



Audiência Pública

“Acesso a medicamentos órfãos por portadores de doenças raras”

Senador Cícero Lucena

Interfarma

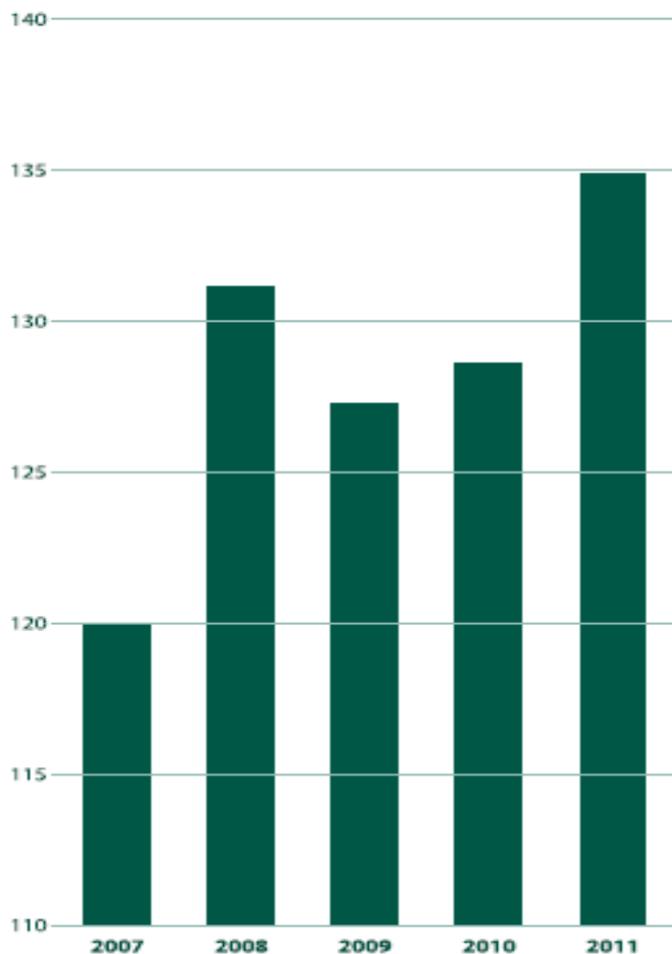
Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa



- Fundada em 1990, a Interfarma – Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa é uma entidade setorial, sem fins lucrativos, que representa empresas e pesquisadores nacionais ou estrangeiros responsáveis pela inovação em saúde no Brasil, os quais buscam promover e incentivar o desenvolvimento, no país, da indústria de pesquisa científica e tecnológica voltada para a produção de insumos farmacêuticos, matérias-primas, medicamentos e produtos para a saúde humana;
- 55 empresas associadas, que representam:
 - ✓ 80% dos medicamentos de referência do mercado
 - ✓ 33% dos genéricos produzidos por empresas que passaram a ser controladas pelos laboratórios associados
 - ✓ 46% da produção de medicamentos isentos de prescrição do mercado brasileiro
 - ✓ 52 % dos medicamentos tarjados
- Além disso, 14 medicamentos órfãos registrados no Brasil são de associadas da Interfarma



