



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 1460/2025/ASPAR/MS

Brasília, 12 de novembro de 2025.

A Sua Excelência o Senhor

Deputado Federal Carlos Veras

Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

Referência: Requerimento de Informação nº 5918/2025

Assunto: *Informações sobre o pedido de registro sanitário do medicamento IZCARGO® (pabinafusp-alfa) e medidas para aprimoramento da avaliação e acesso a terapias para doenças raras no Brasil.*

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício nº 364/2025, proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente a o **Requerimento de Informação nº 5918/2025**, de autoria da **Deputada Federal Maria Arrais - SOLIDARIEDADE/PE**, por meio do qual são requisitadas informações sobre o pedido de registro sanitário do medicamento IZCARGO® (pabinafusp-alfa) e medidas para aprimoramento da avaliação e acesso a terapias para doenças raras no Brasil., sirvo-me do presente para encaminhar as informações prestadas pelas áreas técnicas Agência Nacional de Vigilância Sanitária, por meio de Nota Técnica 68 (0051741971).
2. Desse modo, no âmbito do Ministério da Saúde, essas foram as informações exaradas pelo corpo técnico sobre o assunto.
3. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

ALEXANDRE ROCHA SANTOS PADILHA

Ministro de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Alexandre Rocha Santos Padilha, Ministro de Estado da Saúde**, em 12/11/2025, às 19:58, 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 **0051742252** e o código CRC **4F7FCA9B**.

Referência: Processo nº 25000.178108/2025-02

SEI nº 0051742252

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

NOTA TÉCNICA Nº 68/2025/SEI/GPBIO/GGBIO/DIRE2/ANVISA

Processo nº 25351.942166/2025-11

**Requerimento de Informação nº 5289/2025-
Registro do medicamento Izcargo****1. Relatório**

O presente documento tem por objetivo responder aos questionamentos formulados pela Deputada Maria Arraes, por meio do Requerimento de Informação nº 5918/2025, direcionado ao Ministério da Saúde, sobre o andamento do processo de registro sanitário do medicamento IZCARGO® (alfapabinafuspe), indicado para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II), também conhecida como Síndrome de Hunter.

A petição de registro do produto foi protocolada junto à Anvisa em 2020. Em janeiro de 2021, foi priorizada nos termos da RDC nº 205/2017, por se tratar de produto destinado ao tratamento de doença rara. Após análise técnica, o pedido foi indeferido em julho de 2022. A empresa interpôs recursos administrativos em primeira e segunda instância. Em setembro de 2023, a Diretoria Colegiada (Dicol) deliberou pelo retorno do processo à área técnica para nova avaliação.

Desde novembro de 2023, a Gerência de Produtos Biológicos (GPBIO) vem conduzindo nova análise, incluindo dados adicionais apresentados pela empresa. A conclusão interina indica que os dados clínicos disponíveis até o momento não são suficientes para comprovar a eficácia e segurança do produto para a indicação pretendida.

2. Análise**Histórico da avaliação do registro do Produto Biológico Novo IZCARGO® (alfapabinafuspe) pela GPBIO**

A GPBIO informa que a petição de registro do medicamento Izcargo® vem sendo objeto de análises técnicas sucessivas pela Gerência de Avaliação de Produtos Biológicos (GPBIO) desde o ano de 2020.

A petição de registro do produto Izcargo® com indicação para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II), também conhecida como síndrome de Hunter, foi protocolada junto à Anvisa em 2020. Após a submissão da petição de registro, foi conduzida a análise de todos os dados apresentados no dossiê de registro pela equipe técnica da GPBIO. Em janeiro de 2021, a solicitação foi priorizada nos termos da RDC nº 205/2017, por se tratar de produto destinado ao tratamento de doença rara (Mucopolissacaridose tipo II – MPS II).

Após a avaliação integral dos dados de produção, qualidade, eficácia e segurança apresentados para suporte ao registro, a Gerência de Produtos Biológicos (GPBIO), concluiu-se que não foi possível comprovar que o balanço benefício-risco do uso do produto Izcargo® para o tratamento de MPS II, fosse positivo. Assim, decidiu-se pelo indeferimento do pedido de registro, formalizado por meio da Resolução-RE nº 2.428, de 28 de julho de 2022 (publicada no DOU nº 144, Seção 1, pág. 132).

