



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

**ATA**

## **AUDIÊNCIA PÚBLICA Nº 01/2022**

**Assunto: alfacerliponase para tratamento da lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2 (CLN2) alfacerliponase (Brineura®)**

**Data: 23 de março de 2022**

**Horário: 14 às 17 horas**

**Disponível em: <https://www.youtube.com/watch?v=VrE2KojNuEI&t=10801s>**

A Audiência Pública nº 01/2022, referente ao medicamento alfacerliponase para tratamento da lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2 (CLN2) alfacerliponase (Brineura®), teve início às 14 horas do dia 23 de março de 2022. A audiência pública foi transmitida pelo canal da Conitec no YouTube.

Inicialmente, fizeram-se esclarecimentos a respeito do objetivo da Audiência Pública, o qual seria colher elementos e subsídios que pudessem contribuir para a tomada de decisão acerca da avaliação da tecnologia alfacerliponase para tratamento da lipofuscinose ceróide neuronal tipo 2 (CLN2). Foram recebidos como oradores inscritos, além da indústria farmacêutica demandante da proposta, representantes de pacientes (representados por associações, familiares e cuidadores), profissionais da área da saúde, pesquisadores clínicos e parlamentares. A secretária de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE/MS), Sandra Barros, falou sobre a ocasião e deixou claro que a audiência não interfere na tomada de decisão da Conitec.

Em seguida, a técnica Letícia Paula Leonart Garmatter, do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS/SCTIE/MS), iniciou sua apresentação para contextualizar o processo de avaliação do pedido de incorporação da alfacerliponase no SUS. Declarou não possuir conflito de interesse com o tema e também informou que, durante as reuniões da Conitec, os membros do Plenário declararam não possuir conflito de interesse. Na sequência, foram apresentadas as evidências clínicas consideradas. Foram mostrados os estudos incluídos pela revisão sistemática da literatura, dando-se destaque às duas primeiras publicações do slide (Shulz et al. 2018 e 2019), que se referem ao estudo principal sobre a alfacerliponase, de fase 1 e 2 e extensão, no qual pacientes receberam o medicamento e tiveram os dados comparados com um grupo controle histórico. Foi apresentado um gráfico mostrando a redução na progressão da doença, com efeitos clínicos e estatisticamente favoráveis ao tratamento com alfacerliponase. Foi relatado que o perfil de segurança do medicamento foi considerado adequado. Em seguida, foi iniciada a apresentação das evidências econômicas. Foi apresentado o preço da tecnologia de acordo com proposta inicial do demandante e após a consulta pública. O preço inicial considerou



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

o Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG) com Imposto sobre Circulação de Mercadorias e Serviços (ICMS) de 0%, resultando em um preço por aplicação de R\$ 90.052,56 e um preço anual por paciente de R\$ 2.341.366,00. A segunda proposta de preço considerou PMVG sem impostos, o que foi considerado adequado, uma vez que a aquisição se daria via importação direta, adicionado de um desconto de 11%, resultando em um preço por aplicação de R\$ 71.559,61 e preço anual por paciente de R\$ 1.860.550,00.

Na sequência, foram apresentados os resultados da análise de custo-efetividade, considerando a segunda proposta de preço, que também contou com alterações na análise solicitadas pela Secretaria-Executiva da Conitec. O custo incremental do tratamento com alfacerliponase em comparação com o cuidado de suporte, atualmente disponível no SUS, foi estimado em R\$ 19.947.402,00. O ganho em anos de vida foi de 5,49 e em anos de vida ajustados pela qualidade foi de 5,33. Desta forma, as relações de custo-efetividade incrementais foram de R\$ 3.631.231,00 por ano de vida salvo e de R\$ 3.743.640,00 por ano de vida salvo ajustado pela qualidade. Em seguida, foi apresentada a análise de impacto orçamentário. Foram mostradas as estimativas do número de pacientes tratados por ano, do primeiro ao quinto ano após a potencial incorporação. Os dados apresentados foram referentes a dados internacionais, que haviam sido enviados à agência de avaliação de tecnologias em saúde do Reino Unido, e dados alternativos baseados na opinião de especialistas brasileiros. Os valores estimados variaram de 7 a 23 pacientes do primeiro ao quinto ano, no cenário um, e de 11 a 28 pacientes, no cenário dois. Com a proposta inicial de preço, o impacto orçamentário acumulado em cinco anos foi calculado entre R\$ 173.838.597,00 e R\$ 220.227.666,00. Com a proposta final de preço, o impacto foi calculado entre R\$ 138.577.550,00 e R\$ 175.556.886,00.

