

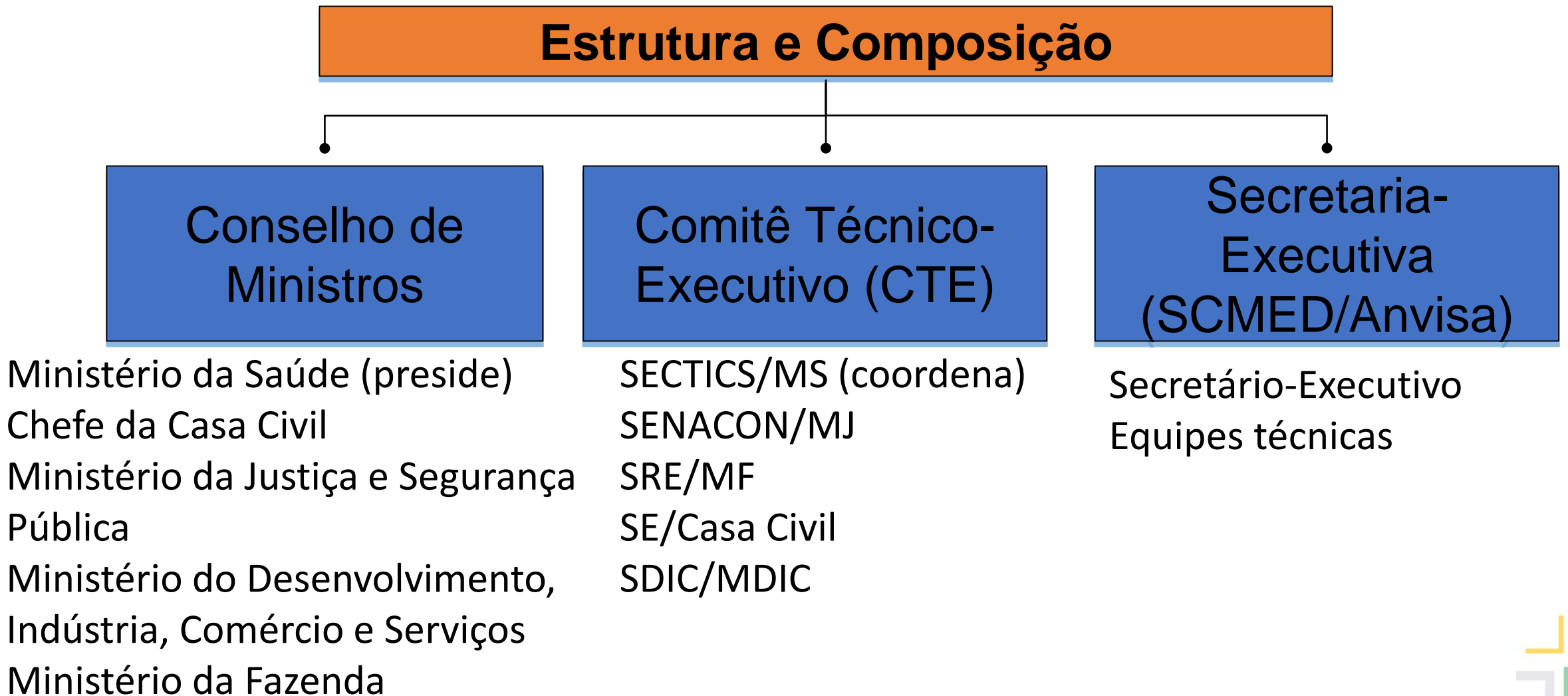
AUDIÊNCIA PÚBLICA

Regulamentação das terapias gênicas
para o setor farmacêutico

Daniela Marreco Cerqueira

Secretária Executiva da Câmara de Regulação
do Mercado de Medicamentos

CMED – estrutura e composição



LCMED - competências

- Art. 6º, Lei 10.742/2003

I- definir diretrizes e procedimentos relativos à regulação econômica do mercado de medicamentos;

II- estabelecer critérios para fixação e ajuste de preços de medicamentos;

...

