



MANIFESTO EM DEFESA DOS PACIENTES COM AME

Nos últimos anos, a comunidade AME (Atrofia Muscular Espinhal) conquistou avanços importantes, mas também tem enfrentado desafios que exigem união, articulação e ações coordenadas.

Um desses grandes desafios é a demora na publicação da atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de AME, para incluir o Zolgensma® (onasemnogeno abeparvoveque), que foi incorporado ao SUS em dezembro de 2022, dentre as opções terapêuticas disponíveis. Sem isso, a incorporação não se efetiva realmente, pois não acontece a dispensação do medicamento aos pacientes.

Em 07 de dezembro de 2024, fará um ano que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), em sua 125ª Reunião Ordinária, deliberou sobre a atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para AME. No entanto, o PCDT ainda não foi publicado. Por causa disso, o medicamento não está acessível aos pacientes com AME.

Até aqui, na grande maioria dos casos, o acesso ao Zolgensma® tem se dado por via judicial, o que onera os cofres públicos. Segundo matéria publicada por Futuro da Saúde¹ entre dezembro de 2022 e maio de 2024, 73 medicamentos já foram pagos pelo SUS através de decisões liminares.

Estudo publicado em 2024 sobre os custos da judicialização do Zolgensma® no Ministério da Saúde² indica que o gasto médio do Ministério da Saúde para a compra de Zolgensma® para 109 pacientes foi de R\$ 8,67 milhões por dose.

Por outro lado, o preço negociado na incorporação para disponibilização via PCDT foi de R\$ 5,72 milhões por frasco. Esse preço, contudo, só passa a ser praticado após a publicação do PCDT.

Além disso, até que as famílias consigam o medicamento pela via judicial (o que pode demorar mais de 12 meses), os pacientes iniciam o tratamento com outro medicamento disponível no SUS. O custo, também elevado, desse tratamento ponte poderia ser evitado caso o Zolgensma® estivesse disponível de imediato como primeira opção terapêutica.

¹ Fonte: <https://futurodasaude.com.br/zolgensma-judicializacao/>. Acessado em 25 de novembro de 2024.

² KRETZSCHMAR, A. K. et al. Judicialização do Zolgensma no Ministério da Saúde: custos e perfil clínico dos pacientes. Disponível em: scielo.br/j/rsp/a/68BfzTkx9kWm4ZfcmwBPSGL/?format=pdf&lang=pt. Acessado em: 28 de novembro de 2024.



Portanto, o atraso na demora da publicação do PCDT gera, além de desespero para as famílias que precisam do medicamento, um grande desperdício de dinheiro público. Então, não se trata de um problema ou impacto apenas na Comunidade AME – o impacto é para todos os cidadãos que pagam impostos.

Durante 2024, a nossa coalizão UNIVERSO COLETIVO AME³ enviou diversos e-mails, perguntas via Lei de Acesso à Informação (Lei nº. 12.157/2011 - LAI), ofícios e realizou diversas reuniões com representantes do Ministério da Saúde com o objetivo de entender os motivos para a demora na publicação do PCDT. Em uma das respostas recebidas do Ministério da Saúde, nos foi informado que *“a celebração do acordo depende da negociação dos termos do contrato de compartilhamento de risco, processo atrelado à avaliação interna de tais termos pelas áreas responsáveis de ambas as partes e que **não possui prazo legalmente estabelecido.**”*

Isso é um absurdo! A Lei nº 8.080/1990 e o Decreto nº 7646/2011, que regulamenta o funcionamento da Conitec estabelece prazo não superior a 180 dias para a publicação do PCTD, admitida a sua prorrogação por 90 dias, quando as circunstâncias exigirem. Ou seja, mesmo com a prorrogação, já estamos com mais de 450 dias de atraso – e contando.

Apesar das repetidas tentativas de esclarecimento por parte da Coalizão Universo Coletivo AME e de frequentes comunicações entre as partes envolvidas, o que se observou foi a ausência de respostas concretas e um posicionamento evasivo por parte do Ministério da Saúde. A **falta de previsão**, a **falta de transparência** e a **falta de diálogo** com a sociedade civil não se coadunam com os princípios constitucionais estabelecidos pelo art. 37 da Constituição Federal.

Devido a esses fatos, **exigimos uma resposta assertiva** do Ministério da Saúde quanto a demora na publicação do PCDT atualizado e à **previsão** de, efetivamente, o Zolgensma® estar disponível no SUS para os pacientes.