Na sequência, foi apresentada a recomendação preliminar da Conitec, desfavorável à incorporação da alfacerliponase para tratamento da CLN2. Para a Comissão, durante a apreciação inicial, ocorrida na 102ª Reunião Ordinária, no dia 6 de outubro de 2021, havia incertezas nas evidências e o custo da tecnologia se mostrou substancialmente elevado.

Em seguida, foram apresentados os resultados da consulta pública. Foram recebidas 2.303 contribuições, sendo mais de 99% favoráveis à incorporação da alfacerliponase no SUS. Durante a consulta pública, familiares, cuidadores e profissionais de saúde citaram diversos benefícios do tratamento, uma vez que já há pacientes que usam a alfacerliponase no Brasil. A redução ou interrupção das crises convulsivas foi o benefício mais citado. Além disso, a estabilização da doença, melhora na fala e vocalização, firmeza muscular, melhora na locomoção, entre outros, também foram mencionados. Como pontos negativos, a demora ao acesso ao medicamento e os episódios de vômito durante a infusão do medicamento. Durante a consulta pública também foi enviada nova proposta de preço, previamente apresentada.



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

Após a consulta pública, os membros da Conitec se reuniram novamente, na 105ª Reunião Ordinária do dia 9 de fevereiro de 2022, para avaliar as contribuições, e proferiram a recomendação final de não incorporação. Mesmo com evidência clínica adequada e suficiente para mostrar os benefícios clínicos da alfacerliponase ao se ponderar a gravidade da doença, sua raridade, e o alto desempenho do medicamento em modificar a história natural da doença em comparação com coorte controle histórica, o preço e consequentes relação de custo-efetividade incremental e impacto orçamentário foram considerados demasiadamente elevados. A técnica encerrou a apresentação.

O representante da empresa detentora do registro e responsável pelo pedido de incorporação, diretor-executivo Thomas Gierse (BioMarin), iniciou sua fala dizendo que não há dúvidas de que o tratamento com alfacerliponase gera resultados muito significativos e persistentes para os pacientes, reforçando a fala da apresentação anterior e a decisão final da Conitec. Também relembrou os resultados de eficácia, apresentando o número de pacientes tratados em cada país. Ressaltou que, devido à alta eficácia, vários países já incorporaram a alfacerliponase, onde o número de pacientes segue limitado. Relatou que o preço oferecido está 20% abaixo daquele que o governo paga atualmente. Foram apresentados os preços preço de fábrica (PF) 0%, valor médio pago atualmente e o preço ofertado durante a consulta pública. Ademais, o diretor da empresa relatou que está em preparação uma nova proposta para redução de preço a ser apresentada em reunião já agendada com a Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos. O diretor relatou que o Brasil paga o menor preço mundialmente para a aquisição da alfacerliponase. Também ressaltou que o valor unitário mais elevado de medicamentos para doenças raras está associado à baixa prevalência. Na sequência, o representante da BioMarin apresentou a evolução da construção de políticas públicas com foco em doenças raras no SUS, e mencionou entender que se trata de um esforço contínuo e colaborativo. Por último, o diretor da BioMarin argumentou que a incorporação da alfacerliponase estaria alinhada economicamente ao impacto orçamentário de outros medicamentos para doenças raras já incorporados ao SUS, mostrando exemplos. Em síntese, ao final da apresentação, o representante da empresa elencou fatores que trariam grandes benefícios sociais, pontuados a seguir: o tratamento é transformador na vida de pacientes e familiares; o nível de evidência é adequado considerando-se as características da doença; o impacto orçamentário é previsível e limitado; muitas outras doenças de depósito lisossômico possuem tratamentos incorporados ao SUS; um grande número de países já incorporou o produto; a incorporação gerará economia no curto prazo e eficiência de gasto no longo prazo; o preço para o Brasil já é, e se consolida como, o menor no mundo, e a BioMarin está disposta a rediscutir sua proposta comercial em reunião oficial a ser realizada com a SCTIE em 30 de março de 2022.



