

CÂMARA DOS DEPUTADOS
DEPARTAMENTO DE TAQUIGRAFIA, REVISÃO E REDAÇÃO
4ª SESSÃO LEGISLATIVA ORDINÁRIA DA 56ª LEGISLATURA
Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência
(AUDIÊNCIA PÚBLICA EXTRAORDINÁRIA (SEMPRESENCIAL))

Em 21 de Junho de 2022
(Terça-Feira)

Às 16 horas

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Boa tarde a todos e a todas.

Primeiramente, eu quero e pedir desculpas pelo atraso. Eu estava nesse momento relatando um projeto de lei na outra Comissão da qual eu também sou membro, a Comissão de Segurança Social e Família. Por isso eu me atrasei um pouquinho. Peço perdão aos nossos convidados mais uma vez.

Quero também cumprimentar os nossos alunos da Escola Parque do Rio de Janeiro.

Muito prazer em tê-los aqui! Sejam todos muito bem-vindos!

Eu queria convidar o Sr. Romilson de Almeida Volotão, representante da ANVISA, para que venha se sentar próximo a mim.

Então, vamos iniciar a audiência pública.

Declaro aberta a presente audiência pública da Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência, atendendo ao Requerimento nº 95, de 2022, de minha autoria, Deputada Rejane Dias, para debater o tratamento da amiloidose no Brasil.

Eu farei a minha breve autodescrição para as pessoas cegas ou com baixa visão que estejam nos assistindo. Peço que os demais integrantes da Mesa façam o mesmo antes de iniciarem suas falas.

Eu sou uma mulher de pele clara e cabelos escuros, uso óculos, estou com um terno preto e, neste momento, estou sentada à mesa presidindo esta audiência pública, no Plenário 13 da Câmara Federal.

Vou fazer alguns esclarecimentos.

Além dos palestrantes, apenas os Parlamentares poderão ingressar na reunião do Zoom. Os demais interessados poderão acompanhar o debate pela página da Comissão na Internet, pelo canal da Câmara dos Deputados no Youtube ou pela sala virtual do e-Democracia, com janela de tradução em LIBRAS.

Será lançada a presença do Parlamentar que, pela plataforma de videoconferência, usar da palavra nesta audiência pública. Como regra geral, peço a todos que mantenham seus microfones desligados e os abram apenas quando forem usar a palavra.

Informo que a reunião está sendo gravada.

Quero, mais uma vez, agradecer a presença de todos. É uma honra poder contar com a presença virtual, mas também com a presença física dos nossos queridos convidados.

Quero cumprimentar o Sr. Marcus Vinícius Simões, representante da Sociedade Brasileira de Cardiologia; a Sra. Monica Vieira Aderaldo, Presidente da Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste — FEDRANN; o Sr. Romilson de Almeida Volotão, Secretário Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos/ANVISA; a Sra. Luciene Fontes Schluckebier Bonan, Coordenadora-Geral de Inovação Tecnológica na Saúde da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, representando o Ministério da Saúde; a Sra. Liana Cláudia Uriarte Ferronato, Presidente da Associação Brasileira de Paramiloidose; e a Sra. Dília Sávila de Sousa Falcão, Gerente de Atenção Básica da Secretaria de Estado da Saúde do nosso querido Estado do Piauí.

Regras do debate.

Os palestrantes farão suas apresentações por 10 minutos, prorrogáveis a juízo desta Presidência. Após as explanações dos convidados, será concedida a palavra, por 10 minutos, à autora do requerimento. Logo após, as senhoras e os

senhores inscritos poderão falar por até 3 minutos. Oportunamente será concedida a palavra aos expositores para as suas considerações finais.

Este evento está sendo transmitido ao vivo pela Internet. Além disso, foi aberto um *chat* para a participação dos internautas, que poderão enviar suas perguntas aos palestrantes através da sala virtual do portal e-Democracia. O *link* foi previamente divulgado e poderá ser acessado pela página da Comissão: www.camara.leg.br/cpd.

As perguntas mais votadas, a depender do tempo disponível, serão respondidas pelos palestrantes.

Agora, nós passaremos às exposições.

Em primeiro lugar, concedo a palavra ao Sr. Marcus Vinícius Simões, representante da Sociedade Brasileira de Cardiologia, por 10 minutos.

O SR. MARCUS VINÍCIUS SIMÕES - Muito obrigado, Deputada Rejane Dias. É uma honra, um prazer enorme estar aqui e participar desta audiência pública para tratar de um tema tão relevante.

Eu tenho uma apresentação e vou iniciar agora o compartilhamento da minha tela.

(Segue-se exibição de imagens.)

Eu sou professor associado de cardiologia e médico cardiologista da Faculdade de Medicina da USP, em Ribeirão Preto, e também presido o Grupo de Estudos em Miocardiopatias da Sociedade Brasileira de Cardiologia.

Vou diretamente ao ponto, para usar bem esses 10 minutos.

A amiloidose cardíaca é uma doença do músculo cardíaco, denominada como uma cardiomiopatia infiltrativa, em que as paredes do coração — aqui eu mostro a imagem do coração cortado no seu longo eixo — estão espessadas e infiltradas por uma substância anômala, que são agregados de proteínas insolúveis dobradas anormalmente e que vão se infiltrando, acumulando-se nessas paredes, de maneira que o coração vai ficando com a parede espessa, rígida e com dificuldade de relaxamento.

Aqui ao lado está a imagem do ultrassom, que é um método diagnóstico, o ecocardiograma, para mostrar *in vivo* esse aumento de espessura, que é uma marca da presença da doença.

Aqui, uma biópsia mostra a infiltração amiloide nas fibras do coração.

A amiloidose cardíaca pode ser devida ao depósito no coração de diferentes proteínas de dobramento anômalo, proteínas amiloidogênicas. Uma das formas é ligada às imunoglobulinas de cadeias leves, que é uma doença hematológica, é um clone de plasmócitos. Então, é uma neoplasia da medula óssea, que vai produzindo essas proteínas que vão se acumulando no interstício do coração, espessando as paredes, com mostrado nesse *chart*.

Uma condição mais frequente, um pouco mais frequente do que a amiloidose AL, que ainda é considerada uma doença rara – a AL é ligada às imunoglobulinas –, temos uma outra forma, que é ligada à transtirretina, que é uma proteína produzida no fígado de forma anômala. Essa proteína é responsável por transporte de tiroxina e vitamina A, mas pode ser produzida de forma anormal, instabilizar-se e se desagregar formando essas fibrilas, essas proteínas insolúveis, que vão se depositando no coração. Noventa e cinco por cento dos casos de amiloidose correspondem a uma dessas situações. Lembro que a transtirretina é uma situação mais comum.

Aqui temos uma representação que mostra essa cascata amiloidogênica, ou seja, como essas proteínas vão ser formadas. Então, aqui na amiloidose por transtirretina, que é a forma mais comum, o fígado produz essa proteína complexa, que é um tetramer. Se ela é produzida de forma a ficar instável ou por uma mutação do gene que codifica a produção dessa transtirretina, que é chamada forma hereditária, ou secundária ao envelhecimento, que é chamada forma selvagem ou *wild type*, esses tetrâmeros podem se dissociar em dímeros, depois monômeros, depois se agregar de forma normal e se depositar na forma de fibrilas insolúveis no músculo do coração ou nos tecidos periféricos do sistema nervoso periférico, que são os dois órgãos mais comumente acometidos.

Lembro que é uma doença sistêmica, multiorgânica, que pode ter o envolvimento de outros órgãos ainda, como tecido conjuntivo, rim, olhos, trato digestivo. Mas os comprometimentos cardíaco e nervoso são os mais comuns.

Então, na forma hereditária, é muito saliente a presença de um acometimento do sistema nervoso periférico, uma neuropatia sensitiva ou motora, com dor neuropática, dormência, fraqueza muscular, prejuízo de marcha, ou envolvimento do sistema nervoso autônomo com diarreia, disfunção erétil, hipotensão ortostática, que impõem um grande sofrimento aos pacientes.