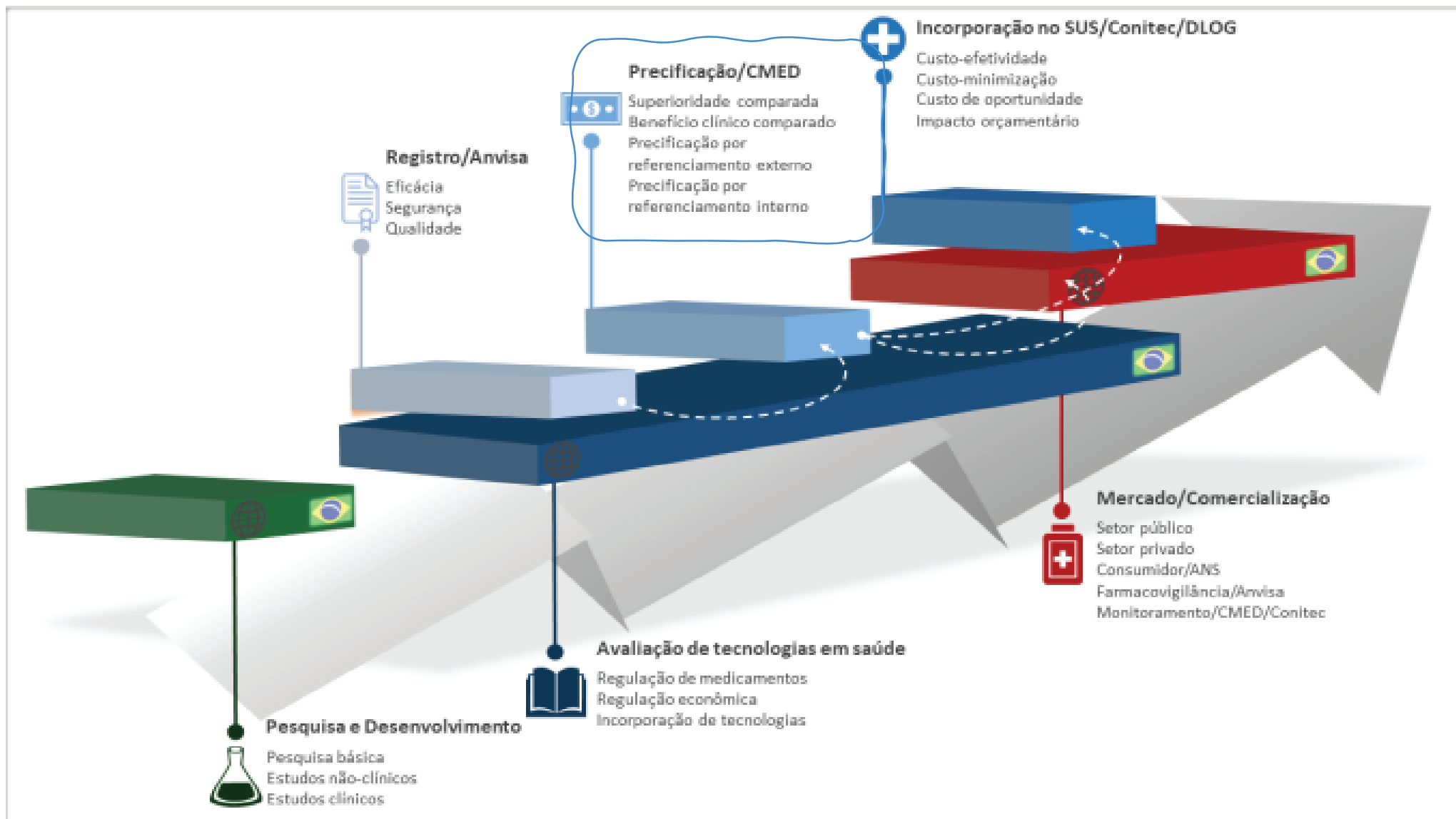
IV- decidir pela exclusão de grupos, classes, subclasses de medicamentos e produtos farmacêuticos da incidência de critérios de estabelecimento ou ajuste de preços, bem como decidir pela eventual reinclusão de grupos, classes, subclasses de medicamentos e produtos farmacêuticos à incidência de critérios de determinação ou ajuste de preços;

...

XII- monitorar o mercado de medicamentos...