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

Na sequência foram realizadas as contribuições dos profissionais da saúde e representantes dos pacientes, os quais haviam previamente se inscrito para participar da audiência.

Inácio Boner (pai de paciente) relatou que seu depoimento seria para levantar a necessidade e a urgência do tratamento devido ao rápido a alto grau de degeneração da doença. O orador informou que os sintomas graves de sua filha se iniciaram em 2020, ressaltando as convulsões, e que em poucos meses a doença se intensificou e agravou ainda mais. O diagnóstico por análise genética foi realizado em agosto de 2020. Em outubro, a filha não caminhava mais. Houve agravo das crises epiléticas, sendo administrados cinco anticonvulsivantes de alto custo. O pai da paciente citou o artigo 196 da constituição, que aborda o direito à saúde respaldado por Lei. O orador ressaltou que a inclusão do diagnóstico de CLN2 no teste do pezinho não é suficiente. É necessária a incorporação do tratamento, pois o resultado do teste sem o tratamento é sentença de morte.

Carolina Fischinger Moura de Souza (médica geneticista do Hospital de Clínicas de Porto Alegre), pesquisadora clínica, relatou que acompanhou nove pacientes durante os vinte e dois anos de carreira. Iniciou o relato de um caso de uma paciente que já foi a óbito. Declarou que naquela época não havia tratamento para a CLN2. A paciente nasceu em 2003 e faleceu em 2011. O seu desenvolvimento foi normal até os 3 anos e 3 meses, após evoluiu para demência infantil, epilepsia sem controle e cegueira. A doença foi de agravo abrupto. O diagnóstico aconteceu aos 4 anos e 8 meses de idade e seu óbito ocorreu aos 8 anos de idade. Na sequência, a médica apresentou um caso recente evidenciando a diferença clínica com e sem o tratamento com alfacerliponase. O segundo paciente abordado teve desenvolvimento normal até os 3 anos e 4 meses, quando surgiram os sintomas da doença. Aos 3 anos e 9 meses foi confirmado o diagnóstico de CLN2, com piora progressiva. Aos 4 anos e 2 meses, o paciente iniciou o tratamento com alfacerliponase (seis meses após a primeira crise). Sete meses após o início do tratamento o paciente estabilizou, sem progressão e apresentando apenas uma crise epilética a cada 30 dias. Ao final de sua apresentação, a médica sintetizou sobre a doença em questão: a CLN2 é uma doença genética grave, rara e rapidamente fatal, a CLN2 é uma doença genética rara tratável, o tratamento da CLN2 com alfacerliponase modifica a história natural da doença evitando o desfecho clínico catastrófico aos pacientes e suas famílias, e o paciente com CLN2 não pode aguardar a vontade de um juiz para iniciar o seu tratamento.

Deise Zanin (Presidente do Instituto Atlas Biosocial) relatou o quanto é angustiante para as famílias que passam por situações que envolvem doenças raras. Comentou que a judicialização deve ocorrer quando não há outra alternativa. Relatou que é importante a disponibilização de um protocolo clínico e diretrizes terapêuticas para garantir o acesso e agilidade aos tratamentos, proporcionando qualidade de vida aos pacientes. Declarou que o paciente raro tem valor, e não apenas um preço, como



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

seriam feitas as análises orçamentárias. A oradora diz ser portadora de uma doença rara, que passou por judicialização e hoje tem seu tratamento incorporado no SUS.

Emília Katiane Embiruçu de Araújo Leão (neuropediatra do Hospital Universitário Edgard Santos da Universidade Federal da Bahia) relatou ter acompanhado pacientes com CLN2, sendo um tratado com alfacerliponase. Questionou o quanto vale uma vida com qualidade. Informou que seu paciente apresentou grande perda de funções cognitivas, motora e marcha, de forma rápida, indo a óbito na adolescência. Relatou que para mudar a história natural da doença é necessária rapidez no diagnóstico e acesso ao tratamento, sendo que os pacientes não podem perder tempo com judicialização, uma que vez que a doença é progressiva. Comentou que há redução de custos quando o tratamento é iniciado mais precocemente, sendo importante avaliar não só o custo do medicamento, mas também mais amplamente a redução de internações e o impacto financeiro decorrente do abandono do trabalho por parte dos pais. A médica reforçou que a agilidade do diagnóstico e administração do medicamento é fundamental para a vida e benefícios, e que os pacientes não podem esperar por judicialização.