Ao tomar conhecimento do indeferimento da petição inicial de registro do produto Izcargo® a empresa interpôs recurso administrativo referente ao indeferimento do registro, em primeira instância, em agosto de 2022, que não foi acatado pela Anvisa.

Posteriormente, em fevereiro de 2023, a empresa apresentou recurso administrativo de 2ª instância e a Diretoria Colegiada (Dicol) da Anvisa, ao analisar o recurso, deliberou por conhecer e dar parcial provimento ao pedido da empresa, determinando o retorno do processo à área técnica (GPBIO) para nova avaliação, conforme o Voto nº 185/2023/SEI/DIRE4/ANVISA, cuja decisão foi publicada no DOU de 21 de setembro de 2023.

Dessa forma, a GPBIO procedeu à reanálise do dossiê de registro, iniciando em novembro de 2023, em atendimento à deliberação da Dicol. A nova análise técnica considerou todos os dados apresentados para a petição de registro inicialmente analisada e indeferida pela GPBIO, e a avaliação adicional de novos dados, determinada pela DICOL/Anvisa, após avaliação de recurso em 2ª instância (expediente nº 0187419/23-0), conforme o voto nº 185/2023/SEI/DIRE4/ANVISA. Neste momento, a GPBIO emitiu uma conclusão interina sobre a reanálise conduzida e vem mantendo discussões técnicas com a empresa solicitante, com o objetivo de orientar e de conduzir o processo de forma clara para que a empresa compreenda o que esperar da decisão regulatória e quais serão os passos possíveis após a conclusão da análise. Essa atuação demonstra o compromisso da Anvisa em exercer seu papel regulatório com rigor técnico, transparência e responsabilidade, reconhecendo a potencial relevância do produto Izcargo® para a população brasileira, caso sua eficácia e segurança sejam futuramente comprovadas para as indicações pretendidas.

Conclusões interinas da reavaliação dos dados apresentados para suporte do pedido de aprovação do registro

A indicação pleiteada, conforme o solicitado pela empresa no recurso em segunda instância para o produto Izcargo®, consiste em:

“IZCARGO® (alfapabinafuspe) é indicado para o tratamento da mucopolissacaridose tipo II (MPS II), também conhecida como síndrome de Hunter”

A indicação foi solicitada para alinhamento com a indicação aprovada para o produto no Japão, que é uma indicação ampla, para tratamento da Mucopolissacaridose Tipo II (MPS II),

Atualmente, está disponível no Brasil o medicamento ELAPRASE para o tratamento dessa patologia, com a seguinte indicação terapêutica, idêntica à solicitada para o produto Izcargo, já aprovada:

“ELAPRASE está indicado para o tratamento de pacientes com a síndrome de Hunter (Mucopolissacaridose II- MPS II).”

Durante a nova análise técnica dos dados, entre novembro de 2023 e o presente momento, a GPBIO emitiu novas exigências e a empresa apresentou respostas às exigências, com esclarecimentos e informações complementares.

Entretanto, até o momento, as análises realizadas indicam que os dados clínicos submetidos desde a petição inicial até a presente data não são suficientes para comprovar a eficácia e a segurança do Izcargo® para as indicações pretendidas. Não ficou demonstrada a eficácia do produto para o tratamento da MPS II, tanto em sua forma atenuada, não neuropática, ou forma grave, neuropática. A principal limitação da avaliação clínica de eficácia conduzida até o momento refere-se ao uso do nível de heparan sulfato (HS) no sistema nervoso central como desfecho substituto, sem validação clínica cientificamente estabelecida. Até o presente momento, não foram apresentados dados clínicos ou evidências na literatura que sustentem o uso do nível de HS como marcador confiável de benefício clínico. Além disto, os resultados disponíveis dos estudos clínicos e que foram apresentados para a Anvisa até o momento, não demonstram correlação consistente entre a redução do HS e a melhora clínica nos participantes avaliados, indicando que esse parâmetro, de acordo com o conhecimento científico atual, não pode ser definido como um desfecho substituto apropriado de eficácia.