Na cardiomiopatia amiloide, as manifestações mais típicas são de uma insuficiência cardíaca com fração de ejeção preservada. Os sintomas se iniciam com dispneias fortes, que vão progredindo até sintomas graves em repouso; edema, que é o inchaço, que surge nos membros inferiores, mas pode progredir para o abdômen e face; e redução da capacidade

funcional com fadiga e falta de força, que vai também comprometendo grandemente a qualidade de vida desses pacientes com sintomas muito graves.

Outras manifestações podem ser arritmias, bloqueios dos ramos ou BAV total, indicando marcapasso, angina e aspectos que se confundem com a cardiomiopatia hipertrófica, que é uma doença de forma bem variada.

Quando se fala da amiloidose hereditária, nós temos mais de 130 mutações descritas. Algumas mutações estão mais associadas a doença neurológica, outras mais ao fenótipo cardiológico. No Brasil, é de muito interesse a mutação associada à descendência portuguesa, que é a V30M, que pode apresentar acometimento cardíaco na sua forma tardia e, principalmente, no fenótipo cardiológico na cardiopatia aval 122 isoleucina, que é associada aos afrodescendentes.

Aqui, uma curva de sobrevida mostra a sobrevida livre de morte de transplante cardíaco num centro francês. É um dado de vida real. A curva de sobrevida é muito boa. O prognóstico é bom para os indivíduos que têm neuropatia isoladamente, mas, tanto na forma *wild type* quanto na forma hereditária, se há o aparecimento de cardiopatia, o prognóstico é ruim. Então, em média, a sobrevida é de 3 a 4 anos após o diagnóstico da cardiopatia amiloide. Então, é uma doença de evolução bastante maligna, bastante grave.

Então, é importante salientar a necessidade de um tratamento específico para mudar essa história natural e prolongar a vida desses pacientes. Uma das medicações que já foi amplamente testada é uma droga que pode estabilizar esse tetramer, impedir que ele vá se dissociando e formando essas proteínas amiloides, especificamente uma droga chamada tafamidis, que já foi testada num *trial* internacional multicêntrico em mais de 400 pacientes.

Num estudo da ATTRA-ACT que foi publicado em 2018, os pacientes com insuficiência cardíaca por doença amiloide que tomaram tafamidis tiveram uma menor progressão da redução da capacidade de caminhar uma distância percorrida em 6 minutos, quando comparado ao placebo, e uma melhor estabilização dos sintomas e da qualidade de vida, medidas por questionários específicos.

De forma ainda mais relevante, quando se olha a mortalidade por todas as causas, esse estudo multicêntrico internacional usando tafamidis, para estabilizar a evolução da doença, mostrou uma redução da mortalidade naqueles pacientes que tomaram tafamidis em relação ao placebo.

Esse é um estudo seminal pivotal que mostra o benefício dessa medicação em melhorar a doença. E isso levou, então, à aprovação pela ANVISA da dose de 80mg por dia de tafamidis para o tratamento da cardiomiopatia amiloide com vista a esse benefício de melhora de sintomas e redução de mortalidade. Mas, até o momento, esse tratamento não foi incorporado no SUS, ou seja, não houve um parecer favorável da CONITEC.

Quando se observam dados de mundo real em relação a curvas de sobrevida, um grande *cohort* num centro francês mostra o impacto do tafamidis na evolução desses doentes. Aqui em cima vemos a curva de sobrevida é muito boa dos pacientes com neuropatia tratados com tafamidis.

Essa cor em vermelho representa os pacientes tratados com o tafamidis, na forma hereditária ou na forma *wild type*, que têm uma sobrevida significativamente melhor do que aqueles que não receberam tafamidis ao longo do tempo. Isso mostra um benefício quando se observa a sobrevida livre de desfechos cardiovasculares maiores. O tempo de sobrevida daqueles pacientes que tomam tafamidis é praticamente o dobro do tempo daqueles pacientes que não fizeram uso dessa medicação, mostrando, em dados de mundo real, a importância da medicação e o impacto favorável na evolução da doença.

Lembro que a cardiopatia é um grande determinante do prognóstico. O paciente que exibe a insuficiência cardíaca, a cardiomiopatia amiloide tem um prognóstico muito pior, tem uma curva de mortalidade muito mais acentuada do que o paciente que tem "apenas as manifestações de neuropatia" — entre aspas.

Era isso que eu gostaria de apresentar rapidamente. Fico à disposição para maiores discussões.

Muito obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Dr. Marcus Vinícius, pela sua contribuição. No decorrer das falas, do debate, nós vamos poder aprofundar mais.

Muito obrigada.

Agora, concedo a palavra à Sra. Monica Vieira, por 10 minutos.

A SRA. MONICA VIEIRA ADERALDO - Antes de tudo, agradeço muito o convite à Deputada Rejane Dias, que sempre nos ajudou. Cumprimento todos na pessoa da Presidente da Mesa, a Deputada Rejane Dias.

Antes de tudo, como a Deputada falou, eu represento a Federação das Associações de Doenças Raras do Norte, Nordeste e Centro-Oeste.

Como o Dr. Marcus Simões falou tão bem, essa é uma doença, sim, severa, degenerativa, progressiva, debilitante e que precisa ser vista. Eu, infelizmente, perdi uma pessoa da família com essa doença tão devastadora. Ela devasta a família inteira. Aqui estamos com o intuito de fazer com que as medicações que existem para as fases 1 e 2 da patologia sejam incorporadas pelo SUS, até porque já temos um processo dentro da CONITEC para ser avaliado para o tratamento da fase 2. Trabalhamos não só com a fase 2, como também com a fase 1. Na fase 3, só vemos como tratamento o transplante.

Nós estamos aqui diante desta plenária maravilhosa para pedir a sensibilidade de se aliarem os tratamentos para essa doença. Às vezes, quando se tem um diagnóstico, não se tem um prognóstico — tem um prognóstico de morte em vez de um prognóstico de vida. Estamos aqui, enquanto sociedade civil, para pedir que a CONITEC avalie e incorpore o quanto antes as medicações e os tratamentos para a doença de PAF — polineuropatia amiloidótica familiar.

Muito obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Sra. Mônica, muito obrigada pela sua participação.

Realmente tenho sido parceira no que diz respeito a essa questão das doenças raras. Quero aqui parabenizar a sua atuação à frente da FEDRANN, que é uma atuação bastante destacada de uma líder realmente bastante comprometida com a causa de todos que padecem por doenças raras. Conte sempre aqui com o nosso apoio.

Tem a palavra o Sr. Romilson de Almeida, que é o Secretário Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos da ANVISA, por 10 minutos.

O SR. ROMILSON DE ALMEIDA VOLOTÃO - Boa tarde a todos.

Inicialmente farei a minha apresentação para as pessoas que têm alguma deficiência visual.

Eu sou um homem moreno, cabelos castanhos, um pouco grisalhos, tenho 1,76m, estou usando um terno risca de giz e estou aqui sentado na mesa do Plenário 3 do Anexo 2 da Câmara dos Deputados junto com a Deputada Rejane Dias, a quem eu agradeço o convite para estar aqui hoje e ter a oportunidade de auxiliar esta Comissão tão importante como é a Comissão dos Direitos das Pessoas com Deficiência.

Eu sou o Secretário Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos. Vou fazer uma explanação breve para explicar o que é a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos, que é um órgão colegiado interministerial composto pelo Ministério da Justiça, Ministério da Economia e Casa Civil e é presidido pelo Ministério da Saúde. A Secretaria Executiva da Câmara é exercida pela ANVISA, a qual eu represento hoje.

Esse colegiado tem a competência de definir o preço dos medicamentos no Brasil. Ele define as regras e aplica essas regras. Então, a competência da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos é restrita a esse aspecto, ao aspecto da precificação dos medicamentos.

Os medicamentos, para ingressarem no mercado, primeiro passam pela fase de registro, que é feito pela ANVISA. Após a fase de registro, o medicamento passa pela fase de precificação, que é feita pelo colegiado da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos. A Secretaria Executiva é o primeiro grau de jurisdição, por assim dizer, o primeiro grau de decisão administrativa do processo de precificação de medicamentos no Brasil.

Após a decisão da Secretaria Executiva, as empresas têm a possibilidade de entrar com pedido de reconsideração, também para a Secretaria Executiva, e, posteriormente, com um recurso administrativo para o Comitê Técnico-Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos.

