipos 1 e 2 vigente (0045346372).

ANDREA BRÍGIDA DE SOUZA
Coordenadora
CITEC/DGITS/SECTICS/MS

LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN
Diretora
DGITS/SECTICS/MS

[1] https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20230522_portariaconjuntano6atrofiamuscularespinhal5qtipos1e2.pdf

[2] https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2023/20230522_portaria_dou_06.pdf.pdf



Documento assinado eletronicamente por **Luciene Fontes Schluckebier Bonan, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde**, em 07/01/2025, às 19:30, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Andrea Brigida de Souza, Coordenador(a) de Incorporação de Tecnologias**, em 07/01/2025, às 23:03, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0045345903** e o código CRC **D742A936**.

Referência: Processo nº 25000.190345/2024-52SEI nº 0045345903

Coordenação de Incorporação de Tecnologias - CITEC
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde
Gabinete
Coordenação de Gestão Técnica e Administrativa

DESPACHO

SECTICS/COGAD/SECTICS/GAB/SECTICS/MS

Brasília, 08 de janeiro de 2025.

URGENTE

Referência Sei: 0045316989 e 0045345903.

Proveniência: Câmara dos Deputados. Gabinete do Deputado Gustavo Gayer.

Assunto: Requerimento de Informação nº 4426/2024, o qual requisita a Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre a notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I.

Ciente e de acordo com o teor das Notas Técnicas nº 1/2025-DAF/SECTICS/MS (0045316989) e 7/2025-CITEC/DGITS/SECTICS/MS (0045345903), elaboradas no âmbito das áreas técnicas desta Secretaria, que tratam de manifestação acerca do Requerimento de Informação nº 4426/2024, o qual requisita a Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre a notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I.

Restitua-se à Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos (ASPAR), para análise e providências pertinentes.

LEANDRO PINHEIRO SAFATLE

Secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde substituto



Documento assinado eletronicamente por **Leandro Pinheiro Safatle, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde substituto(a)**, em 10/01/2025, às 10:30, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0045405902** e o código CRC **2D35A1F8**.



REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº _____, DE 2024.
(Do Sr. Gustavo Gayer)

Solicita informações a Senhora Ministra da Saúde, a respeito da notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I.

Senhor Presidente,

Requeiro a V. Ex^a., com base no art. 50, § 2º, da Constituição Federal, e na forma dos arts. 115 e 116 do Regimento Interno que, ouvida a Mesa, sejam solicitadas a Senhora Ministra da Saúde, informações quanto a notícia que o governo está descumprindo portaria para o fornecimento da medicação Zolgensma, utilizada no tratamento da doença Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I.

Com o objetivo de instruir as informações relativas a este requerimento de informações e, também, tendo como base os informativos veiculados pela imprensa, solicito que sejam respondidos os seguintes questionamentos:

- 1- Quais são as razões específicas para o descumprimento da portaria que garante o fornecimento da medicação Zolgensma no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I? Qual a falha administrativa existente ou problemas no processo de aquisição ou distribuição do medicamento?
- 2- Sabemos que a AME tipo I é uma doença progressiva e fatal, e o Zolgensma oferece uma oportunidade única de tratamento eficaz. Quais são as ações concretas do governo para garantir que as crianças diagnosticadas com essa doença recebam o





tratamento dentro da janela terapêutica ideal, antes que o quadro se torne irreversível?

- 3- O governo está ciente de que o descumprimento da portaria representa uma grave violação do direito dessas crianças ao acesso à saúde?
- 4- Como o governo responde à frustração e ao sofrimento das famílias que dependem do SUS para o fornecimento dessa medicação vital?
- 5- Considerando a gravidade da situação, o governo tem alguma alternativa imediata para as famílias que não conseguem acessar o Zolgensma devido ao descumprimento da portaria? Qual o apoio emergencial para garantir que essas crianças não fiquem sem tratamento enquanto o problema é resolvido?
- 6- Quais medidas o governo está adotando para assegurar que o fornecimento de Zolgensma será regularizado de forma definitiva? Existe um plano de ação específico para evitar que esse tipo de descumprimento se repita no futuro?
- 7- Quais são os obstáculos financeiros ou burocráticos que impedem o cumprimento da portaria até o momento? O Ministério da Saúde tem recursos suficientes para garantir o fornecimento contínuo do Zolgensma para todas as crianças que atendem aos critérios estabelecidos pela portaria?
- 8- Como o governo está acompanhando o processo de fornecimento do Zolgensma no SUS? Existe algum tipo de fiscalização eficaz para garantir que os medicamentos cheguem às crianças que precisam dele, sem mais atrasos ou falhas na distribuição?