Não foi possível, portanto, concluir que as evidências apresentadas, em sua totalidade, no dossiê de registro inicial e como dados adicionais em recurso de segunda instância, poderiam ser consideradas aceitáveis e suficientes para a aprovação do pedido de registro, mesmo considerando um registro que potencialmente poderia ser concedido mediante assinatura de Termo de Compromisso.

Ressalta-se que um estudo clínico pivotal de fase 3 encontra-se em andamento sob acompanhamento da Food and Drug Administration (FDA- agência de medicamentos americana), e os resultados interinos, esperados para o ano de 2026, poderão fornecer as evidências necessárias para uma conclusão final quanto ao perfil de eficácia e segurança do produto. Contudo, deve ser ainda considerado que não é possível excluir a possibilidade de que os resultados do referido estudo fase 3 possam demonstrar que o produto não é eficaz para a indicação terapêutica pretendida.

Histórico internacional da aprovação do produto IZCARGO® (alfapabinafuspe) e a aplicação do procedimento de análise otimizado (reliance).

No âmbito internacional, o produto foi aprovado pela Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA), do Japão, em 23 de março de 2021. Até o momento, o produto IZCARGO® não possui aprovação de registro pela FDA, dos Estados Unidos, nem pela European Medicines Agency (EMA), da União Europeia. Um estudo clínico de fase 3, conduzido com o acompanhamento da FDA, com o objetivo de avaliar a eficácia e a segurança do produto nas indicações terapêuticas pretendidas está em andamento. Conforme mencionado anteriormente, os resultados desse estudo deverão fornecer evidências mais robustas sobre o potencial benefício clínico e o perfil de segurança do alfapabinafuspe.

Ressaltamos que o Japão não está entre as Autoridades Regulatórias de Referência reconhecidas pela Anvisa. Assim, embora os dados clínicos apresentados no processo de registro do produto Izcargo® tenham sido avaliados pelo PMDA, os relatórios disponibilizados por essa autoridade não possuem o nível de detalhamento necessário para permitir a avaliação de suas conclusões pela Anvisa. Isso limita a utilização desses documentos como fonte de evidência para fundamentar a decisão de deferimento do registro do Izcargo® no Brasil.

Adicionalmente, a análise conduzida pela Anvisa resultou em interpretações técnicas distintas daquelas descritas pela autoridade japonesa, principalmente em relação às incertezas críticas sobre os benefícios demonstrados durante o desenvolvimento do produto Izcargo®. Destaca-se também que o produto ainda não foi aprovado pela FDA nem pela EMA, embora o FDA venha acompanhando o estudo clínico de fase 3 atualmente em andamento.

Assim, mesmo no contexto de reliance, a Anvisa mantém a prerrogativa de realizar avaliações independentes e adotar decisões próprias, de acordo com as evidências disponíveis e os critérios técnicos aplicáveis ao contexto regulatório nacional.

Da possibilidade da aprovação de registro de produto biológico com termo de compromisso, submissão contínua ou deferimento condicionado

A GPBIO informa que não houve submissão contínua para este produto, embora tenha sido concedida à empresa a oportunidade de apresentação de informações e dados que foram gerados no decorrer da análise técnica e recurso administrativo, sendo que a Anvisa considerou toda a documentação apresentada até o momento, por entender que se trata de produto destinado à doença rara.

Após a avaliação da totalidade das evidências para demonstração de eficácia, a GPBIO concluiu que não foram apresentadas evidências suficientes, até o presente momento, com um grau de incertezas considerado aceitável, para a demonstração inicial da eficácia do produto para o tratamento de pacientes com MPS II nas formas neuropáticas e não neuropáticas. Os dados disponíveis até o momento não permitem concluir, ainda que de forma preliminar, que o produto possui eficácia para o tratamento de pacientes com MPS II. Desta forma, a apresentação de dados clínicos provenientes de um estudo clínico adequadamente delineado, com avaliação de eficácia e segurança com desfechos apropriados, é ainda necessária para a aprovação do registro do produto. Caso os resultados interinos do estudo clínico de fase 3 em andamento forneçam evidências de eficácia e segurança, poderá ser considerada a aprovação do registro do Izcargo®, condicionada à assinatura de termo de compromisso.