Especificamente em relação à doença que nos preocupa neste momento, a amiloidose hereditária, o que eu posso trazer de informação importante dentro da esfera de competência da Câmara de Regulação é o resultado do processo de precificação de medicamentos que auxiliam no tratamento dessa enfermidade, que é uma doença muito grave, é uma doença com consequências muito sérias, como foi dito aqui, não só para o paciente, mas para a família também, é uma doença dolorosa. Então, precisamos ter um cuidado muito especial com o tratamento dessa enfermidade.

Temos, como já foi dito aqui, a substância tafamidis, que já passou pelo processo de registro, já passou pelo processo de precificação e já foi incorporada ao SUS. É um medicamento que é fornecido pelo Sistema Único de Saúde. Temos dois outros medicamentos, mais novos, que teriam um efeito talvez um pouco mais abrangente, uma eficácia um pouco maior, principalmente em relação aos estágios mais avançados da amiloidose. Um deles é o Tegsedi, que é o nome comercial da substância inotersena.

Em relação ao processo de precificação do Tegsedi, ocorreu o seguinte: houve uma decisão de primeira instância da Secretaria Executiva contra a qual a empresa que detém o registro desse medicamento recorreu. Esse recurso foi para o Comitê Técnico-Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos e foi julgado procedente por um voto-vista do Ministério da Economia. Esse recurso decidiu que o Tegsed seria enquadrado na chamada categoria 1, que é a do medicamento novo que traz ganho terapêutico, é uma molécula nova no Brasil. Em relação ao Tegsed, o preço que

foi concedido pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos foi exatamente o preço pleiteado pela empresa. Então, o pleito foi atendido, e o preço foi calculado pela metodologia do preço internacional.

Existe um outro medicamento que também é mais recente do que o tafamidis, que é Onpattro.

O Onpattro, assim como aconteceu com o Tegsedi, recebeu uma decisão de primeira instância da Secretaria Executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos. A empresa detentora do registro do medicamento Onpattro recorreu ao Comitê Técnico Executivo da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos, que decidiu, com voto do Ministério da Saúde, enquadrar o Onpattro na chamada categoria 2, considerando-o um medicamento inovador, mas que não preenche os mesmos requisitos da categoria 1. Aplicou-se a esse medicamento a metodologia de definição de preço internacional, de menor preço internacional. Portanto, tanto o Tegsedi quanto o Onpattro são medicamentos com preços definidos pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos, em decisão já definitiva, e já estão aptos ao processo de incorporação.

Creio que era isso que eu poderia acrescentar aqui em relação às restritas competências da Secretaria Executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos. Coloco-me à disposição para auxiliar no que for necessário e para esclarecer outras dúvidas.

Agradeço mais uma vez o convite à Deputada Rejane Dias para estar aqui e tratar de assunto tão importante, como a questão do tratamento da amiloidose.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Dr. Romilson, muito obrigada pela sua contribuição e pelas informações que trouxe a esta Comissão.

Concedo a palavra à Sra. Luciene Fontes, Coordenadora-Geral de Inovação e Tecnologia na Saúde, da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, representando aqui o Ministério da Saúde, por 10 minutos.

A SRA. LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN - Boa tarde.

Infelizmente, a minha câmera está com um problema agora. Vou compartilhar uma apresentação bem breve, para que todos que estejam nos ouvindo possam se alinhar com o tema de como é feita a avaliação e a incorporação de tecnologias no SUS. *(Pausa.)*

Estou com um problema de conexão.

Vou começar novamente. Todos veem a minha tela?

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Sim, estamos vendo. Fique à vontade.

(Segue-se exibição de imagens.)

A SRA. LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN - Muito obrigada, Deputada Rejane. Eu gostaria de agradecer o convite para participar da audiência.

Vou falar brevemente como funciona o processo de incorporação de tecnologias no SUS.

A Lei nº 12.401, de 2011, foi o marco legal a partir do qual foi criada a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS — CONITEC. Ela é um órgão colegiado que integra a estrutura do Ministério da Saúde e que assessora aquela Pasta nas atividades relacionadas à incorporação, à exclusão e à alteração de tecnologias em saúde, bem como na elaboração e revisão de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas. A CONITEC trabalha principalmente avaliando as tecnologias, em termos de eficácia e segurança, também levando em consideração estudos de avaliação econômica de custo e efetividade.

Aquele marco legal também estabeleceu o período de 180 dias, prorrogáveis por mais de 90 dias, quando necessário, como prazo para avaliar essas tecnologias. As incorporações são feitas mediante a elaboração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas. Todas as avaliações passam por um processo de consulta pública. Inicialmente, o plenário faz a primeira recomendação, após avaliar aquela tecnologia. Depois, há um momento de consulta pública para todas as avaliações. Em seguida, o processo retorna ao plenário, com as informações apresentadas na consulta pública. Dessa forma, médicos, especialistas, pacientes e associações de pacientes, que detêm o conhecimento mais aprofundado sobre aquela doença tema do relatório, têm oportunidade de contribuir com informações sobre aquela tecnologia. Por fim, todas as informações são compiladas e levadas novamente ao plenário, para que ele possa reavaliar ou ratificar a sua decisão quanto à incorporação daquela tecnologia.

O plenário atualmente é composto de 13 membros das Secretarias do Ministério da Saúde — a Secretaria Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde — SCTIE preside o plenário; do Conselho Federal de Medicina; do Conselho Nacional de Saúde; do Conselho Nacional de Secretários Estaduais de Saúde; do Conselho Nacional

de Secretários Municipais de Saúde; da ANS; e da ANVISA. A Secretaria Executiva da CONITEC é composta pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde e pela Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde.

Como acontece o fluxo de incorporação? A CONITEC trabalha sob demanda. Então, ela recebe um pedido de incorporação de tecnologia e avalia se os documentos daquela submissão estão de acordo com o que é necessário para que se faça a análise para incorporar a tecnologia. A Secretaria Executiva analisa os estudos e as evidências científicas que foram apresentados, comparando com as tecnologias que já existem no SUS ou, se elas não existem, com outros tratamentos que já existem no SUS e que dão suporte ao tratamento daquela doença. Então, ela elabora um relatório sobre a tecnologia em análise e faz uma análise crítica dos estudos apresentados. Esse relatório é submetido ao plenário da CONITEC, que emite uma recomendação e a encaminha para consulta pública. Após a consulta pública, as contribuições são organizadas num relatório. Todas aquelas informações constam do relatório. Em seguida, ocorre uma segunda análise por parte do plenário da CONITEC, que toma a deliberação de recomendar ou não aquela tecnologia. O Secretário da SCTIE acolhe essa recomendação e pode, se julgar necessário, realizar uma audiência pública para debater aquela tecnologia. Por fim, ele decide e publica no Diário Oficial a conclusão do relatório.

Regras para a incorporação da tecnologia. Após a conclusão da deliberação da CONITEC, nós temos 180 dias para que aquela tecnologia seja disponibilizada no SUS. Nesse período, então, são elaborados o protocolo clínico e as diretrizes terapêuticas. A tomada de decisão feita pela comissão leva em consideração quatro dimensões principais para uma avaliação de tecnologia em saúde. A primeira é a dimensão clínica, em que se avalia principalmente a segurança e a eficácia dessas tecnologias, as indicações que foram elencadas e a real população beneficiada pela tecnologia; na dimensão econômica, são importantíssimas as questões da eficiência da tecnologia, do impacto orçamentário, além de outros custos relacionados à doença e à tecnologia; na dimensão organizacional, avalia-se como será a difusão e o acesso dessa tecnologia ao SUS; na dimensão do paciente, avalia-se o impacto social, a adesão e a aceitabilidade dessa tecnologia a ser incorporada.