9- O governo está em contato com as famílias afetadas, informando-as sobre o status do fornecimento do Zolgensma? Qual é a estratégia do governo para garantir que os pais e responsáveis por crianças com AME tipo I tenham informações claras e acessíveis sobre o andamento do processo?

10-O governo está comprometido com a implementação de tratamentos inovadores, como o Zolgensma, para doenças raras e graves, garantindo que esses tratamentos cheguem a quem mais precisa, independentemente de sua condição socioeconômica? Como o governo pretende garantir que outros tratamentos inovadores não enfrentem os mesmos obstáculos que o Zolgensma?

11-Qual é o impacto desse descumprimento da portaria sobre a confiança da população no SUS? O que está sendo feito para evitar que esse episódio prejudique ainda mais a credibilidade do sistema de saúde pública brasileiro, especialmente em um contexto onde a saúde das crianças é uma prioridade?

Por fim, solicita-se o fornecimento de informações complementares que a senhora Ministra da Saúde entenda como pertinente, sobre o tema.

JUSTIFICAÇÃO

A notícia de que o governo brasileiro está descumprindo a portaria que garante o fornecimento da medicação Zolgensma, no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I, é um golpe devastador para as famílias que lutam contra essa doença rara e fatal.

O Zolgensma, que é considerado o tratamento mais eficaz para combater essa condição, representa uma última chance de vida para milhares de crianças diagnosticadas com AME tipo I, a forma mais grave da doença, que causa





paralisia progressiva e, sem tratamento, leva à morte precoce, geralmente antes dos dois anos de idade.

De acordo com informações veiculadas na mídia¹, indisponível no SUS, o Zolgensma trata a AME tipo I agindo no DNA. Ministério da Saúde atrasa o fornecimento dele há 1 ano e 6 meses. Uma das terapias gênicas mais caras do mundo, o Zolgensma (onasemnogeno abeparvoveque) trata a Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo 1. É o único tratamento do tipo que age diretamente no DNA, capaz de repará-lo e criar uma cópia funcional. Noutras palavras, injeta-se o gene no corpo por meio de uma cápsula de vírus modificada em laboratório.

Como a coluna revelou, o governo Lula já gastou R\$ 457 milhões para fornecer o Zolgensma por vias judiciais. 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. A terapia deveria estar disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) há um ano e meio, mas a atual gestão descumpe portaria publicada no fim do governo Bolsonaro e, por isso, as famílias dos pacientes precisam processar a União para garantir o Zolgensma.

A Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) deu aval ao uso da terapia gênica no Brasil em 2020. Dois anos depois, o Zolgensma passou pelo crivo da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), do Ministério da Saúde, que recomendou a inclusão dele na rede pública. A pasta acatou a orientação em dezembro de 2022. As diretrizes do SUS, de acordo com o anúncio oficial da época, definiam que bebês com AME tipo I de até 6 meses e fora da ventilação invasiva por mais de 16 horas diárias poderiam ser contemplados.

Ainda, a reportagem expõe que a partir de então, a Saúde tinha 180 dias para publicar o Protocolo de Tratamento e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) – documento que norteia o cuidado com o paciente – e disponibilizar a terapia gênica aos pacientes na rede pública. O prazo, que foi definido pela Lei 12.401/2011 e pelo decreto 7.646/2011, não se concretizou. Essa terapia gênica da Novartis deveria

¹ https://diariodoestado.com.br/zolgensma-terapia-genica-de-r-457-milhoes-para-ame-tipo-i-no-brasil-saude-publica-ainda-aguarda-disponibilidade/#google_vignette





estar disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) desde 4 de junho do ano passado, mas ainda não é ofertada aos pacientes. A espera das famílias pelo Zolgensma, portanto, já soma quase 1 ano e 6 meses no SUS até o dia 2 dezembro do corrente ano.