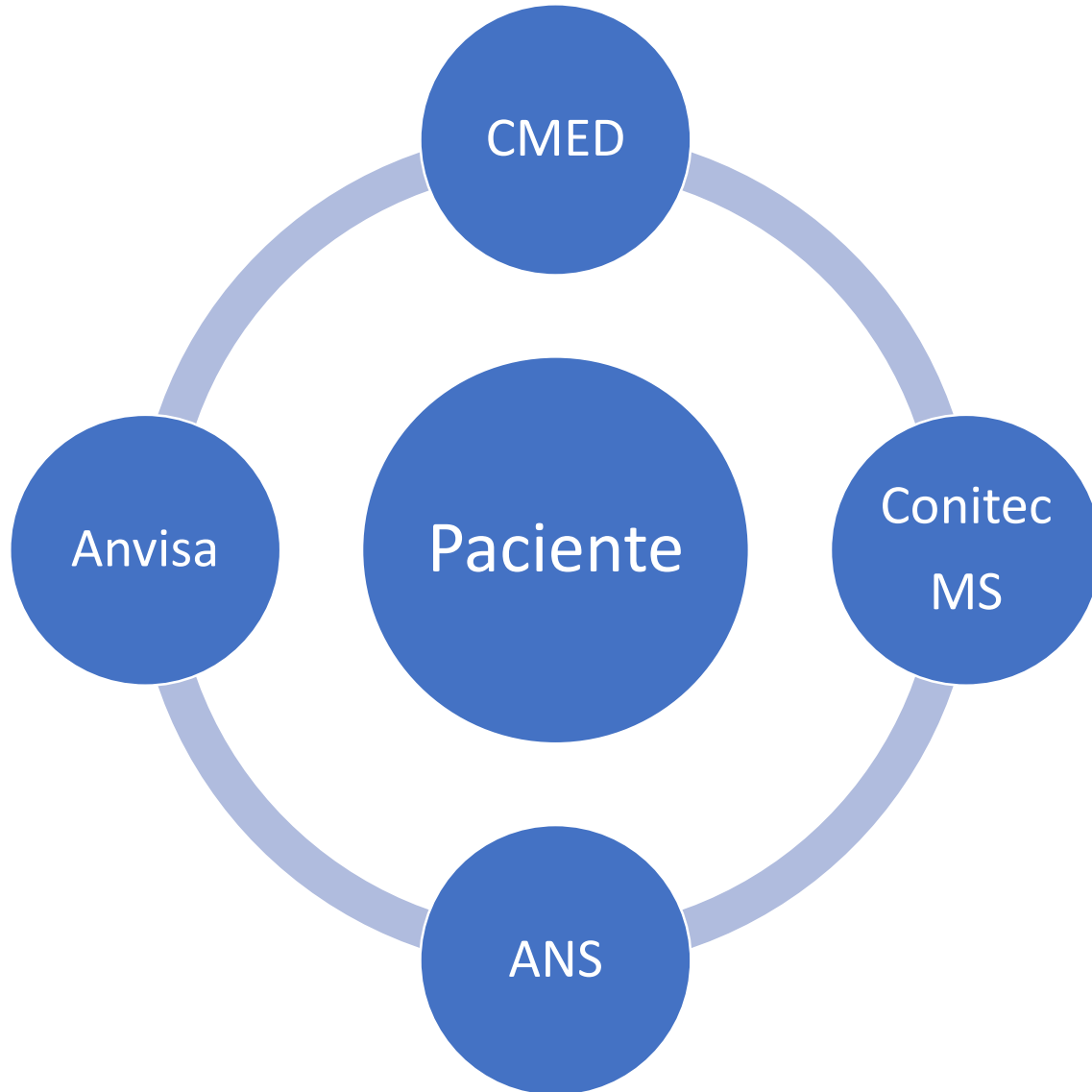
ETAPAS



ANS: Agência Nacional de Saúde Suplementar; Anvisa: Agência Nacional de Vigilância Sanitária; CMED: Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos; Conitec: Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS; DLOG: Departamento de Logística do Ministério da Saúde; SCMED: Secretaria Executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos; SUS: Sistema Único de Saúde.



Registro, precificação e incorporação de tecnologias em saúde no Brasil



- ✓ Incorporação nos sistemas público e privado x custos das novas tecnologias em saúde.
- ✓ Estratégia de compartilhamento de riscos: pagamento com base nos resultados clínicos – acompanhamento contínuo.
- ✓ Judicialização da saúde.
- ✓ Sustentabilidade dos sistemas de saúde.
- ✓ Treinamento da classe médica sobre as novas tecnologias e sobre o que se esperar como ganhos terapêuticos.
- ✓ Centros de referência para coleta de dados de vida real ao longo do processo.

Precificação



**CÂMARA DE REGULAÇÃO DO MERCADO DE MEDICAMENTOS
CONSELHO DE MINISTROS**

RESOLUÇÃO CMED Nº 2, DE 5 DE MARÇO DE 2004*

(Alterada pela Resolução CMED nº 4, de 15 de junho de 2005, publicada no DOU, de 07/10/2005 e pela Resolução CMED nº 4, de 18 de dezembro de 2006, publicada no DOU, 12/03/2007)

Aprova os critérios para definição de preços de produtos novos e novas apresentações de que trata o art. 7º da Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003.



**CÂMARA DE REGULAÇÃO DO MERCADO DE MEDICAMENTOS
SECRETARIA-EXECUTIVA**

Comunicado nº 09, de 10 de agosto de 2016

Publicado no D.O.U. nº 154, de 11 de agosto de 2016, Seção 3, pg 98

Divulga decisão do CTE sobre os critérios de precificação de medicamentos biológicos não novos

Referenciamento Interno (RIP)

Categorias II, III, IV, V, VI, biológicos não novos (BNN)

Preços praticados pela mesma empresa;

Preços praticados por todas as empresas do mercado.

Referenciamento Externo (REP)

Categorias I, II, V, biológicos não novos (BNN)

Países referência:

Austrália, Canadá, Espanha, EUA, França, Grécia, Itália, Nova Zelândia, Portugal e País de origem do produto.