Levando em consideração todas essas dimensões, é elaborado um relatório técnico. Nesse relatório, são descritos a doença e a tecnologia. Também são analisadas as evidências apresentadas e especificados os critérios utilizados para avaliar essas evidências. O que seria isso? Refiro-me à qualidade do estudo, à graduação da qualidade do estudo apresentado e às experiências internacionais, ou seja, se outros países utilizam essa tecnologia e se outras agências de avaliação de tecnologias em saúde — ATS recomendam ou não a utilização dessa tecnologia. Depois disso, há uma sessão de monitoramento do horizonte tecnológico, na qual são investigadas as tecnologias emergentes, aquelas que ainda não chegaram ao mercado, mas que estão em estudo clínico, em fase dois, em fase três, que estão para chegar ao mercado, ou medicamentos para enfrentar aquela doença que já possuem registro em outras agências sanitárias. Então, é preciso saber, após a recomendação ou não dessa tecnologia, quais outras estão para chegar ao mercado. Nesse relatório aparecem também a recomendação da CONITEC, os resultados da consulta pública e a deliberação final. Esse relatório é baseado em métodos amplamente difundidos, em termos de experiências de outras agências internacionais e dos nossos especialistas em ATS nacionais.

Nós também publicamos diretrizes metodológicas, que nos guiam em como fazer uma correta análise de evidências, como fazer o monitoramento do horizonte tecnológico, como fazer estudos de custo, como fazer avaliações econômicas. Tudo isso é público. Nós publicamos o relatório da forma como ele foi elaborado e interpretado pelo plenário.

Dados da CONITEC desde a sua criação, há dez anos. Já realizamos 117 reuniões, sendo 108 ordinárias e 9 extraordinárias. Recebemos mais de mil demandas de avaliação de tecnologias. A maior parte das demandas é interna, as próprias secretarias finalísticas do Ministério da Saúde nos demandam, mas recebemos também demandas externas. O que são demandas externas? São as demandas feitas pelos laboratórios detentores da tecnologia, pelas sociedades médicas, pelas associações de pacientes. Então, essas demandas podem vir de várias entidades. A maior parte de tecnologias demandadas é de medicamentos, mas também recebemos demandas de procedimentos e de produtos. A maior parte das nossas recomendações — 55% delas — foi para a incorporação de tecnologias.

Transparência e participação social. Todos os nossos dados estão disponíveis no *site* da CONITEC. A partir de 2020, as gravações de todas as reuniões estão sendo disponibilizadas. Incentivamos os pacientes a compartilhar conosco suas experiências com a tecnologia que eles utilizam. Fazemos também relatórios para a sociedade, divulgando informações mais simplificadas sobre as decisões tomadas.

Especificamente no tratamento da amiloidose no SUS, nós temos disponível um relatório recomendando a incorporação do tafamidis para tratar a amiloidose. Esse medicamento foi incorporado em janeiro de 2018. Houve uma nova submissão do tafamidis meglumina, em março de 2021, para tratar pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina.

Mas, dessa vez, a decisão do plenário foi de não incorporar o tafamidis meglumina. O plenário da CONITEC esclareceu que o motivo principal dessa não incorporação foi o preço elevado dessa tecnologia, já que o impacto orçamentário foi estimado em 31 milhões de reais no primeiro ano de incorporação. No horizonte temporal de 5 anos, com a disseminação dessa tecnologia para os pacientes, o impacto estimado seria de 1,46 bilhão de reais.

Atualmente, a incorporação de uma nova tecnologia está sendo avaliada. Trata-se da inotersena — o Tegsedi —, que está sendo indicada para pacientes adultos em estágio 2 e para pacientes em estágio 1 que não respondam ao tafamidis. A previsão é que essa tecnologia seja avaliada agora, no próximo plenário da CONITEC, em julho de 2022.

Essas são as informações breves que eu trago. Fico à disposição também para perguntas.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Sra. Luciene, pela sua participação e pelas explicações. Concedo a palavra à Sra. Liana Cláudia, por 10 minutos.

A SRA. LIANA CLÁUDIA URIARTE FERRONATO - Desejo uma boa tarde a todos, e agradeço o convite.

Cumprimento o Dr. Marcus Simões, que é muito querido por nós, pacientes portadores de amiloidose cardíaca, e todos os participantes desta audiência.

Estou na minha casa. Ao fundo está a logomarca e o nome da Associação Brasileira de Amiloidose Hereditária, a qual represento. Sou branca, uso óculos, tenho cabelos escuros e estou com uma camisa azul.

Meu nome é Liana e hoje represento a ABPAR — Associação Brasileira de Paramiloidose Hereditária, na função de Presidente. Fazemos o acompanhamento do paciente e dos familiares desde o encaminhamento para o teste genético até, posteriormente, para o centro de referência, onde profissionais que conhecem o tema podem ajudar de forma eficiente um paciente raro. Desta forma, destaco a importância da ABPAR na prestação de serviços relevantes à saúde pública no Brasil. Como vocês estão cientes, pois já foi dito aqui, trata-se de uma doença grave, incapacitante e fatal. Eu perdi mãe, tios e primos... *(Pausa.)*

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - O som não está saindo.

A SRA. LIANA CLÁUDIA URIARTE FERRONATO - Desculpe, bati no botão sem querer.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Fique à vontade.

A SRA. LIANA CLÁUDIA URIARTE FERRONATO - Perdi mãe, tios e primos para a amiloidose cardíaca. Eu também possuo a mutação. Convivo com muitos casos na minha família e na associação que eu represento.

Conforme foi dito aqui, o Brasil oferece hoje uma única opção de tratamento para a amiloidose, atendendo apenas às mutações com prevalências neuropáticas. Essa opção é o tafamidis meglumina de 20 miligramas, indicado para os pacientes que têm esse fenótipo no estágio 1 da doença. Muitas vezes, essa medicação não atende às necessidades desses pacientes, o que afeta sobremaneira a sua saúde, uma vez que a doença não para de evoluir para quadros mais severos.

Além disso, repetidas vezes ocorrem falhas no sistema de fornecimento do tafamidis, seja pelo atraso do Ministério da Saúde na compra e distribuição, seja pela falha das Secretarias de Saúde estaduais em solicitar esse medicamento e em colocá-lo nas farmácias de alto custo no prazo estabelecido. Isso tem gerado o agravamento da doença dos pacientes e, às vezes, tem até custado a vida deles. A ABPAR precisa acompanhar constantemente esse fornecimento, pois as falhas não param de acontecer, principalmente nos Estados de São Paulo e Pernambuco, e às vezes em Minas Gerais também. Mas em São Paulo e em Pernambuco é constante o atraso na entrega do tafamidis para esses pacientes. Nós temos buscado sempre informações junto ao Ministério e ao laboratório para entender por que isso está acontecendo, mas esta é uma situação bastante repetitiva e muito grave. Os pacientes lutam pelo direito de conseguir esse medicamento de uso contínuo, e é vergonhoso nós termos que ouvir sempre as mesmas desculpas.

Como já foi falado aqui, existem outros tratamentos disponíveis para esses casos. Aliás, eles já foram aprovados pela ANVISA há quase 2 anos, mas ainda esperam decisão do parecer técnico da CONITEC para serem incorporados no SUS. Por isso, os pacientes estão entrando com ação judicial para ter acesso a esses tratamentos. Nós temos muitos relatos do desespero e do sofrimento de pacientes que, com o agravamento da doença, mesmo com o uso do tafamidis de 20 miligramas, têm entrado na justiça contra planos de saúde ou contra o Governo, na tentativa de obter esses novos tratamentos que já estão aprovados pela ANVISA e que são opção terapêutica para o caso deles.

No caso da amiloidose com fenótipo cardíaco, em 2021 foi rejeitada a incorporação do tafamidis com dosagem ajustada para 80 miligramas, conforme acabou de falar a Luciene. Essa posologia é consenso entre especialistas em amiloidose cardíaca no mundo todo, conforme o Dr. Marcus falou aqui. Por isso, a indústria fabricante submeteu novamente o pedido de incorporação de tecnologia para tratar desses pacientes que hoje se encontram totalmente desprovidos de opção

terapêutica. Na ocasião em que se avaliou a incorporação de 80 miligramas no rol de medicamentos dispensados pelo SUS, levou-se em conta mais o impacto orçamentário do que a vida das pessoas. Além disso, erroneamente se considerou o caso como apenas uma cardiopatia que pode ser enfrentada com outros tratamentos conhecidos.

Eu preciso tratar também da alegada falta de estudos. Conforme a Luciene acabou de falar, faltam evidências científicas. Porém, deve-se considerar que se trata de uma doença rara, o que torna difícil fazer o estudo de muitos casos. Então, essa é uma explicação para a falta de evidências científicas.

