

Aos cuidados da Ouvidoria do Ministério da Saúde

Enviado esta carta para complementar as informações registradas no formulário web – protocolo 4035092

Em tempo: errata no texto do formulário WEB “.....que era favorável à incorporação do “myozyme” a todos os pacientes, e que foi modificada no caminho para consulta pública nº14/2019 – relatório técnico...” correção para: “que era favorável à incorporação do “myozyme” a todos os pacientes, e que foi modificada no caminho para consulta pública nº33/2019 – relatório técnico,”

Prezados Senhores/Senhoras

Venho por meio deste importante canal de comunicação alertar às instâncias superiores de como a manipulação de informações e dados estão sendo utilizados pelos responsáveis/membros da Comissão Nacional de Incorporação de tecnologias da Saúde (CONITEC) para negar a incorporação do medicamento “myozyme” (alfa-*glucosidase*) para tratamento de pacientes com a Doença de Pompe na forma tardia (cuja doença se manifesta após 12 meses de idade). Em um processo aparentemente “detalhado tecnicamente”, “Transparente” e com “Participação Social”, recomendou definitivamente em 2019 e também em 2021, como recomendação preliminar que o SUS rejeite estes pacientes para tratamento terapêutico.

A Doença de Pompe causada por deficiência enzimática é uma doença rara, genética e hereditária, de difícil diagnóstico e que acomete aprox.. 80 brasileiros. Esta doença pode se manifestar a qualquer idade (desde o nascimento até a maturidade). Indivíduos aparentemente normais, pouco a pouco são acometidos por fraqueza muscular e deficiência respiratória progressivas.

O “myozyme” é um medicamento órfão registrado na ANVISA desde 2007, para tratar exclusivamente pacientes com a Doença de Pompe. É o único em uso no mundo para esta condição. Os benefícios do tratamento com o “myozyme” já foram comprovados mundialmente. Ele é aprovado pelo FDA (agencia americana) desde 2006 e registrado na ANVISA desde 2007. O acesso ao medicamento para pacientes maiores que 12 meses, crianças, jovens e adultos se dá no Brasil, pela judicialização.

Critérios rigorosos de aceitabilidade segurança e eficácia já foram aceitos pelo órgão responsável pelo seu registro, a ANVISA, há 14 anos. Porém o “myozyme” não é disponibilizado pelo SUS para pacientes maiores que 12 meses, ou seja a maioria. Em 2019, a CONITEC recomendou a incorporação do medicamento exclusivamente para tratar a forma precoce da Doença (que se manifesta até os 12 meses de idade). Negou este privilégio a todos os demais pacientes, que aguardam sentenças judiciais para receber a medicação com periodicidade irregular. Ruim para o paciente e péssimo para administração pública que não inclui em seu planejamento prévio a despesa com o tratamento.

Em 2021, este assunto retornou a pauta da CONITEC. Houve duas reuniões – 94ª e 95ª (fev e março de 2021) aonde mantiveram a decisão negativa para incorporar o medicamento os pacientes com a forma tardia da Doença de Pompe. Atualmente esta decisão está em Consulta Pública (nº14/2021). Estudei o assunto, fiz a leituras das atas e relatório e assisti virtualmente às reuniões (inclusive já encaminhei minha contribuição a Consulta Pública nº14/2021). No entanto me surpreendi com alguns atos que as autoridades devem ter ciência para avaliar possíveis irregularidades na condução dos atos da Conitec na avaliação do “myozyme” desde 2019.