Salienta-se, que o Zolgensma é um medicamento inovador, capaz de corrigir a mutação genética que causa a AME, oferecendo a possibilidade de uma vida normal e saudável para as crianças que recebem a terapia em tempo hábil. Contudo, o acesso a esse tratamento no Brasil tem sido cercado de promessas não cumpridas e incertezas. A portaria, que foi criada com a intenção de garantir que o SUS fornecesse o medicamento às crianças que atendem aos critérios de elegibilidade, deveria ser um marco para o acesso a tratamentos de ponta, mas a realidade tem sido outra.

A principal preocupação é que, apesar da portaria já estar em vigor, muitos pais e responsáveis por crianças com AME tipo I estão enfrentando dificuldades para obter o Zolgensma. O governo federal tem falhado em cumprir a promessa de garantir a entrega do medicamento, comprometendo a saúde e a vida de crianças que podem não sobreviver sem o tratamento. Esse descumprimento não só é uma violação dos direitos dessas crianças e suas famílias, mas também uma negligência grave com uma questão de saúde pública que exige ação imediata.

Além disso, essa falha no cumprimento da portaria reflete uma grave falha na gestão dos recursos públicos e uma falta de responsabilidade por parte do governo, que deveria priorizar a saúde e o bem-estar de seus cidadãos, especialmente das crianças mais vulneráveis. Ao não garantir o fornecimento adequado de Zolgensma, o governo está colocando em risco a vida de crianças que, sem o tratamento, não têm perspectivas de futuro.

O que é ainda mais angustiante para as famílias afetadas é a incerteza e a sensação de abandono. O governo tem a responsabilidade de proporcionar igualdade no acesso à saúde, e ao falhar em garantir o fornecimento do Zolgensma, está criando uma disparidade ainda maior entre aqueles que podem pagar pelo tratamento e aqueles que dependem do SUS. Para muitas dessas famílias, o Zolgensma representa uma única oportunidade de tratamento, e a falta

o medicamento no momento certo pode significar a perda de uma vida.





CÂMARA DOS DEPUTADOS
Gabinete do Deputado Federal **GUSTAVO GAYER** – PL/GO

Por todo o exposto, o governo precisa tomar medidas urgentes para corrigir esse erro e garantir que a portaria seja cumprida sem mais atrasos, para que as crianças com AME tipo I tenham a chance de um futuro que, sem a medicação, parece impossível.

Sala das Sessões, em de , de 2024.

Deputado **GUSTAVO GAYER**
(PL/GO)

Apresentação: 03/12/2024 10:38:38.470 - Mesa

RIC n.4426/2024



Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD241830491900>
Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Gustavo Gayer





CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 460

Brasília, 16 de dezembro de 2024.

A Sua Excelência a Senhora
NÍSIA TRINDADE
Ministra de Estado da Saúde

Assunto: **Requerimento de Informação**

Senhora Ministra,

Nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal, encaminho a Vossa Excelência cópia(s) do(s) seguinte(s) Requerimento(s) de Informação:

PROPOSIÇÃO	AUTOR
Requerimento de Informação nº 4.301/2024	Deputada Rosangela Moro
Requerimento de Informação nº 4.309/2024	Deputado Cabo Gilberto Silva
Requerimento de Informação nº 4.317/2024	Deputada Julia Zanatta
Requerimento de Informação nº 4.409/2024	Deputado Gustavo Gayer
Requerimento de Informação nº 4.418/2024	Deputado Evair Vieira de Melo
Requerimento de Informação nº 4.423/2024	Deputada Rosangela Moro
Requerimento de Informação nº 4.426/2024	Deputado Gustavo Gayer
Requerimento de Informação nº 4.433/2024	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 4.480/2024	Deputado Dr. Frederico

Por oportuno, solicito, na eventualidade de a informação requerida ser de natureza sigilosa, seja enviada também cópia da decisão de classificação proferida pela autoridade competente, ou termo equivalente, contendo todos os elementos elencados no art. 28 da Lei nº 12.527/2011 (Lei de Acesso à Informação), ou, caso se trate de outras hipóteses legais de sigilo, seja mencionado expressamente o dispositivo legal que fundamenta o sigilo. Em qualquer caso, solicito ainda que os documentos sigilosos estejam acondicionados em invólucro lacrado e rubricado, com indicação ostensiva do grau ou espécie de sigilo.

Atenciosamente,

Deputado LUCIANO BIVAR
Primeiro-Secretário

- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.

/LMR



Documento assinado por:
16/12/2024 15:06 - Dep. LUCIANO BIVAR
Selo digital de segurança: 2024-TFGL-TCYX-ZARM-OIYS