Nós criticamos a decisão de não incorporar o tafamidis de 80 miligramas porque, primeiramente, o impacto no orçamento da União já acontece, quando o paciente deixa de ser produtivo por estar em constante processo de atendimento médico e hospitalar. Muitas vezes, ele necessita de um cuidador, que quase sempre é um familiar e que também deixa de exercer seu trabalho, não contribuindo mais socialmente. Além disso, não se pode tratar dos sintomas sem antes tratar da causa.

Essa não é uma simples cardiopatia. Ao se tratar a amiloidose cardíaca como uma simples cardiopatia, ela vai continuar evoluindo, apesar dos melhores medicamentos que existem hoje para cardiopatia. O Dr. Marcus Simões pode falar melhor do que eu sobre isso. Neste momento, falo como paciente e como pessoa que perdeu familiares para essa doença.

A demora na tomada de decisão para incorporar essas terapias tem custado vidas e dinheiro. Além disso, demonstra o lamentável descomprometimento com o cidadão, que tem seu direito à vida negado por falta do atendimento de saúde.

Essas terapias estão sendo usadas por pacientes do mundo todo já a partir dos primeiros sintomas, o que torna o atendimento mais eficiente e menos doloroso, além de menos oneroso.

Conforme o Dr. Marcus falou, a história da nossa colonização fez com que as formas portuguesa e africana das mutações genéticas sejam as mais comuns no Brasil. O País herdou essa patologia com um número expressivo de portadores de mais de uma mutação genética. Além da portuguesa e da africana, das quais falou o Dr. Marcus Simões, nós temos outras variantes, com outras origens, que também representam um número significativo de pacientes hoje no Brasil.

Nós somos endêmicos em amiloidose hereditária, mas a doença parece invisível aos olhos do poder público, que é responsável pela saúde. É necessário termos disponível mais de uma terapia, pois a doença se apresenta com diferentes formas e graus de acometimento. Conforme falou nossa colega Mônica, há o estágio 1, o estágio 2, a amiloidose com fenótipo cardíaco, a amiloidose com fenótipo polineuropático. Esses são os diferentes tipos de uma mesma doença, que se chama amiloidose hereditária, mas que apresenta perfis diferentes e necessita de tratamentos diferentes.

A amiloidose hereditária associada à transtirretina causa grande sofrimento às famílias afetadas, e não há forma de ser tratada, senão com o apoio do Governo. O custo do medicamento é impraticável para uma pessoa, mas para a União fica mais barato fornecer esse tratamento, porque o paciente já vai demandar do SUS todo o acompanhamento, ao longo da evolução da doença, sem falar nos custos previdenciários que certamente se ajuntam a essa questão.

Por fim, quero deixar claro que toda essa minha argumentação é a parte racional do que se discute aqui hoje. Mas o que realmente nos afeta é o lado humano, emocional e moral dessa necessidade urgente de salvarmos vidas ou, ao menos, de tratá-las com o mínimo de dignidade a que todos nós temos direito.

Eu sempre pergunto: e se fosse com vocês ou com pessoas que vocês amam? Esse é o questionamento que eu deixo aqui hoje para quem vai tomar essa decisão sobre a incorporação do medicamento. Seja uma vida, sejam dez vidas, não sei se faz diferença para alguém, mas toda vida importa. Para nós toda vida importa.

Eu agradeço muito a oportunidade. Foi um prazer falar por todos os pacientes, assim como por mim também, acerca dessa necessidade de tratamento. Obrigada.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Sra. Liana Cláudia, pela sua participação, pelo relato com relação a esta doença para a qual a senhora perdeu membros da sua família. Aliás, a Monica também perdeu uma pessoa da família para essa doença tão grave. Expresso aqui a minha solidariedade a vocês e agradeço muito pela sua participação.

Concedo a palavra com prazer à Sra. Dília Sávila de Sousa Falcão, da Secretaria de Saúde do meu querido Estado do Piauí, por 10 minutos.

A SRA. DÍLIA SÁVILA DE SOUSA FALCÃO - É um prazer estar presente, Deputada Rejane Dias.

Agradeço o convite para participar desta audiência e cumprimento os demais membros desta bancada, representados pelo Dr. Marcus Simões.

Quero dizer aos portadores de deficiência visual que eu sou loura, estou usando uma jaqueta quadriculada com uma blusa preta por dentro. Sou enfermeira de formação e estou na Secretaria de Saúde do Estado do Piauí com a Jéssica, que é

minha técnica do trabalho e que também é enfermeira. Ela usa óculos, tem cabelo castanho-claro — às vezes, é ruivo, não sei — e está usando uma blusa vermelha.

As explanações foram perfeitas e mostraram que a doença é realmente grave, silenciosa e de rápida devastação. Mostraram, principalmente, que o diagnóstico desta doença rara não é fácil. Sabemos que diagnosticar a amiloidose é difícil. Como gerente de atenção primária, precisamos trabalhar os princípios do SUS, que são a prevenção e a promoção. Sabemos que a cura de toda doença precocemente diagnosticada tem uma chance maior de êxito. O que não pode ocorrer é as pessoas portadoras dessa doença virem a óbito. Elas precisam ter um diagnóstico precoce, mesmo que ele seja tão difícil. Após esse diagnóstico, elas precisam ser tratadas, acompanhadas, monitoradas e avaliadas por uma equipe.

Sabemos que essa doença exige medicamentos excepcionais e, embora ela não faça parte da atenção primária, o processo começa na atenção primária, sim. Como essa doença é hereditária, as pessoas procuram a atenção primária para fazerem o planejamento familiar. É para lá também que vai a pessoa portadora daquela doença cardíaca que não sabemos se é amiloidose. Depois que a pessoa é diagnosticada com essa doença pelo especialista, ela vai ser considerada uma cardiopata e vai voltar para as nossas unidades básicas de saúde, vai voltar para o acompanhamento dentro das estratégias de saúde da família. Lá, nossas equipes da atenção primária estarão de braços abertos para acompanhar, para avaliar qualquer sintoma, para realizar qualquer encaminhamento, para acompanhar e monitorar.

Nós precisamos entender, como muito bem foi dito, que há vários tipos de amiloidose. Não é só uma. Além disso, ela não afeta só um órgão, ela afeta vários órgãos. Precisamos saber do que se trata. Só existe tratamento com essa medicação? E as demais? E as pessoas que adquirem as outras formas da doença, que progridem para aquela forma? E as outras pessoas que chegam a óbito?

Nós vimos exemplos de pessoas que passaram por essas dores. Sabe-se lá quantas pessoas são diagnosticadas, têm amiloidose e sofrem com as consequências das sequelas dela e não conseguimos descobrir. E elas não conseguem ser tratadas. Precisamos entender os princípios do SUS de universalidade e integralidade, e precisamos garantir o atendimento a essas pessoas. Nós somos seres humanos. Nós trabalhamos em prol da saúde da nossa população. Nós somos profissionais de saúde, estamos juntos nessa luta para fortalecer mais ainda essas ações, para diagnosticar precocemente essa doença. É uma doença de difícil diagnóstico, nós sabemos. O Dr. Marcus explicou isso brilhantemente, e foram feitas explanações pelos nossos outros amigos da bancada sobre a real necessidade de diagnosticar precocemente essa doença e tratá-la, não somente um tipo, mas todos os tipos.

Todos nós merecemos a vida, merecemos ter o tratamento que realmente precisamos para as doenças diagnosticadas. É preciso ampliar esse tratamento. Precisamos ampliar esse conhecimento, precisamos colocar o assunto ainda mais em pauta para fortalecermos a atenção e a prevenção à amiloidose, para que se possa diagnosticar mais esses casos no País, para conseguirmos garantir o acesso a esse tratamento de todos que necessitam.

Não é fácil ter uma pessoa na família com uma doença rara, uma doença grave, uma doença que pode levar a óbito se o medicamento não estiver disponível para controlá-la e tratá-la no momento que for necessário. Liana, precisamos ampliar mais e fortalecer mais esse tratamento da amiloidose no nosso Estado.

Muito obrigada, Deputada Rejane Dias, pelo convite para participar deste momento ímpar, deste momento de luta contra mais uma doença. Precisamos batalhar por mais tratamento para a saúde do nosso País.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Dra. Dília, pela sua contribuição.