A Anvisa poderia ter publicado novo indeferimento processual, mas considerando o princípio da eficiência e razoabilidade, decidiu-se por manter o processo de registro aberto, para aguardar os dados interinos que serão gerados no ano de 2026.

3. Conclusão

As análises realizadas dos dados apresentados para a Anvisa até o momento permitem concluir que os dados clínicos apresentados pela empresa, até esta etapa, não são suficientes para demonstrar a eficácia e a segurança do produto Izcargo® para as indicações propostas. Ressaltamos que um estudo de fase 3, que tem como objetivos avaliar a eficácia e segurança do produto Izcargo®, está atualmente em andamento e que os primeiros dados interinos deste estudo são esperados para 2026. Os resultados do estudo de fase 3 deverão fornecer evidências com a robustez minimamente necessária para permitir a conclusão sobre a eficácia e segurança do produto.

Dessa forma, e com o objetivo de evitar o indeferimento até o momento, a GPBIO manteve diálogo técnico contínuo com a empresa requerente, orientando-a quanto à necessidade de submissão de dados interinos do estudo de fase 3. Portanto, o tempo decorrido desde o protocolo reflete o esforço da Anvisa em assegurar uma decisão tecnicamente fundamentada e que garanta a qualidade, eficácia e segurança do produto a ser disponibilizado para o uso pela população brasileira.

Assim, a conclusão da análise regulatória do Izcargo® depende da submissão, pela empresa dos dados interinos do estudo clínico de fase 3, considerados essenciais para a demonstração da eficácia e da segurança do produto na indicação pleiteada. Tão logo esses dados, referentes ao estudo atualmente em andamento, sejam protocolados, a GPBIO prevê retomar a avaliação de forma imediata e prioritária.

Encaminhamos o posicionamento à GGBIO e à Segunda Diretoria para análise e eventual complementação, caso julguem pertinente.



Documento assinado eletronicamente por **Silmara Cristiane da Silveira, Gerente de Produtos Biológicos Substituto(a)**, em 06/11/2025, às 15:31, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



Documento assinado eletronicamente por **Anderson Vezali Montai, Gerente de Produtos Biológicos**, em 06/11/2025, às 19:52, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020 http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **3923595** e o código CRC **37E7302C**.



CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 364

A Sua Excelência o Senhor
ALEXANDRE PADILHA
Ministro de Estado da Saúde

(DATADO ELETRONICAMENTE)

Assunto: **Requerimento de Informação**

Senhor Ministro,
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 4.617/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 4.620/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 4.626/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 4.627/2025	Deputado Sanderson
Requerimento de Informação nº 4.631/2025	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 4.632/2025	Deputada Erika Kokay
Requerimento de Informação nº 4.633/2025	Deputado Duda Ramos
Requerimento de Informação nº 4.634/2025	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 4.636/2025	Comissão de Defesa dos Direitos da Pessoa Idosa
Requerimento de Informação nº 4.706/2025	Deputado Messias Donato
Requerimento de Informação nº 4.806/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 4.824/2025	Deputado Giovani Cherini e outros
Requerimento de Informação nº 4.831/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 4.851/2025	Deputado Dr. Frederico
Requerimento de Informação nº 4.856/2025	Deputada Laura Carneiro
Requerimento de Informação nº 4.927/2025	Deputado Luiz Carlos Hauly
Requerimento de Informação nº 4.963/2025	Comissão de Saúde
Requerimento de Informação nº 4.989/2025	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 4.996/2025	Deputado Aureo Ribeiro
Requerimento de Informação nº 5.224/2025	Deputado Rafael Fera

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

/LMR





CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 364

Requerimento de Informação nº 5.232/2025	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 5.251/2025	Comissão de Fiscalização Financeira e Controle
Requerimento de Informação nº 5.259/2025	Deputado André Fernandes
Requerimento de Informação nº 5.262/2025	Deputado Dr. Frederico
Requerimento de Informação nº 5.263/2025	Deputado Dr. Frederico
Requerimento de Informação nº 5.277/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 5.283/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 5.289/2025	Deputado Felipe Carreras
Requerimento de Informação nº 5.293/2025	Deputado Duarte Jr.
Requerimento de Informação nº 5.318/2025	Comissão de Saúde
Requerimento de Informação nº 5.706/2025	Deputada Antônia Lúcia
Requerimento de Informação nº 5.707/2025	Deputada Antônia Lúcia
Requerimento de Informação nº 5.708/2025	Deputada Antônia Lúcia
Requerimento de Informação nº 5.709/2025	Deputada Antônia Lúcia
Requerimento de Informação nº 5.776/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 5.809/2025	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 5.915/2025	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 5.918/2025	Deputada Maria Arraes