Tuca Sena (mãe e representante das famílias com paciente CLN2) deixou seu apoio declarando que as famílias precisam do medicamento para não perder seus filhos, e que os pais passam pela luta de ver os filhos com crises convulsivas sem fim. Mencionou que em julho de 2021 mais uma criança foi a óbito por não ter acesso ao medicamento. Relatou que nos primeiros sintomas as crianças ainda estão bem, porém a doença progride muito rapidamente. Relatou que sua filha, que teve os primeiros sintomas aos 7 anos, foi para a judicialização, que demorou muito. Agora, sua filha se alimenta somente por sonda. Atualmente, a mãe não trabalha mais para prestar cuidados à filha. Destacou que, para além do teste do pezinho, é fundamental garantir o acesso imediato ao tratamento. A filha atualmente recebe o tratamento, ainda fala e escuta e caminha com ajuda. A oradora acredita que a filha possa voltar a andar com ajuda de um profissional fisioterapeuta. Mencionou que o preço da judicialização seria suficiente para custear o tratamento de todos os pacientes que estão na espera.

Mara Lúcia Schmitz Ferreira Santos (neuropediatra e coordenadora do Ambulatório de Doenças Raras do Hospital Pequeno Príncipe de Curitiba, Paraná) relatou que trabalha há 30 anos com doenças raras, tendo acompanhado seis pacientes com CLN2, dos quais três morreram e três estão em tratamento atualmente. Citou a incidência da CLN2, caracterizada como uma doença ultrarrara. Comentou que dos dezesseis pacientes diagnosticados no Brasil, nove se encontram em judicialização e sete sem tratamento. Citou estudos clínicos sobre o uso de alfacerliponase para CLN2, incluindo pacientes que receberam o tratamento antes dos sintomas. Declarou que mais da metade dos pacientes recebem alfacerliponase por via judicial, levantando a questão de que o gasto já existe com internação e processos judiciais, e que o gasto



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

é maior quando os pacientes não são tratados. O impacto orçamentário já é real, o tratamento e diagnóstico irão diminuir o gasto orçamentário. Assim, essa metade dos pacientes atualmente tratados apresenta gastos que seriam suficientes para tratar o total de casos.

Maria Luiza Giraldes de Manreza (neuropediatra e supervisora do Serviço de Neurologia do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo), complementando o relato dos colegas, apresentou seus sentimentos frente a esta situação. Relatou que ficou animada quando o medicamento foi lançado. Porém, declarou que os profissionais sofrem junto com a família porque o tratamento não é realizado, sentindo-se impotentes por nem todos terem acesso. Relatou que um grupo de profissionais fez um consenso para alertar os colegas sobre o tratamento para a doença. Mencionou que a ciência evolui rapidamente, e que, preservando a vida dos pacientes atuais, estes poderão receber futuramente outros tratamentos mais efetivos e até mais baratos.

Bruno Marinho (pai de paciente) relatou que seu filho teve o desenvolvimento normal até os 3 anos de idade. Em outubro de 2019, ocorreu sua primeira crise convulsiva. A criança já perdeu a capacidade de falar e andar. O diagnóstico foi realizado somente em agosto de 2020, e o tratamento com alfacerliponase iniciado em agosto de 2021, após judicialização. O pai relatou a elevada velocidade de degradação da doença. Comentou que logo antes do início do tratamento, seu filho não se alimentava mais, precisando de sonda, e se comunicava muito pouco. Relatou que após a primeira dose de alfacerliponase, seu filho nasceu de novo. Informou que após o tratamento o filho consegue levantar da cadeira e andar, e voltou a se alimentar pela boca. O orador deixou um questionamento, voltado às autoridades: “e se fosse seu filho diagnosticado com uma doença fatal, e vocês soubessem que existe o tratamento, mas ele depende do governo?” e pediu para se colocarem no lugar dos pais de crianças com CLN2, e que seus filhos têm direito à vida.