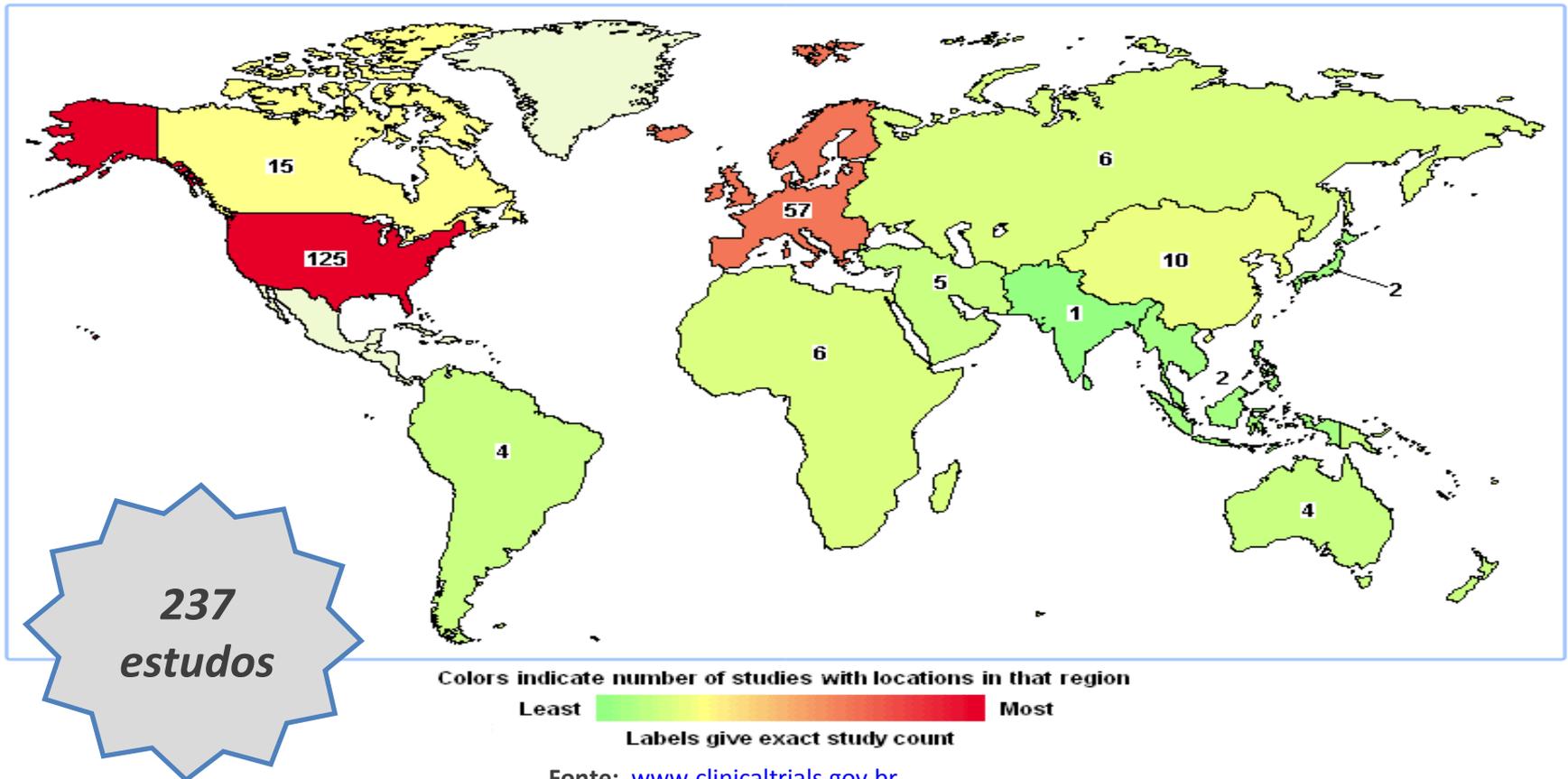
Nossas Associadas tem o compromisso com cada vez mais inovação...



Os gastos mundiais da indústria Farmacêutica em Pesquisa e Desenvolvimento em 2011 foi de US\$135 bilhões



Estudos no mundo sobre Drogas Órfãs





Estudos no Brasil sobre Drogas Órfãs

4 estudos

Fonte: www.clinicaltrials.gov.br



Colors indicate number of studies with locations in that region
Least  Most
Labels give exact study count



Principais fatores que influenciam na decisão de investir em P&D no Brasil

Tabela 4.7. Principais fatores que influenciam na decisão da matriz de investir em P&D no Brasil

Fatores	Respostas ponderadas pela importância
Disponibilidade de pessoal capacitado em qualidade	92
Custo de fazer P&D no Brasil	46
Crescimento do mercado	31
Tamanho do mercado	31
Nível de excelência do setor acadêmico e de pesquisas na área de interesse	30
Presença de unidade fabril (proximidade com a fabricação)	28
Custo de mão de obra qualificada	20
Incentivos e políticas públicas favoráveis	20

Fonte: Queiroz et al. (2009).



Antecedentes para o cenário Legislativo mundial para Drogas Órfãs:

- Considerando que:
 - ✓ Medicamentos órfãos tendem a ser o único tratamento disponível para doenças muito complexas e desconhecidas e, por essa razão, precisam ser encarados de maneira diferenciada;
 - ✓ O pequeno número de medicamentos órfãos disponível reflete a complexidade das doenças raras e ultrararas e a falta de conhecimento científicos sobre elas;
 - ✓ Desenvolver esses tratamentos exige altos investimentos em pesquisa e desenvolvimento (P&D) e tecnologia do estado da arte, para um número muito pequeno de pacientes no mundo;
 - ✓ O estudo das doenças complexas e desconhecidas pode acabar por limitar a quantidade de produtos nos portfólios e o equilíbrio entre perdas e ganhos de diferentes produtos;