Precificação

CATEGORIA

CARACTERÍSTICAS DO PRODUTO

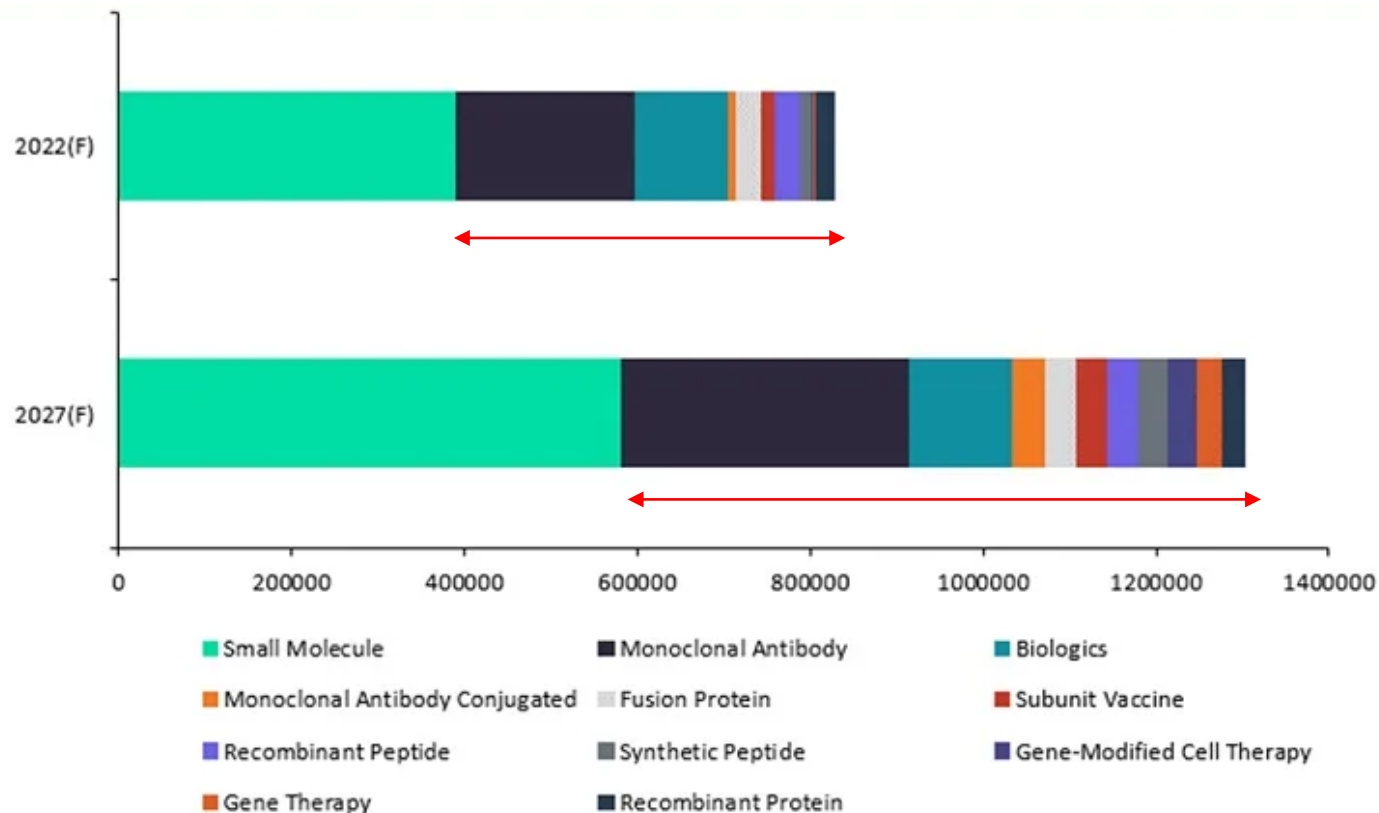
- | CATEGORIA | CARACTERÍSTICAS DO PRODUTO |
|-----------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| I | <u>Inovação em termos de:</u> <ul style="list-style-type: none">✓ maior eficácia;✓ redução significativa de efeitos adversos com mesma eficácia;✓ redução significativa do custo global de tratamento com mesma eficácia. ✓ Patente de MOLÉCULA |
| II | Inovação sem ganhos terapêuticos (produto novo que não atende aos requisitos de categoria I) |
| III | Nova apresentação e mesma forma farmacêutica;
Já comercializado pela própria empresa. |
| IV | Nova forma farmacêutica já comercializado pela empresa;
Medicamento novo na lista da empresa. |
| V | Nova forma farmacêutica no país;
Nova associação de princípios ativos no país. |
| VI | Medicamentos genéricos. |

- Resolução CMED nº 2/2004
- Categorias de preços para medicamentos
- Os casos omissos serão dirimidos pelo Comitê Técnico-Executivo, cabendo recurso ao Conselho de Ministros.