Juliana Pastana (neuropediatra da Fundação Santa Casa de Misericórdia do Pará) descreveu um paciente do Norte do país que obteve piora no período de um ano, ataxia e dificuldade motora, com quadro progressivo. Foi confirmado com teste genético para CLN2, além de 4 pontos em tabela de classificação, sendo 2 (motor) e 2 (linguagem). Relatou que conseguiu iniciar tratamento após um ano. Durante a espera, teve piora no quadro clínico. Informou que o paciente apresentava linguagem incompreensível, não se alimentava mais por via oral, além de epilepsia. O procedimento cirúrgico para inserção da bomba de infusão ocorreu sem intercorrências. Desde a primeira dose foi observada redução significativa na frequência de crises convulsivas, melhora motora e retorno da alimentação oral. A partir de sua experiência, valida a eficácia do tratamento, ressaltando que o paciente não apresentou progressão da doença. O único evento adverso observado foi febre após a primeira infusão. Relatou que foi um caso de sucesso de diagnóstico e



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

acompanhamento no Norte do país, e comentou a importância de atender todas as regiões do Brasil.

André Barbosa (neuropediatra no Ambulatório de Doenças Raras do Hospital Infantil João Paulo II de Belo Horizonte, Minas Gerais) iniciou sua fala relatando que possui pacientes com a doença. A conexão virtual da transmissão foi interrompida. Posteriormente, conseguiu retomar ao fim da reunião. O profissional relatou que acompanha 12 pacientes com CLN, sendo um com CLN2, em tratamento com alfacerliponase. Relatou que o desfecho de todas as CLN é sempre o mesmo: degeneração progressiva e perda das funções. Comentou que a perda de tempo equivale à perda de neurônios e de qualidade de vida. Informou que em novembro de 2020 seu paciente falava e andava. Levou um ano para conseguir acesso ao tratamento por via judicial, e que neste ínterim a doença progrediu. Ressaltou que se trata de uma doença ultrarrara. Comentou que cada minuto importa, pois a doença progride rapidamente. Com a demora para iniciar o tratamento, o paciente pode não usufruir de todo o potencial esperado proporcionado pela tecnologia.

Helbert de Jesus Assunção França (pai de paciente) relatou que seu filho apresentou desenvolvimento normal até os 3 anos de idade, quando teve sua primeira convulsão. Após três meses, foi realizado o diagnóstico de CLN2 e a geneticista o informou que havia um tratamento. A família está há dois anos e meio em processo de judicialização, que segue parado, e o filho está com 6 anos, não anda, fala muito pouco e se alimenta por sonda. Citou alguns pontos das reuniões da Conitec com os quais não concorda: que o Norte e Nordeste do país não teriam expertise para realizar o tratamento e que a cirurgia para inserir o cateter infusional seria de difícil execução. Declarou sua infelicidade sobre existir tratamento e não ter acesso e relatou que os profissionais da sua região possuem capacidade técnica e aptidão, só faltando o medicamento. O orador pede por misericórdia e que a Conitec olhe mais para as minorias, que merecem direito à voz. Ressaltou que as famílias trabalham independentemente da indústria para conseguir acesso ao medicamento.

Denise Carvalho de Andrade (médica geneticista do Complexo Hospitalar da Universidade Federal do Ceará e professora de Genética Médica da Universidade Estadual do Ceará) declarou possuir mais de 20 anos de profissão. Apresentou relatos de casos de duas pacientes. A primeira paciente apresentou convulsões aos 7 anos de idade, com doença atípica. Declarou que o diagnóstico foi rápido, mas o acesso ao medicamento encontrou entraves. Atualmente recebe o tratamento, que conseguiu há alguns meses. Antes do tratamento convulsionava todos os dias. Agora, não tem mais convulsões, que pararam totalmente. Não apresenta mais alucinações e delírios. Pela demora para início do tratamento, não deambula mais. Desta forma, ressaltou que a terapia de reposição enzimática é eficiente até mesmo em casos tardios. A segunda paciente, também com forma atípica da doença, está aguardando o medicamento. Ainda anda e se comunica, mas tem convulsões todos os dias. Em



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

nome de seus pacientes, pediu acesso ao medicamento e relatou que o custo-benefício em longo prazo é positivo.