Cenário Legislativo mundial para Drogas Órfãs

- Assim, é possível inferir que no cenário mundial a adoção de marco regulatório propiciou a solução permanente e sustentável sobre o problema do acesso:
 - ✓ Orphan Drugs Act 1983 (EUA) – deu celeridade ao registro, linhas especiais de financiamento para pesquisas, impostos diferenciados para licenciamento e 10 anos de comercialização exclusiva;
 - ✓ Regulation (EC) 141/2000 (União Europeia) – taxas especiais, processos rápidos de registro, exclusividade de mercado, possibilidade de consultoria científica durante a fase de pesquisa e 10 anos de comercialização exclusiva
 - ✓ Pharmaceutical Affair Law 1993 (Japão);
 - ✓ Therapeutic Goods Regulations 1990 (Austrália);



Os avanços no Executivo:

- **PORTARIA 199/2014** - Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras;
- **PORTARIA Nº 2.439/2005** - Política Nacional de Atenção Oncológica e rede de Atenção Oncológica - PORTARIA SAS/MS nº 741/2005;
- **RDC 57/2013**- Dispõe sobre a priorização da análise técnica de petições de registro, pós-registro e anuência prévia em pesquisa clínica de medicamentos protocoladas para análise pela Gerência-Geral de Medicamentos. Aguardando a publicação da IN referente a esta resolução.
- **RDC Nº 8/ 2014** - Autorizar a importação dos medicamentos constantes na lista de medicamentos liberados em caráter excepcional
- **IN nº 1/2014**- Dispõe sobre a lista de medicamentos liberados para importação em caráter excepcional;
- **CP nº20/2014** – Dispõe sobre proposta de priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras



Os avanços no Congresso Nacional:

- **PLS 530/13** - Institui a Política Nacional para Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde; altera a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, para dispor sobre registro e importação, por pessoa física, de medicamentos órfãos; e altera a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, para prever critério diferenciado para avaliação de medicamentos órfãos.
- **PL 1606/11** - Institui a Política Nacional para Doenças Raras no Sistema Único de Saúde, o SUS.



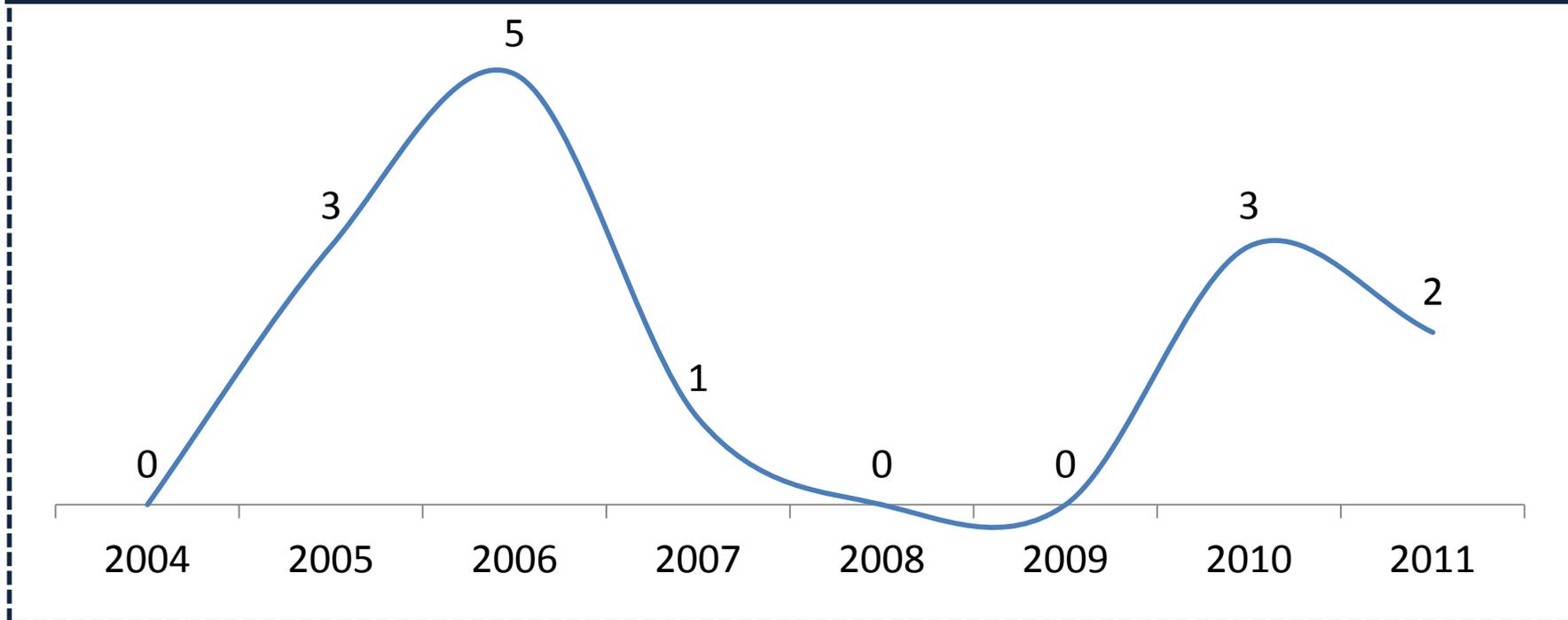
Desafio Regulatório para a garantia do acesso:

- A regulamentação sanitária no Brasil conta com um quadro de técnicos respeitados e qualificados, porém não consegue dar conta de executar as regulamentações que ela mesmo cria e apresenta prazos de resolução muito acima da média mundial;
- Os mecanismos brasileiros de regulação econômica de medicamentos foram concebidas para lidar com tratamentos destinados as doenças de alta prevalência. Esse modelo de precificação, no entanto, não deveria ser aplicado à medicamentos órfãos, uma vez que o modelo econômico é totalmente diferente;
- No período de 2004/2011, a ANVISA relatou que apenas 2 medicamentos órfãos receberam preço na CMED na categoria I (inovador e patenteado). Isso pode ser um mais indicador de que o atual modelo de precificação acaba por impedir a entrada de terapias inovadoras e necessárias ao mercado brasileiro;
- O atual modelo brasileiro de precificação é um elemento importante de redução da atratividade para o mercado, impacta no planejamento da indústria e fazendo-as rever ou abandonar planos de investimentos no Brasil. Isso se dá também porque os descontos obrigatórios são os mesmos praticados aos medicamentos que tratam doenças de alta prevalência.



O preço de referência internacional da CMED tem o potencial de impactar negativamente a atratividade do mercado brasileiro para as empresas de medicamentos órfãos

Número de produtos considerados Categoria I (medicamentos inovadores), analisado pelo Departamento de Avaliação Econômica de Novas Tecnologias (GERAE), no período de março de 2004 a dezembro de 2011.





Desafio da CONITEC para a garantia do acesso:

- Aperfeiçoamento , a luz das doenças raras, na análise dos processos., sustentabilidade financeira, negociações e pactuações;
- Incluir gradualmente no SUS , os medicamentos disponíveis que já são comercializados no Brasil;
- Qualificar do termo “doença rara” nos PCDT’s (novos e em revisões) que definam critérios de cuidado e assistência, com base na classificação de prevalência da Portaria 199/14;
- Ampliar do diálogo com a indústria e com as Associações de Pacientes, com o objetivo de garantir ações cada vez mais eficientes.

Desafio do Ministério da Saúde – Coordenação de alta complexidade - para a garantia do acesso:

- Ampliar os esforços para que os estados e municípios implementem os credenciamentos dos serviços definidos na Portaria 199/14 de forma eficiente;
- Definir o cuidado aos pacientes com tumores raros na Política Pública mais adequada ;
- Articular os Incentivos em pesquisa clínica específicas para doenças raras, com parcerias que envolvam autoridades de saúde, centros de pesquisa, profissionais e pesquisadores, pacientes, associação de familiares e a indústria farmacêutica;



Questões a discutir para avançar:

- Necessidade de marco regulatório brasileiro específico, que considere as características únicas das drogas órfãs;
- Necessidade de fomentar incentivos , assim como no mundo , para ampliar a disponibilidade de novos medicamentos órfãos para o mercado. O atual modelo faz com que o Brasil tenda a focar excessivamente no preço, e não no custo do paciente. perdendo de vista o valor que esses tratamentos trazem para as pessoas com doenças raras e suas famílias;
- Ampliação de acesso a medicamentos de maneira gradual no SUS, já que existem 14 medicamentos órfãos sendo comercializados no Brasil (Interfarma, 2013) e a única doença rara que possui medicamento órfão incorporado é Gaucher;
- Definição da qualificação “doença rara” nos PCDT’s resultantes da CP nº 20/14;
- Definição do cuidado para os tumores raros - em qual Política Pública serão contemplados;
- Articulação no Ministério da Saúde para ampliar a Pesquisa Clínica no Brasil, voltada para as doenças raras.



OBRIGADA

.....

MARIA JOSÉ DELGADO FAGUNDES