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 CARLOS VERAS
Primeiro-Secretário

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

/LMR



REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº _____, DE 2025
(Da Sra. MARIA ARRAES)

Requer informações ao Senhor Ministro da Saúde, sobre o pedido de registro sanitário do medicamento IZCARGO® (pabinafusp-alfa) e medidas para aprimoramento da avaliação e acesso a terapias para doenças raras no Brasil.

Senhor Presidente:

Requeiro a V. Ex^{a.}, com base no art. 50 da Constituição Federal, e na forma dos arts. 115 e 116 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, que, ouvida a Mesa, sejam solicitadas informações ao Sr. Ministro da Saúde, no sentido de esclarecer esta Casa sobre o pedido de registro sanitário do medicamento IZCARGO® (pabinafusp-alfa) e medidas para aprimoramento da avaliação e acesso a terapias para doenças raras no Brasil.

Para direcionar a resposta, seguem os seguintes questionamentos específicos:

- 1) Por qual motivo, passados mais de dois anos desde o protocolo (2022), o registro ainda não foi concluído, considerando que a Lei nº 6.360/1976 (art. 17-A) impõe prazos máximos de decisão (120 dias prioritário/365 ordinário, prorrogáveis uma única vez)?
- 2) O processo tramita sob o rito especial para doenças raras previsto na RDC nº 205/2017? Em caso negativo, por qual razão a ANVISA não aplicou esse procedimento de aceleração regulatória?
- 3) Como a ANVISA está considerando a aprovação internacional já concedida pelo Japão em 2021 para fins de reliance regulatório ou reconhecimento de decisão estrangeira em doenças raras?



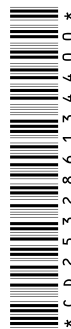
- 4) Houve a utilização de submissão contínua, deferimento condicionado ou instrumentos como Termo de Compromisso, previstos na RDC nº 205/2017? Se não, quais fundamentos técnicos justificaram a não aplicação desses mecanismos?
- 5) Quais medidas concretas o Ministério da Saúde e a ANVISA estão adotando para evitar novas moras administrativas em processos de registro de medicamentos para doenças raras, inclusive quanto ao uso de sandbox regulatório, prazos internos de controle e indicadores de desempenho?
- 6) Qual o cronograma estimado para conclusão da análise do IZCARGO® e decisão final sobre seu registro?

JUSTIFICAÇÃO

A Síndrome de Hunter (MPS II) é uma síndrome genética rara, síndrome genética, com manifestações multissistêmicas degenerativas em crianças que, na maioria dos casos, cursa com comprometimento neurológico progressivo.

Atualmente, o único medicamento disponível no Brasil para a MPS II é a idursulfase, droga aprovada desde 2008, mas que atua apenas na parte sistêmica da doença, sem ultrapassar a barreira hematoencefálica. Isso significa que, embora possa atenuar alguns sintomas físicos, não impede ou mitiga a degeneração neurológica, levando inevitavelmente à perda da fala, da cognição, da autonomia e, em última instância, da dignidade dos pacientes.

Contudo, há um medicamento pendente de análise de registro pela Anvisa (IZCARGO® - pabinafusp-alfa), que representa uma virada de paradigma, pois é a primeira terapia estudada cientificamente em alto nível capaz de alcançar o sistema nervoso central e retardar a progressão da deterioração mental e funcional. A diferença prática é significativa, pois a droga



em referência pode preservar capacidade cognitiva, retardar a dependência total e permitir que essas crianças vivam com qualidade e dignidade.

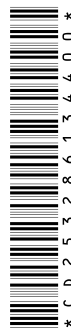
Os estudos no Japão referentes ao medicamento, já aprovado na PMDA, são um ensaio clínico multicêntrico, fase II/III, cujos resultados foram publicados na revista *Molecular Therapy*, periódico oficial da American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT), editora internacional de reconhecida excelência científica.