Novas tecnologias em saúde – Para onde estamos indo?

Vendas previstas de medicamentos sintéticos e biológicos até 2027



Source: GlobalData, Drugs Database (Accessed 18 January 2022)

© GlobalData Plc

Notes: Key Molecule Type is unique to the Drug Sales and Consensus Forecast tool; however, as all drugs only have one molecule type, this is considered the Key Molecule Type. Other Biologics is an aggregate of all other biologic molecule types not listed.

Os produtos biológicos devem crescer significativamente em receita de vendas e serão responsáveis por 55% de todas as vendas de medicamentos inovadores até 2027.

Atualmente, a venda de produtos biológicos é amplamente impulsionada por anticorpos monoclonais, que devem responder por 46% de todas as vendas de produtos biológicos em 2027. Espera-se que as **terapias gênicas apresentem o maior crescimento, com um aumento previsto de mais de 1.000% até 2027.**



Novas
tecnologias em
saúde – Para
onde estamos
indo?

Terapia gênica
HEMGENIX_Hemofilia B



Promessa de uma única dose de tratamento (em comparação a injeções periódicas de fator IX).

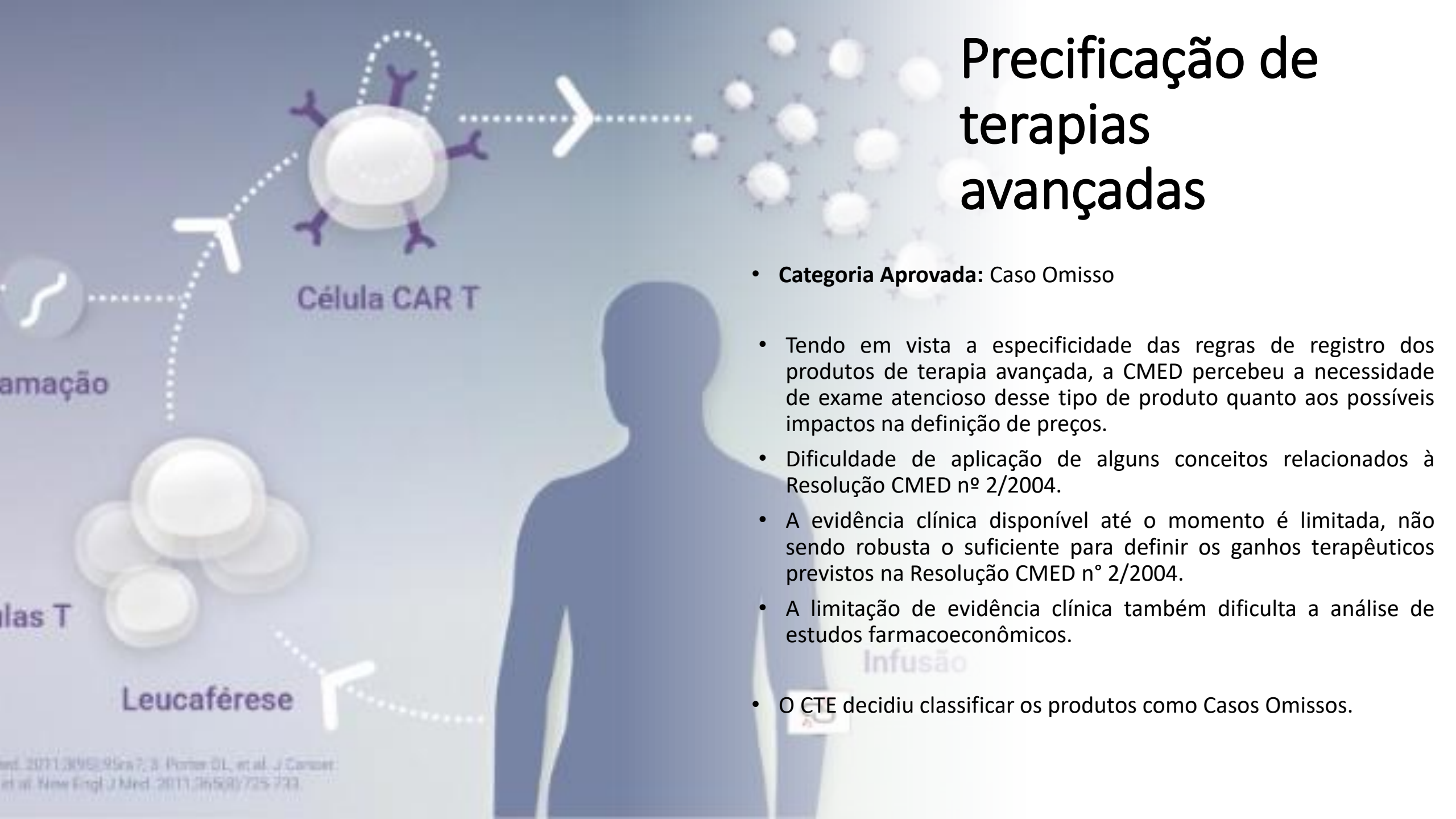
Limitações:

População limitada: 4.000 pacientes nos EUA e 25.000 no mundo;

Preço: **USD 3.5 Mi por dose!**

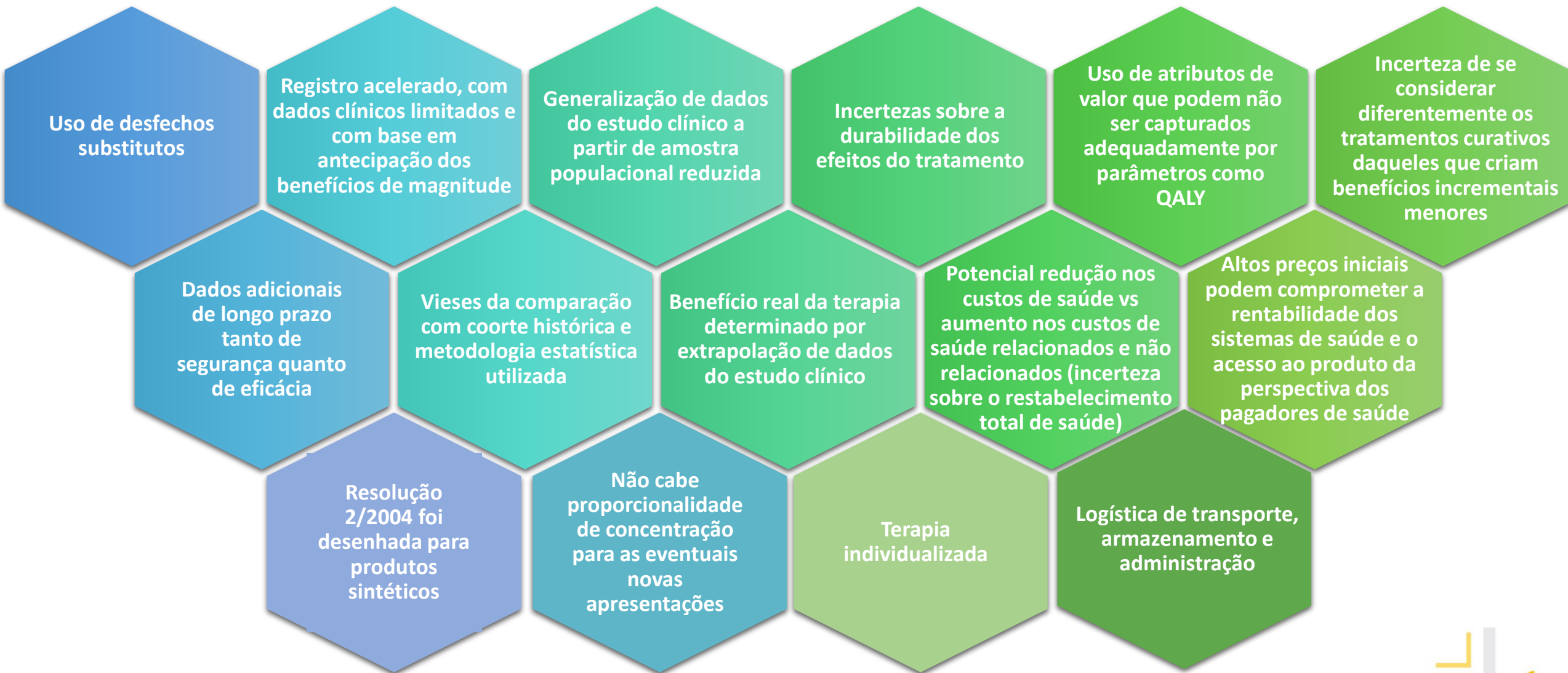
Equivalente a 5 anos do tratamento padrão.

Precificação de terapias avançadas



- **Categoria Aprovada:** Caso Omisso
- Tendo em vista a especificidade das regras de registro dos produtos de terapia avançada, a CMED percebeu a necessidade de exame atencioso desse tipo de produto quanto aos possíveis impactos na definição de preços.
- Dificuldade de aplicação de alguns conceitos relacionados à Resolução CMED nº 2/2004.
- A evidência clínica disponível até o momento é limitada, não sendo robusta o suficiente para definir os ganhos terapêuticos previstos na Resolução CMED nº 2/2004.
- A limitação de evidência clínica também dificulta a análise de estudos farmacoeconômicos.
- O CTE decidiu classificar os produtos como Casos Omissos.

Classificação como caso omissos



Novas tecnologias em saúde – Para onde estamos indo?