1. **ANVISA E CONITEC:** Para um medicamento que teve critérios de aceitabilidade, de segurança e eficácia aceitos pela **ANVISA** desde 2007, a **CONITEC** perde tempo e retira as chances de sobrevivência de pacientes com Doença de Pompe de início tardio (pacientes acima de 12 meses, crianças, jovens e adultos), ao rejeitar **após 14 anos de uso terapêutico**, a incorporação da alfa-glicosidase no SUS. Apesar de reconhecer benefícios no tratamento, os membros desta Comissão justificam o indeferimento, na espera que as **improváveis evidências robustas** surjam de pesquisas clínicas de difícil desenho e eticamente discutíveis, pelas próprias características da doença (Doença rara x medicamento órfão com benefícios reconhecidos, mas de alto de custo). Este conceito epidemiológico básico não pode ser desconhecido pelos componentes da CONITEC, que utilizam justamente o argumento de “Evidências fracas” para negar a incorporação. Além disso, há também uma contradição legal, pois dois órgãos distintos - ANVISA e CONITEC - realizam a mesma atividade de avaliação científica para o medicamento “myozyme”, porém com conclusões conflitantes (as evidencias científicas são aceitas pela ANVISA e são rejeitadas pela Conitec) o que contraria a Lei Orgânica da Saúde (Lei nº 8.080/1990, art. 7º item XIII). Além disso, não constam nos relatórios da Conitec (Relatório de Recomendação nº481/2019 e Relatório técnico da Consulta Pública nº14/2021) **as evidencias científicas analisadas e já aceitas pela ANVISA**, que é o órgão responsável pelo registro do medicamento (Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976). **É possível que decisões sobre eficácia de medicamentos de responsabilidade legal da ANVISA sejam alteradas por uma Comissão?**

2. **ALTERAÇÃO DE DECISÃO COLEGIADA:** Desde 2019, quando houve o primeiro pedido de incorporação do “myozime”, todos os pacientes com a Doença de Pompe, já poderiam estar recebendo seu medicamento pelo SUS regularmente, sem necessitar recorrer à judicialização, **SE A DECISÃO DE PLENÁRIO NA 76ª REUNIÃO QUE ERA FAVORÁVEL** à incorporação pelo SUS para todas as formas da doença de Pompe (sem distinção precoce/tardio) não tivesse sido **ALTERADA quando foi encaminhado para a Consulta Pública nº 33/2019.** Para a discussão pública foi encaminhado que o tratamento seria exclusivamente para a forma precoce da doença (manifestações até os 12 meses de idade). **É possível uma decisão registrada em ata, consenso de colegiado ser modificada quando encaminhada para Consulta Pública, e posteriormente fundamentar o Protocolo de Tratamento com este viés de decisão e de identificação?**

*Ata da 76ª reunião da CONITEC “Alfa-amilglicosidase para doença de Pompe”:
...“Recomendação: Os membros do Plenário deliberaram, por unanimidade,
encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar
favorável a incorporação da alfa-amilglicosidase para doença de Pompe no SUS...”
Disponível em:
<http://conitec.gov.br/images/Reuniao_Conitec/2019/Ata_76Reuniao.pdf>.*

*Relatório técnico para Consulta pública nº 33/2019, fls. 11 “Alfa-amilglicosidase
para doença de Pompe”, ;:
“...Recomendação Inicial: A Conitec, em sua 76ª reunião ordinária, no dia 3 de
abril de 2019, considerando o alto custo da terapia e o elevado impacto
orçamentário, o Plenário da CONITEC recomendou de forma preliminar a
incorporação da alfa-amilglicosidase para a forma precoce da doença devido aos
ganhos nos desfechos de tempo para início de ventilação mecânica e
sobrevivência...”
Disponível em:
<http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relatorio_alfa-amilglicosidase_Pompe_CP_33_2019.pdf>.*

Como resultado desta recomendação foi publicado em 2020, o “Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Pompe” - Relatório de recomendação nº 529. O Protocolo assim identificado, exclui em entrelinhas 70% dos pacientes. (Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/Relatorio_de_Recomendacao_PCDT_Doenca_de_pompe_FINAL_529_2020.pdf>).