A revista possui fator de impacto elevado (acima de 10), é amplamente indexada nas principais bases científicas mundiais (PubMed, Scopus e Web of Science) e somente publica trabalhos submetidos ao rigoroso processo de revisão por pares, no qual especialistas independentes avaliam a metodologia, os resultados e a relevância clínica antes da aceitação do manuscrito. Esses elementos demonstram que se trata de evidência científica de alto nível.

Desde 2022 o laboratório responsável aguarda a manifestação da ANVISA quanto ao deferimento ou indeferimento do pedido de registro sanitário, configurando uma tramitação que já ultrapassa de forma significativa os prazos máximos estabelecidos pela legislação.

Do ponto de vista regulatório, a legislação prevê prazos máximos para decisão de registro (art. 17-A da Lei nº 6.360/1976), inclusive com limites estritos de prorrogação e regras de suspensão do prazo em caso de exigências; além disso, a RDC nº 205/2017 instituiu via específica para doenças raras, com submissão contínua e deferimento condicionado mediante Termo de Compromisso. A mora administrativa além desses parâmetros precisa ser transparentemente justificada e mitigada por providências de gestão e priorização.

No plano jurídico-constitucional, a proteção à vida e à saúde impõe eficiência e razoável duração do processo administrativo; e a jurisprudência do STF (Temas 500 e 6), invocada aqui apenas para



contextualizar a urgência e qualificar a motivação técnica da Administração, delinea critérios excepcionais quando: (i) há pedido de registro no Brasil; (ii) existe aprovação por autoridade sanitária de renome no exterior; (iii) inexistente substituto terapêutico; e (iv) configura-se mora irrazoável da ANVISA.

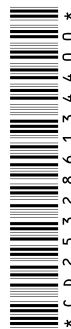
Ainda que tais parâmetros sejam típicos do controle judicial, a Administração pode e deve utilizá-los proativamente como balizas de política pública para reduzir litígios, acelerar decisões e dar transparência a casos de alta gravidade clínica.

Sabe-se que Constituição Federal assegura, em seu art. 6º, o direito social à saúde e, em seu art. 196, estabelece que a saúde é direito de todos e dever do Estado, garantido mediante políticas sociais e econômicas que visem à redução do risco de doenças e ao acesso universal e igualitário às ações e serviços para sua promoção, proteção e recuperação.

Ademais, o art. 197 dispõe que as ações e serviços de saúde são de relevância pública, cabendo ao Poder Público regulamentar, fiscalizar e controlar sua execução. Tais dispositivos reforçam o dever constitucional da Administração em assegurar respostas céleres e efetivas quando se trata de terapias para doenças raras e graves, como a MPS II.

Há, portanto, interesse público e social em esclarecer o andamento do registro do IZCARGO®, indagar sobre a aplicação da RDC nº 205/2017, estimular o uso do Sandbox Regulatório e valorizar a posição do Brasil como um país que adota políticas públicas efetivas no que tange aos cuidados com as doenças raras.

Apenas a título de exemplo, no CETREIM, em Pernambuco, centro de referência nacional no atendimento a pacientes com doenças raras, já há crianças e adolescentes diagnosticados com a forma neurológica da MPS II que aguardam o início do tratamento com o IZCARGO®. Entretanto, esses pacientes não puderam ser incluídos na fase de ensaios clínicos, já encerrada, e permanecem sem acesso à terapia.



O tempo de tramitação excessiva do processo regulatório está acarretando danos degenerativos progressivos, com perda funcional e cognitiva irreversível, o que reforça a urgência da decisão administrativa sobre o medicamento, que, ressalte-se novamente, não possui idêntico no mercado nacional, já que a atual terapia enzimática não ultrapassa a barreira hematoencefálica.

Este Requerimento, agora na Câmara dos Deputados, aprofundará tais pontos, exigindo datas, marcos, exigências, cronograma e indicadores, informações sem as quais não há controle social efetivo, nem previsibilidade para pacientes e famílias que aguardam soluções.

Sala das Sessões, em de de 2025.

Deputada MARIA ARRAES