Quero fazer um breve comentário sobre as falas e sobre o motivo de estarmos aqui.

A Fabiana, assessora no meu gabinete, foi procurada por pacientes e por seus familiares para saber sobre o tratamento da amiloidose no Brasil. Esse é o motivo maior, o objetivo maior desta audiência pública.

Hoje, ouvi atentamente as apresentações e confesso que eu não conhecia praticamente nada dessa doença, até porque é uma doença rara. Nós debatemos e discutimos esse assunto no âmbito da Comissão de Defesa dos Direitos da Pessoa com Deficiência, que é uma Comissão de mérito. Ele poderia ser debatido também na Comissão de Seguridade Social e Família, da qual também sou membro, mas nós apresentamos requerimento para esta Comissão.

Fazendo uma síntese de tudo aquilo que consegui absorver, há uma enorme preocupação com essa doença, por ser muito complexa e de difícil controle, como foi dito aqui por vocês. É uma doença que, se não for tratada, mata rápido. A sobrevivência é de 3 a 4 anos, se ela não for controlada e se não houver acesso a essa medicação, como foi dito aqui pela Dra. Dília.

A Sra. Liana disse que perdeu a mãe e um irmão, e, pelo que entendi, ela tem essa doença, que pode vir a se desenvolver. Eu não sei ainda se chegou a se desenvolver.

Eu também ouvi a fala da Mônica, que perdeu um membro da família.

Gente, isso é muito doloroso mesmo. É como se, pelo fato de ter alguém doente na família, você herdasse esse gene que pode se desenvolver. Se não cuidar, você pode ser a próxima. É muito complexo isso.

Esta Comissão tem como um dos seus objetivos primordiais criar esse canal de diálogo com representantes do Governo Federal. Quero agradecer a presença dos representantes do Ministério da Saúde e da ANVISA, que são os órgãos que conversam sobre esse tipo de patologia, são os órgãos responsáveis por isso. Eu ouvi a fala deles sobre as fases de aprovação desses medicamentos, sobre a questão das evidências, e entendi essa parte.

Confesso a vocês que é muito doloroso ouvir testemunhos como os que nós acabamos de ouvir. É uma doença degenerativa que mata muito rápido. O pior é que a pessoa vai definhando até chegar a uma situação como essa, em que a qualidade de vida é extremamente prejudicada. Se ela trabalha, deixa de trabalhar. Depois, a pessoa vai ter que pagar um cuidador, além do custo com o medicamento, que é caríssimo. Se ela não tiver condições de pagar um cuidador — que é um custo a mais —, alguém da família vai ter que cuidar. Mas essa pessoa da família talvez tenha que deixar de trabalhar também para cuidar do portador dessa doença rara. Então, é algo muito complexo mesmo.

Ao finalizar esta minha fala, quero lhes dizer que estou extremamente sensível a essa causa das famílias. Isso engloba todos da família. Quando alguém é portador dessa doença, toda a família sofre muito com esse tipo de problema. Realmente, é algo extremamente doloroso.

Em nome da Comissão dos Direitos das Pessoas com Deficiência, em nome dos membros que têm assento nesta Comissão, que são extremamente sensíveis a essa causa, eu posso dizer que vocês podem contar com a nossa ajuda, podem contar com a nossa contribuição. Se tivermos que fazer algum projeto de lei, nós vamos fazê-lo.

Dr. Marcus, é muito interessante escutarmos os especialistas, que nos trazem as ideias.

Se for no âmbito do Legislativo, de repente, nós podemos fazer algum projeto de lei, legislar sobre alguma coisa. Quem está falando aqui são os especialistas, são vocês que estão aí na ponta, são os médicos, que podem até dar sugestões. Nós ficamos observando bem, assim como a nossa equipe, para poder pegar algumas ideias e, quem sabe, transformá-las em algum projeto de lei.

Ao mesmo tempo, criamos essa ponte, esse canal. Eu creio que, se alguém estiver pelo Youtube neste momento nos assistindo, que é acometido por essa doença, ou algum familiar, e não sabia dessas informações trazidas aqui pelos representantes do Governo Federal, agora passa a saber. É um canal de transparência que nós buscamos ter com o público que está também nos assistindo. E é um canal de cobrança aos órgãos responsáveis. Essa é uma maneira de nós podermos ajudar, contribuir. Eu acho que o papel do Legislativo, o papel desta Comissão é colaborar no sentido de amenizar o sofrimento da nossa população.

Eu também sou mãe. Eu tenho uma filha com deficiência, com autismo. A deficiência dela é grave, é séria. Ela tem 21 anos e não fala. Para comer, precisa de cuidadores. Usa fralda descartável. Então, eu entendo perfeitamente o que passa muitas dessas famílias que têm no âmbito — vamos dizer assim — familiar pessoas que necessitam realmente de cuidados.

Eu quero aqui, mais uma vez, reafirmar todo o nosso compromisso de estarmos juntos com vocês, porque essa causa é muito justa e tem que ser resolvida o mais rápido possível, para que vocês possam ter acesso a outros medicamentos que estão sendo analisados pela CONITEC, pelos órgãos colegiados junto com o Ministério da Saúde. Quem sabe nós consigamos, através dessa reunião, não sei, acelerar o mais rápido possível e sensibilizar — eu sei que vocês são sensíveis — quem faz parte aqui desse colegiado. Vocês estão acompanhando de perto. Vocês escutam famílias que vão lá, entidades que fazem essa cobrança e também conhecem esta realidade.

Então, era isso que eu gostaria de dizer. Mais uma vez, podem contar com todo o trabalho desta Comissão.

Bom, neste momento teríamos a participação dos Parlamentares, mas nenhum se inscreveu para participar desta audiência.

Pergunto aos nossos assessores se houve alguma pergunta pelo e-Democracia. *(Pausa.)*

Não houve.

Então, vamos caminhar agora para as nossas considerações finais.

Não havendo mais inscritos, passarei a palavra aos nossos palestrantes, para que façam as suas considerações finais, por 5 minutos.

Tem a palavra o Sr. Marcus Vinícius Simões, por 5 minutos. Vamos iniciar pelo senhor. Muito obrigada pela sua participação.

O SR. MARCUS VINÍCIUS SIMÕES - Eu que agradeço imensamente. Acho que está sendo discutido aqui algo muito importante e que, sem dúvida, pode mudar a vida de muitas pessoas. Eu acho que isso é muito relevante.

Eu gostaria de usar esse tempo para lapidar ou para salientar alguns conceitos muito importantes.

O primeiro deles é o seguinte: a amiloidose, na verdade, não é uma única doença, é um complexo de doenças. Na amiloidose por transtirretina o paciente pode ter a polineuropatia, apresentar dores neuropáticas, perda de força e alterações autonômicas. Normalmente esse paciente é portador da amiloidose hereditária, que é familiar. É por isso que, muitas vezes, ela é chamada de PAF — Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Para esses pacientes com polineuropatia familiar já existe um tratamento incorporado no SUS, que é o tafamidis de 20 miligramas. Esse é o tratamento inicial principalmente para os pacientes com as formas mais iniciais da doença. O que se pleiteia, então, para aqueles pacientes que não estão respondendo ao tratamento, que a evolução está acontecendo apesar do uso do tafamidis, é que se incorporem outras drogas mais potentes, que são silenciadoras de síntese de transtirretina no fígado, como já foi comentado aqui, que, logicamente, é algo muito importante.

Mas não podemos esquecer os pacientes que têm a cardiopatia. Eu acho que a discussão principal desta tarde seria a cardiopatia amiloidótica. A cardiopatia pode surgir como manifestação no paciente hereditário — seria, portanto, uma doença hereditária, uma cardiomiopatia amiloidótica familiar —, mas também pode surgir em paciente sem acometimento hereditário, sem mutação, que é o paciente selvagem ou *wild type*. Curiosamente, acredita-se que esse paciente hoje seja mais frequente, mais comum do que o caso hereditário, familiar, porque isso está ligado ao envelhecimento, e a nossa população está envelhecendo. Então, todos os grandes centros que lidam com amiloidose no mundo inteiro têm registrado um aumento exponencial na detecção de casos de amiloidose cardíaca na forma selvagem ou *wild type*. É preciso lembrar que nessa forma o envolvimento é praticamente exclusivo do coração.