3. **TRANSPARÊNCIA:** Não é possível VERIFICAR a presença dos sete (ou mais) membros do plenário que efetivamente participaram e como votaram das 94ª e 95ª reuniões virtuais (03/02/2021 e 03/03/2021). Nestas reuniões, os membros não se apresentam e não se identificam, nem no início dos trabalhos, nem por ocasião de seus votos. Na ata da 94ª reunião, estão relacionadas dez instituições participantes sem os respectivos nomes. No vídeo não foi possível verificar todos os presentes, nem participação nas discussões. E nesta condição, **como verificar a participação dos membros nas gravações e/ou em tempo real, como também a presença obrigatória do médico especialista**, representante do Conselho Federal de Medicina? (Lei nº 8.080/199, art. 19-Q, §1º; Decreto nº 7.646, de 21 dez 2011 art.7º §3º; Portaria MS nº 2.072, de 5 de agosto de 2019). Se estas informações são de caráter sigiloso, não são percebidas como tal. Sugiro assistir a 95ª reunião (dos 2:39 a 3:16). Além da ausência dos 7 membros que sequer estavam identificados, a discussão da decisão preliminar afronta princípios legais, técnicos, éticos e morais.

Faltou respeito ao paciente portador da Doença de Pompe que certamente não mereceu ouvir o que foi dito. (Reuniões virtuais CONITEC disponíveis em: <<https://www.youtube.com/watch?v=v8StYUI62Ho>>

4. **A PARTICIPAÇÃO SOCIAL E A PERSPECTIVA DO PACIENTE:** Além das questões técnicas da avaliação do medicamento, pude observar que a Conitec valoriza a participação social, estimula o envio de contribuições às suas Consultas Públicas, elaboram análises estatísticas das respostas, cor, idade, etc. bem como incentiva a participação do paciente para prestar seu depoimento nas reuniões na “Perspectiva do paciente”. No entanto, no caso da Consulta Pública nº33/2019 - “Alfa-alglicosidase para doença de Pompe”, **NENHUMA** das 389 contribuições recebidas (de médicos especialistas, pacientes, familiares), trouxe elementos suficientes para interferir e reverter a recomendação inicial desfavorável para incluir no protocolo de tratamento as crianças, jovens e adultos com a Doença de Pompe

“... o plenário da Conitec entendeu que não houve argumentação suficiente para alterar a recomendação inicial...” (Relatório de Recomendação “Alfa-alglicosidase como terapia de reposição enzimática na doença de Pompe” nº481/2019, Item 8.4).

Como também não interferiu na tomada de decisão preliminar em 2021, o depoimento de paciente, que é médico, e na 94ª reunião virtual, relatou sua experiência no enfrentamento da doença, do diagnóstico ao tratamento. Apesar deste depoimento estar registrado no “relatório para a sociedade”, não foi registrado, discutido, sequer mencionado no “relatório técnico” da Consulta pública nº14/2021. **Como aceitar a incorporação ou não de tecnologias em saúde pelo SUS, sem a efetiva participação social, e sem incluir pacientes e médicos especialistas nas discussões e que possam democraticamente auxiliar positivamente na tomada de decisão final?**

“...É possível assumir o custo adicional de novas tecnologias levando em conta também as necessidades e perspectivas dos pacientes, através de processos de avaliação de tecnologias transparentes e sistemáticos, nos quais todas as partes interessadas possam contribuir para a tomada de decisão...” (Entendendo a incorporação de tecnologias em saúde pelo SUS, Ministério da Saúde, 2016)

“... É necessário utilizar ferramentas que identificam a necessidade de considerar a visão do paciente nos processos de incorporação de tecnologias... pois traz a visão do paciente para o centro da tomada de decisão...” (Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital Sírio Libanês- REBRATS).

“... Além de moralmente correto, a perspectiva do paciente complementa a perspectiva médica, com destaque para questões importantes que os pesquisadores desconhecem, além disso, os profissionais não podem, necessariamente, falar pelos pacientes...”
(Hailey, D. *Consumer Involvement in Health Technology Assessment. Alberta Heritage Foundation for Medical Research, Alberta. HTA Initiative #21, 2005.*).