Monica Aderaldo (presidente da Federação das Associações das Doenças Raras Norte, Nordeste e Centro-Oeste - Fedrann) citou que mais de 60% dos pacientes são do Norte e Nordeste, e apontou a necessidade do acesso para estas regiões. Comentou sobre a felicidade dos pais com o tratamento para os filhos com CLN2. Comentou sobre a eficácia do medicamento em cessar a progressão da doença e pediu que revejam a não recomendação. Declarou que a incorporação proporcionaria uma grande economia ao Brasil. Relatou que não adianta que CLN2 seja adicionada ao teste de pezinho se não haverá tratamento. Agradeceu a oportunidade e fez apelo para que a secretária incorpore o medicamento em discussão.

Na sequência, foi dada a palavra aos parlamentares.

Flávio Arns (senador da República pelo estado do Paraná) agradeceu a oportunidade e esclareceu que no senado há uma comissão de assuntos sociais, com uma subcomissão de doenças raras, cujos objetivos incluem atendimento a indivíduos portadores de doenças raras e construção de políticas públicas junto à população. Relatou que a comissão entra em contato com juízes e desembargadores para subsidiar o processo decisório judicial, sendo os pontos citados na sequência abordados: o medicamento é aprovado pela Anvisa, não sendo experimental. Aponta que o medicamento é eficiente, eficaz e seguro. Relata que há urgência pois é uma doença progressiva. O parlamentar destaca que se o medicamento fosse incorporado, não precisaria entrar em contato com juízes. Também destaca o alto custo da via judicial, que é maior do que se o medicamento fosse incorporado no SUS. Pede consciência aos envolvidos sobre acesso ao medicamento, lembrando que o direito à saúde é dever do Estado. Ressaltou que a espera significa condenar as crianças à morte ou a sequelas irreversíveis. O parlamentar se colocou à disposição dos pais que têm processos ainda não finalizados e reforçou que o medicamento deve ser incorporado e não judicializado.

Na sequência, como não havia outros parlamentares conectados, a secretária Sandra Barros agradeceu de forma geral a todas as contribuições e em especial a do parlamentar anteriormente em fala. Informou que seguiria o rito da Conitec, solicitando que o Plenário avalie, em regime de prioridade, do as sugestões e contribuições apresentadas durante a audiência pública. Relatou que como ouvinte percebeu a eficiência do medicamento com a expectativa de sobrevida e melhora, incluindo os pacientes já avançados. Relatou entender que até o diagnóstico se perde um tempo considerável, e que há dificuldade de acesso até mesmo por via judicial. Comentou perceber que os familiares e entidades vêm ganhando força. Relembrou algumas falas, que incluíram a perda de neurônios com o passar do tempo sem tratamento e que a demora para iniciar o tratamento resulta em um alto impacto



Ministério da Saúde  
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde

orçamentário. Ressaltou o compromisso do laboratório farmacêutico com o tratamento e requisitou revisitação da proposta. Ressaltou que a audiência não é um momento de decisão e sim para identificação de novos argumentos. Citou que a evidência apresentada será ponderada. A secretária lembrou que o encontro com o detentor do registro do medicamento seria na semana subsequente. Reforçou, novamente, que seguiria o rito, devolvendo o processo à Conitec, para análise das contribuições recebidas durante a audiência pública. Agradeceu a presença de todos os convidados e inscritos.

A palavra foi passada a Aroldo Martins (deputado federal pelo estado do Paraná), o qual não estava conectado anteriormente. O parlamentar iniciou sua fala agradecendo a equipe da Conitec e a secretária e lembrou a importância da Comissão para assessorar o SUS. Citou que a maioria dos portadores de doenças raras não tem tratamento. Relatou ser coordenador da Frente Parlamentar de Doenças Raras do Paraná. Relatou que os pacientes que não têm acesso ao tratamento estão fadados à morte, assim o espaço democrático da audiência traça o acesso e futuro desses pacientes. Relatou acompanhar a dificuldade dos pais de crianças que dependem desta incorporação. Citou que o peso deve ser repartido por todos, não só pelos pais dos pacientes. Ressaltou que o interesse da BioMarin é um grande passo, e que a demonstração de interesse da empresa está em conjunto com a luta das famílias. Lembrou o Projeto de Lei nº 1613/2021, para uso de medicamento de uso distinto já aprovado na Anvisa. Comentou que é importante a incorporação do medicamento pelo SUS para além das judicializações, que são temporárias.

Por fim, foi lembrado que todos os materiais e estudos técnicos relacionados à doença em contexto podem ser encontrados no site da Conitec e a audiência pública foi encerrada.