Para essa forma de doença causada pela transtirretina, a amiloidose por transtirretina, principalmente na forma *wild type*, que é a mais comum, não existe nenhum tipo de tratamento aprovado no Brasil. O tratamento é feito através da indicação. Então, usando-se a indicação de cardiomiopatia por amiloidose, por ser transtirretina, nós não temos a aprovação do tafamidis na dose correta de 80 miligramas, que foi autorizada, aprovada na ANVISA para uso no Brasil e é a dose recomendada nas nossas diretrizes internacionalmente.

Então, para o paciente que tem como manifestação a cardiopatia não há tratamento aprovado, independentemente de o caso dele ser hereditário ou *wild type*, que é o selvagem não mutado. Lembramos que para esse paciente ligado a essa forma selvagem, que é o não hereditário, há várias evidências muito fortes de que ele seja mais comum do que o paciente hereditário. Muitos cardiologistas do nosso centro e da Sociedade Brasileira de Cardiologia, que tem centros de investigação de amiloidose, estão registrando muitos casos de amiloidose cardíaca, com insuficiência cardíaca na forma selvagem, e não temos o que fazer em termos de tratamento porque não há nada aprovado, que seria pelo menos o tafamidis de 80 miligramas.

Por isso, precisamos ter um foco, porque eu acho que a forma mais conhecida da doença, que é a forma familiar, hereditária, é, sem dúvida, uma doença muito importante, que, digamos assim, agrega pacientes em associações, como a ABPAR, onde a Liana faz um trabalho fantástico com os portadores da doença.

Mas existe outro conjunto de pacientes que estão completamente invisíveis, e nós precisamos também falar deles. Refiro-me aos portadores de amiloidose cardíaca selvagem, na forma *wild type*. Lembro que essa forma de amiloidose por transtirretina praticamente só acomete o coração, ela não faz neuropatia de forma saliente. E esse paciente, curiosamente, é o que tem pior prognóstico. São esses com cardiopatia amiloidótica por transtirretina que têm o pior prognóstico, e nós estamos completamente desguarnecidos. Não há tratamento para essa indicação aprovada na dose certa, que é de 80 miligramas. É isso que eu gostaria, então, de reforçar.

Obrigado.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Sr. Marcus Vinícius.

Eu peço a você, Liana, que me corrija, se entendi errado. Acho que a Luciene poderia até responder. Pelo que entendi há uma demora excepcional também na entrega desse medicamento para os pacientes, não é isso? Acho que você falou alguma coisa nesse sentido. Acredito que a representante do Ministério, a Sra. Luciene, poderia responder acerca desse questionamento.

Tem a palavra a Sra. Monica, por 5 minutos, para fazer suas considerações finais.

A SRA. MONICA VIEIRA ADERALDO - Boa tarde.

Renovo aqui os meus agradecimentos a todos e quero dizer também, Deputada, que a amiloidose é uma doença tardia. Ela não se manifesta na infância. Ela se manifesta tardiamente porque é uma doença de acúmulo. Por conta disso, o diagnóstico é difícil e também tardio.

Escutando aqui as palavras do Dr. Marcus Simões, eu queria dizer que é preciso ter tratamento não só para a fase 1, mas também para a fase 2, porque na fase 3, como vocês sabem, não existe mais nenhum tipo de tratamento, a não ser o transplante.

Nesta fala eu quero fazer um pedido à Dra. Luciene, que está aqui. Ela já sinalizou em sua fala que em julho, talvez, haja a família testemunho. Estamos aguardando o tratamento tanto para a fase 2 como para a fase 1, quando o tafamidis não é indicado. Já existe dentro da CONITEC um processo para que tivéssemos tratamento para a fase 1, que o tafamidis não atende, e também para a fase 2, que seria feito com o Tegsedí, como foi falado pelo doutor.

Pedimos à Dra. Luciene que nos dê alguns esclarecimentos, porque já faz bastante tempo que foi dada entrada a esse processo para a incorporação, para a avaliação da CONITEC, e não temos mais notícias se vai ser e quando vai ser incorporado. E essa doença realmente tem muita pressa. É uma doença que não pode esperar tantos trâmites. Depois que foi vista a família e escutado o paciente, ainda será necessário passar por um processo de consulta pública. Sabemos que esse processo é demorado. E, mesmo que seja recomendado, há o tempo para a implantação, que, como a doutora disse, é de 180 dias mais 90 dias. E da recomendação, da incorporação até chegar à ponta o paciente não vai conseguir esperar.

Eu peço à Dra. Luciene que nos ajude. A segunda reunião será em julho, porque junho já acabou. Pedimos que essa questão seja uma das primeiras a serem tratadas, escutadas.

Então, deixo aqui esse pedido, essa solicitação, porque, como todos falaram, nós tratamos de vidas, de humanização dentro da saúde, e não de preço. Peço que isso seja revisto e que seja trazida para a primeira reunião de julho essa ouvida dessa família testemunho.

Muito obrigada.

Era o que eu queria dizer.

Agradeço mais uma vez.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Nós é que agradecemos à Monica a participação.

Agora, passo a palavra ao Sr. Romilson de Almeida, por 5 minutos, para as suas considerações finais.

O SR. ROMILSON DE ALMEIDA VOLOTÃO - Gostaria de parabenizar esta Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência por tratar de um tema tão importante para os pacientes e as famílias que sofrem com a amiloidose, ou, como foi dito aqui, com as amiloidoses, porque amiloidose não é uma só, são muitas.

O reconhecimento da importância desta audiência eu dirijo à Deputada Rejane Dias, autora do requerimento que nos possibilitou estar aqui hoje, trazer informações, ouvir os colegas palestrantes, os quais eu parabeno, pois trouxeram informações muito importantes.

Gostaria também de consignar a minha confiança a esta Casa Legislativa, a Câmara dos Deputados, que é o símbolo da democracia brasileira, que é a Casa do povo brasileiro e que sempre escuta aqueles que mais precisam, que mais necessitam, aqueles que estão sofrendo e precisam que o Estado atue em prol deles.

Agradeço à Deputada.

Parabeno os nossos palestrantes e a eles agradeço.

Encerro por aqui, agradecendo também a participação dos telespectadores que nos acompanharam pela *TV Câmara* e pelo canal do Youtube.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Nós é que agradecemos imensamente ao Sr. Romilson a participação e a contribuição, pois trouxe informações valiosas ao nosso debate.

Agora, concedo a palavra à Sra. Luciene Fontes, por 5 minutos.

A SRA. LUCIENE FONTES SCHLUCKEBIER BONAN - Muito obrigada, Deputada.

Primeiramente, registro a minha solidariedade a todos os pacientes que sofrem com essa doença, que é grave, que é incapacitante, e a seus familiares. Nós realmente conhecemos o perfil da doença e nos solidarizamos com todos.

Gostaria de ressaltar alguns pontos. Haverá uma revisão e uma atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da amiloidose. Isso foi priorizado pelo Ministério. Está no nosso rol dos PCDTs prioritários.

Respondendo à Dra. Monica, sim, há submissão à CONITEC do inotersena para tratar pacientes que não respondem ao tafamidis ou pacientes em fase 2 da doença. Ele será avaliado, conforme submissão, na próxima reunião da CONITEC, que acontecerá na primeira semana de julho.

O Dr. Romilson comentou que, pela ANVISA, ainda existe outro medicamento registrado, o patisiran, que já foi precificado e já está apto à comercialização no mercado. Mas, como ainda não foi apresentada demanda dele à CONITEC, a CONITEC não o avaliou. Como eu disse, ainda não existe demanda desse medicamento para a CONITEC.

Como conclusão, vou retomar a minha fala inicial sobre a tomada de decisão na CONITEC. Na tomada de decisão avaliam-se as evidências, mas não se avalia o papel necessariamente em números. Faz-se uma avaliação crítica da evidência justamente para salvaguardar o paciente desta doença. Então, o Ministério da Saúde precisa recomendar uma tecnologia que de fato seja eficaz e segura.