5. **ARGUMENTOS FINANCEIROS** para justificar a recusa da inclusão terapêutica pelo SUS, o alto custo do medicamento também foi argumento para a decisão preliminar desfavorável na atual consulta pública nº14/2021. Apesar das avaliações e análises apresentadas no relatório técnico desta Consulta, não fica claro **qual é o limite orçamentário que não pode ser ultrapassado**. Ora, no Brasil temos o SUS, que é um exemplo mundial de assistência universal à saúde. A Constituição Federal não limita custos de tratamento, nem há esta referência na Lei orgânica da saúde: *“A saúde é direito de todos e dever do Estado com acesso universal e igualitário às ações e serviços de saúde”*, cabendo ao SUS, *“a assistência terapêutica integral, inclusive farmacêutica”* (Constituição federal, art.196º e Lei nº8.080/1990, art. 6º). Além deste limite orçamentário desconhecido, outro dado ignorado é o número real dos pacientes com a Doença de Pompe que já se beneficiam com o tratamento via judicialização. O Ministério da Saúde não possui registros oficiais de cadastro, número de pacientes com a Doença de Pompe e seus respectivos estágios evolutivos. Também não houve iniciativa nem proposição para tal, apesar de fornecer o medicamento por obrigação há mais de uma década. Segundo o relatório técnico da atual Consulta pública, *“a epidemiologia da DP no Brasil é incerta. Não há registros públicos nem estudos sobre a prevalência ou incidência da DP no país”*. Ou seja, **Conitec concluiu as análises técnicas de custo fundamentado em dados imprecisos e limites desconhecidos**.

Um país que tem o SUS, alinhado com a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (Portaria MS nº199 do MS/2014), **não deveria, nem poderia recusar tratar os pacientes crianças maiores de 12 meses, jovens e adultos** com a Doença de Pompe, com o único medicamento que existe para frear, limitar ou reverter uma doença implacavelmente progressiva. **Não é diretriz do SUS aumentar o sofrimento físico e mental destes pacientes e promover a insegurança do tratamento**. Mesmo amparado por leis, portarias e decretos, a Conitec pela segunda vez recomenda, sob todos os aspectos nebulosos que relacionei, e talvez outros que não tenha identificado, o direito constitucional ao tratamento terapêutico regular pelo SUS para as todas as formas da Doença de Pompe, exatamente como consta na ata da 76ª reunião da própria CONITEC. O Relatório de recomendação nº 529 publicado em 2020 contendo o *“Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Pompe”*, apesar do que sugere o título, **exclui a maioria dos pacientes**. Esta perigosa decisão pode fundamentar decisões judiciais negativas e orientar equivocadamente gestores e juízes, de que na visão do SUS/Ministério da Saúde, o único medicamento (de alto custo)

que existe para tratamento da Doença de Pompe, **mesmo com registro na ANVISA, não tem eficácia, segundo Conitec (que paradoxo!)**. Será um artifício para dificultar o acesso ao medicamento mesmo através até do judiciário?

É necessário reavaliar a decisão de recomendação preliminar desfavorável da atual Consulta Pública nº 14/2021 como também da anterior, a Consulta Pública nº 33/2019.

...“A administração pública direta e indireta de qualquer dos Poderes da União, dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios obedecerá aos princípios de legalidade, impessoalidade, moralidade, publicidade e eficiência”... (Constituição Federal, Art. 37º).

Agradeço a atenção, fico a disposição para eventuais esclarecimentos.

Em tempo solicito acusar recebimento desta carta.

Atenciosamente,

Regine Bark Corrêa
Médica, farmacêutica
Mestre em Vigilância Sanitária (INCQS/FIOCRUZ)
reginebark@gmail.com