- Terapias avançadas registradas mediante Termo de Compromisso

Nome do produto	Componente ativo	Indicação	Empresa	Preço aprovado
Carvykti	citacabtageno autoleucel	Tratamento de mieloma múltiplo recidivante ou refratário, que tenham anteriormente recebido um inibidor de proteassoma (PI), um agente imunomodulador (IMiD) e um anticorpo anti-CD38	Janssen - Cilag Farmacêutica	R\$ 2.539.036,07
Kymriah	tisagenlecleucel	Pacientes pediátricos e adultos jovens (até 25 anos de idade) com Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) de células B, refratária ou a partir da segunda recidiva e pacientes adultos com Linfoma Difuso de Grandes Células B (LDGCB) recidivado ou refratário, após duas ou mais linhas de terapia sistêmica	Novartis Biociências S.A	R\$ 1.756.346,30
Luxturna	voretigeno neparvoveque	Pacientes adultos e pediátricos (> 4 anos) com distrofia hereditária da retina causada por mutações bialélicas do RPE65 e com suficientes células retinianas viáveis	Novartis Biociências S.A	R\$ 2.414.444,13
Zolgensma	onasemnogeno abeparvoveque	Pacientes pediátricos abaixo de 2 anos com atrofia muscular espinal (AME) , com mutações bialélicas do gene SMN1 e diagnóstico clínico de AME do tipo I; OU mutações bialélicas do gene SMN1 e até 3 cópias do gene SMN2	Novartis Biociências S.A	R\$ 7.600.207,96
Yescarta	axicabtagene ciloleucel	Tratamento de pacientes adultos com Linfoma de Grandes Células B (LDGCB) , recidivado ou refratário, após duas ou mais linhas de terapia sistêmica	Laboratório Kite	R\$ 1.762.452,86

Preço provisório – condicionantes

- A Resolução CMED nº 02/2004 foi editada há quase vinte anos e pode não refletir a evolução do mercado de medicamentos, sendo, portanto, necessário atualizá-la para precificar medicamentos mais complexos, inclusive os que envolvem a prestação de serviço associado ao tratamento.
- O processo de revisão normativa não é simples e demanda tempo, e esperar sua conclusão impediria o acesso de pacientes a produtos que já estão disponíveis e registrados pela Anvisa.
- Reconhecendo a importância da entrada desses produtos no mercado brasileiro e considerando que o registro do produto de terapia avançada tem a necessidade de dados e provas adicionais comprobatórias de eficácia e segurança clínicas a longo prazo perante a ANVISA, o CTE/CMED decidiu conceder preço provisório.
- O preço é provisório justamente porque o CTE entende que os elementos de precificação aplicados ao caso concreto não estão mais refletidos na Resolução CMED nº 02/2004.

Preço provisório – condicionantes

- Dada a condição de provisoriedade, é importante registrar que o CTE/CMED definiu que esse preço poderá ser revisto, nas seguintes situações:
 - (i) sempre que o medicamento entrar em algum país constante da cesta de países da CMED discriminada no art. 4º, § 2º, inciso VII da Resolução CMED nº 2, de 5 de março de 2004;
 - (ii) de ofício, sempre que houver revisão de preços em algum país da cesta da CMED ou caso o preço-teto atual CMED esteja acima do menor preço internacional praticado entre os países da cesta;
 - (iii) quando nova metodologia de precificação for estabelecida e devidamente regulamentada pela CMED;
 - (iv) a partir da análise dos estudos de evidência de eficácia e segurança apresentados pela empresa junto à ANVISA, até a conclusão do cronograma previsto no Termo de Compromisso.

Preço provisório – condicionantes

✓ Em relação às obrigações, a empresa deverá:

- Apresentar à Secretaria-Executiva da CMED Relatório Técnico semestral com preço das apresentações do produto nos países que compõem a lista de referência discriminada no inciso VII do § 2º do artigo 4º da Resolução CMED nº 2, de 5 de março de 2004, com vistas a subsidiar a atualização do preço provisório do produto;
- Apresentar à Secretaria-Executiva da CMED Relatório Técnico com dados de evidência de eficácia e segurança do produto. Tais dados deverão ser encaminhados à SCMED sempre que forem apresentados à Gerência de Sangue, Tecidos, Células e Órgãos, da Anvisa (GSTCO/DIRE2/ANVISA), de acordo com o cronograma previsto no Termo de Compromisso firmado para registro do produto.

Novas tecnologias em saúde – Para onde estamos indo?