#quemtemametempres

³ Maiores informações sobre a coalizão: www.universocoletivoame.com.br



APOIADORES DO MANIFESTO

ASSOCIAÇÕES E REPRESENTANTES DO TERCEIRO SETOR:

1. **Universo Coletivo AME**, coalizão composta por:
 - **Associação dos Familiares e Amigos dos Portadores de Doenças Neuromusculares de Pernambuco – Donem – PE**, inscrita no CNPJ nº. 18.630.824/0001-00, representada por sua presidente Suhellen Oliveira da Silva.
 - **Instituto Viva Iris**, inscrito no CNPJ nº. 32.749.542/0001-58, representado por sua presidente Aline Giuliani.
 - **Instituto Nacional da Atrofia Muscular – Iname**, inscrito no CNPJ nº. 28.210.973/0001-71, representado por sua Diretora Nacional do Iname Diovana Barbosa Loriato Hermesmeyer.
 - **Instituto Fernando Loper Vasconcellos de Apoio Múltiplo a Atrofia Muscular Espinhal AME**, inscrito no CNPJ nº. 49.996.982/0001-02, representado por sua presidente Adriane Aparecida Loper.
 - **Associação Brasileira de Amiotrofia Espinhal – ABRAME**, inscrita no CNPJ nº. 07.857.608/0001-86, representada por sua presidente Fatima Ielda Oliveira Braga Vaz.
2. Instituto Unidos pela Vida - Fibrose Cística, Doenças Raras e Respiratórias, Curitiba/PR
3. Regina Célia Fanti Garcia, CEO do Instituto Vidas Raras, Guarulhos/SP

PARLAMENTARES:

1. Deputado Federal Eduardo da Fonte (PP/PE)
2. Deputado Federal Lucas Redecker (PSDB/RS)
3. Deputado Federal Lula da Fonte (PP/PE)
4. Senador Romário (PL/RJ)



MÉDICOS E OUTROS PROFISSIONAIS DE SAÚDE:

1. Adriana Banzatto Ortega, Médica Neuropediatra, Hospital Pequeno Príncipe, Curitiba/PR
2. Ana Cecília Menezes de Siqueira , Médica gastroenterologista - Recife / PE
3. Ana Lúcia Langer, pediatria e doenças neuromusculares, São Paulo/SP
4. Ângela Cristina Oliveira, Psicóloga, Instituto Viva Íris, Uberlândia
5. Anna Paula Paranhos, Neurologista, Recife/PE
6. Bianca de Aguiar Coelho Silva Madeiro, Neurologista, Recife/PE
7. Bruna Alexandre Cavalcante Estevam, fisioterapeuta, Instituto Viva Iris, Uberlândia/MG
8. Daniela Negreiros Borba Navolar Gastaldim, Psicóloga, Instituto Fernando, Londrina/PR
9. Diogo Fernandes dos Santos, Médico responsável pelo Serviço de Doenças Neuromusculares do HC-UFU/MG
10. Edmar Zanoteli, Médico Neurologista do Hospital das Clínicas da FMUSP e presidente do Comitê Científico do INAME, São Paulo/SP
11. Eveline Gadelha Pereira Fontenele, Médica da Universidade Federal do Ceará, Fortaleza/CE
12. Fábio Marques, Instituto Breno Bloise, Recife/PE
13. Felipe Franco da Graça, Neurologista membro da Academia Brasileira de Neurologia, Campinas/SP
14. Flávia Nardes dos Santos, Neurologista Infantil, pediatra, professora da UFRJ, Rio de Janeiro
15. Hélio van der Linden Júnior, Médico Neuropediatra e Neurofisiologista do Centro de Reabilitação Dr Henrique Santillo, Goiânia/GO
16. Isadora Borges Squilassi – Psicóloga, Instituto Viva Íris, Uberlândia/MG
17. Karina L Soares, Neurologista pediatra, Recife/PE
18. Katarina Maciel Abath , Pneumopediatra e Paliativista - Recife / PE



19. Lorena Patrícia Leal Mesquita Barreto, Médica pediatra /Hospital Infantil Lucídio Portela, Teresina - Piauí – HILP
20. Lucas Alves, Neurologista, Recife/PE
21. Marcelo Maroco Cruzeiro, Neurologista - Departamento de Clínica Médica da Universidade Federal de Juiz de Fora (UFJF)/MG
22. Marcondes França Junior, neurologista, Unicamp, Campinas, SP
23. Rodrigo de Holanda Mendonça, Neurologista do Hospital das Clínicas da FMUSP e membro do Comitê Científico do INAME, São Paulo/SP
24. Tamiris Carneiro Mariano – Neuropediatra, Hospital infantil Albert Sabin – Ambulatório Neuromuscular, Fortaleza/CE
25. Terezinha Nunes, Jornalista, Recife/PE
26. Vanessa Araújo Borges Valeriano, Educação Especial/Inclusiva e Psicopedagogia, Instituto Viva Iris, Uberlândia
27. Vanessa van der Linden, Neurologista pediatra, Recife/PE
28. Winolla Raissa Alves de Sales, Fisioterapeuta, Instituto Viva Iris, Uberlândia/MG