No momento que nós avaliamos essa questão em termos de evidências e de resultados clínicos, e esses resultados clínicos são suficientes, são importantes, são relevantes, há uma outra dimensão, que é a parte de custos. Mas não é o custo em si, porque o medicamento é de alto custo, sim, e para a doença rara, uma parte dos medicamentos é de alto custo de fato. Nós temos um orçamento limitado, e, quando se avalia em termos de custos, isso é feito através do princípio do custo/opportunidade.

Então, se eu tenho uma doença que tem um medicamento de alto custo, e esse custo é muito elevado ao sistema, outros pacientes e até o paciente dessa mesma doença vão deixar de ter acesso a outras tecnologias, a outros tratamentos assistenciais. Nessas dimensões, são tomadas as decisões no Plenário da CONITEC.

Quanto à pergunta que a Presidente da Mesa nos direcionou sobre o atraso na entrega, comentado pela Dra. Liane, essas questões não são tratadas pelo nosso departamento. Então, eu não tenho conhecimento sobre isso para dar uma resposta correta aos senhores. Mas, como a Deputada Rejane nos colocou, esta Comissão pode ser um canal realmente entre os pacientes e o Governo. Eu vou levar esta questão à nossa Secretária de Ciência e Tecnologia e já nos coloco à disposição para respondê-la em breve, tão logo tenhamos uma resposta.

Muito obrigada a todos.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Sra. Luciene, representando aqui o Ministério da Saúde. Eu acho que foram muito importantes esses esclarecimentos e as suas considerações finais.

A pergunta que eu fiz não era propriamente sobre a competência da CONITEC, mas eu fico feliz em saber que a senhora vai levar a questão ao conhecimento de quem pode resolver. Nós estamos aqui para ajudar nesta Comissão, e creio que principalmente o Ministério da Saúde é imprescindível neste papel de ajudar essas famílias e essas pessoas que sofrem com essa doença incapacitante, grave, que mata.

Muito obrigada mais uma vez.

Agora, concedo a palavra à Sra. Liana Cláudia, por 5 minutos.

A SRA. LIANA CLÁUDIA URIARTE FERRONATO - Eu quero ressaltar a acolhida e a sempre boa recepção da CONITEC a essa causa toda dos tratamentos.

Eu entendo que a Sra. Luciene não teria mesmo como responder a essa questão dos atrasos. Eu nem coloquei isso aqui como uma forma de cobrança à CONITEC, ao pessoal da SCTIE, da CMED. Eu sei que isso não cabe a eles, mas é importante colocarmos aqui a situação como está hoje, porque esses atrasos vêm se repetindo constantemente, são atrasos de 3 meses. No ano passado, o atraso foi de 6 meses, e falta tratamento para os pacientes. Esses atrasos comprometem demais o tratamento dos pacientes e agravam demais o quadro deles. Então, eu não quero culpar a CMED, nem a CONITEC, nem a SCTIE por isso, porque eu sei que essa questão não cabe a eles. Pelo contrário, todas as vezes que solicitei uma participação deles eu fui atendida prontamente, fui muito bem ouvida e muito bem recebida.

Então, na pessoa da Luciene, eu agradeço à Vania Canuto por ter nos recebido, à Priscila Louly por ter acolhido e recebido para essa conversa. Temos tido realmente uma abertura muito grande na CONITEC. O trabalho deles está muito bacana hoje, no sentido de ouvir nossa necessidade, de entender e de nos explicar questões como essa que a Luciene acabou de explicar do custo do medicamento. Realmente nós entendemos assim: *"Ah, achou caro, não quer comprar para os pacientes"*. É uma visão bem leiga pensarmos assim.

Agradeço a explicação à Luciene e, mais uma vez, o esclarecimento que esta Casa e a CONITEC sempre nos fornecem. Eu só tenho palavras de gratidão e sei que a coisa está andando. Eu tenho acompanhado isso.

Esperamos uma solução para a questão do tafamidis, na dosagem de 80 miligramas, do Tegsedi, agora inotersena, e também do patisiran, que é um medicamento muito importante e que apresenta um outro atendimento também, uma outra condição de tratamento que o Dr. Marcus pode até explicar melhor do que eu. São terapias que complementaríamos o atendimento a essa doença. Com elas nós conseguiríamos atender a praticamente todas as formas dessa doença.

Infelizmente a amiloidose selvagem, como o Dr. Marcus colocou, ainda ficaria com essa defasagem, mas a ABPAR também trabalha por esses pacientes. Nós não conseguimos atendê-los de forma tão oficial como atendemos aos pacientes

com amiloidose hereditária mediada por transtirretina hoje, porque nós não temos quadro de pessoal suficiente para isso. Nós somos uma associação sem fins lucrativos, trabalhamos todos como voluntários. Então, fazemos o melhor possível por todos os pacientes e acabamos atendendo até pacientes com amiloidose cutânea, amiloidose AL, ou primária, amiloidose selvagem, dando algum tipo de encaminhamento e orientação para esses pacientes.

Oficialmente a ABPAR hoje luta pela incorporação dessas três terapias, para que se complete um quadro de tratamento realmente eficaz e se coloque o Brasil de igual para igual com os outros países que hoje atendem aos pacientes com amiloidose hereditária com essas medicações que já estão há anos no mercado. Não são terapias novas que apareceram ontem, não são coisas novas. Há pacientes lá que já recebem esse tratamento há 2 anos, 3 anos, 4 anos. Aqueles que entraram nos ensaios clínicos nos outros países já mostraram a eficiência desses medicamentos. Então, está tudo muito comprovado.

Nesse sentido, para nós só falta realmente que o brasileiro tenha acesso também a todas essas terapias de acordo com a necessidade dele. Mesmo com esses que estão aí, às vezes, os pacientes não respondem 100% ao tratamento e precisam de outra opção. Se conseguíssemos incorporar as três opções terapêuticas hoje apresentadas para essa deficiência que existe no tratamento, o Brasil estaria de igual para igual com outros países — eu acho estaria sim —, em termos de oferta de tratamento do Governo ao paciente.

Então, era essa a minha colocação. Só tenho a agradecer a todos aqui. Eu acho que foi tudo muito correto, muito certo. Agora é esperar que realmente aconteça essa incorporação, para que os pacientes tenham acesso ao tratamento adequado, tenham qualidade de vida e que o Brasil dê uma resposta eficiente aos brasileiros que precisam desse tratamento.

Muito obrigada, Deputada, por este momento tão importante. Obrigada aos outros participantes também. Da minha parte, é só gratidão.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Sra. Liana. Nós estamos aqui cumprindo realmente o nosso papel, fazendo a cobrança no sentido de que esses medicamentos sejam incorporados. Todos. Mais uma vez muito obrigada pela sua participação. Foram importantíssimos sua fala e seus esclarecimentos.

Agora eu concedo a palavra à Sra. Dília Sávia, por 5 minutos.

A SRA. DÍLIA SÁVIA DE SOUSA FALCÃO - Tudo já foi bem explanado. Reforçamos a luta em relação ao tratamento precoce, à descoberta precoce da doença, diagnosticada. Para nós da atenção primária, é importante ressaltar essa fase em que se precisa do acompanhamento, do cuidado, do monitoramento, da investigação, da busca ativa de casos, para monitorar essas pessoas.

Que esse tratamento seja o mais brevemente possível inserido, porque essas pessoas precisam continuar a viver. Todos nós queremos a vida, precisamos dela e precisamos reforçar mais ainda a necessidade de disponibilização desse tratamento, não somente para uma delas, mas também para todas.

Deixo aqui meus sinceros agradecimentos por este momento e quero dizer que vamos lutar, vamos trabalhar mais ainda para que essas pessoas tenham acesso a essa medicação no nosso País.

A SRA. PRESIDENTE (Rejane Dias. PT - PI) - Muito obrigada, Sra. Dília, pela sua participação aqui conosco.

Agradeço aos nossos palestrantes pela importante contribuição para esta audiência pública, a todos os servidores e funcionários que também contribuíram para a realização deste evento, aos intérpretes de LIBRAS e a todos os que acompanharam o evento, seja presencialmente, seja virtualmente.

Declaro encerrada esta audiência pública.

Muito obrigada a todos e a todas.

Que Deus nos abençoe.

QUARTO SEM ÁUDIO