Terapia gênica (Zolgesma)

Motivos para sorrir

A evolução de criança com AME após tomar remédio mais caro do mundo no ES

No último 18 de março fez um ano que o pequeno Cauã recebeu o Zolgesma; neste período, o menino apresentou ganhos espetaculares e amenizou os efeitos da doença

Saúde lança portaria de incorporação do Zolgesma e assina protocolo de intenções com fabricante do medicamento para garantir oferta da tecnologia no SUS

A cerimônia será transmitida ao vivo, a partir das 10h, pelo canal do Ministério da Saúde no YouTube

Publicado em 14/12/2022 08h43 | Atualizado em 30/12/2022 09h25

Compartilhe: [f](#) [t](#) [l](#)



Ministério da Saúde promove coletiva de imprensa nesta quarta-feira (14) para o lançamento da portaria que incorpora no SUS o medicamento Zolgesma para ampliação do acesso ao tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I. Na ocasião, o ministro Marcelo Queiroga irá assinar o

6 a 8 MIL
tipos de doenças raras

80%
têm origem genética

75%
afetam crianças

30%
dos pacientes morrem antes dos 5 anos

13 MILHÕES
de pessoas com doenças raras no Brasil

7 ANOS
é o tempo médio para fechar o diagnóstico de doenças raras

40%
dos pacientes recebem diagnóstico errado ao longo da vida

TERAPIA GÊNICA

Anvisa autoriza pesquisa clínica com células CAR-T no Brasil

Desenvolvida por pesquisadores brasileiros, pesquisa representa mais um avanço na luta contra o câncer.

Publicado em 26/09/2023 08h58 | Atualizado em 26/09/2023 11h36

Compartilhe: [f](#) [t](#) [in](#) [s](#) [l](#)

Anvisa autorizou a Fundação Hemocentro de Ribeirão Preto (FUNDERP), em parceria com o Instituto Butantan, a iniciar um ensaio clínico no Brasil com medicamento especial à base de células geneticamente modificadas, as chamadas "células CAR-T". A pesquisa é mais um avanço no tratamento contra o câncer hematológico (no sangue).

Os estudos estão em fase clínica inicial (Fase 1/2). O objetivo é avaliar a segurança e a eficácia no tratamento de pacientes com leucemia linfóide aguda B e linfoma não Hodgkin B, recidivados e refratários (ou seja, em casos de reaparecimento da doença ou de resistência ao tratamento padrão).

O tratamento inovador envolve biotecnologia avançada. Os pesquisadores brasileiros promovem a reprogramação das próprias células do paciente para atacar e destruir o câncer de forma precisa. Em laboratório, é feita a transferência de genes de interesse para as células de defesa (linfócito T) do paciente.

Tanto a tecnologia de transferência de genes, por meio de vetor viral, quando a tecnologia de produção das células são avanços em desenvolvimento pelos pesquisadores nacionais, com financiamento do Estado brasileiro.

Projeto de cooperação entre a Anvisa e pesquisadores do SUS

Próximos passos

**CTE/CMED
Planejamento
Estratégico**

Projetos Regulatórios

Terapias avançadas



Medicamentos — Agência Nacional de Vigilância Sanitária

- Anvisa (www.gov.br)



ASSUNTOS	SETOR REGULADO	ACESSO À INFORMAÇÃO	COMPOSIÇÃO	CENTRAIS DE CONTEÚDO	CANAIS DE ATENDIMENTO
Notícias	Administrativo	Institucional	Diretoria Colegiada	Publicações	Fale Conosco
Agrotóxicos	Autorização de Funcionamento (AFE ou AE)	Agenda de autoridades	Diretor-Presidente	Biblioteca digital	Telefone
Alimentos	Certificação de Boas Práticas	Ações e Programas	Segunda Diretoria	Legislação	Webchat
Cosméticos	Importação	Participação Social	Terceira Diretoria	Áudios	Audiências
Educação e pesquisa	Recursos administrativos	Auditorias	Quarta Diretoria	Imagens	Ouvidoria
Farmacopeia	Regularização de produtos e serviços	Convênios e Transferências	Quinta Diretoria	Videos	Atendimento à imprensa
Fiscalização e monitoramento		Receitas e Despesas	Unidades Organizacionais Específicas		Solicitação de vistas e cópias de processos
Laboratórios Analíticos		Licitações e Contratos			
Medicamentos		Servidores			
Portos, aeroportos e fronteiras		Informações Classificadas			
Produtos para saúde		Serviço de Informação ao Cidadão - SIC			
Regulamentação		Perguntas Frequentes			
Saneantes		Dados Abertos			
Sangue, tecidos, células, órgãos e terapias avançadas		Contabilidade			
Serviços de saúde		Transparência e prestação de contas			
Sistema Nacional de Vigilância Sanitária		Tratamento de dados pessoais			
Tabaco					

Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED



Agência Nacional de Vigilância Sanitária - Anvisa

Assuntos > Medicamentos > Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED

Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)

A Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) é o órgão interministerial responsável pela regulação econômica do mercado de medicamentos no Brasil e a Anvisa exerce o papel de Secretaria-Executiva da Câmara.

A CMED estabelece limites para preços de medicamentos, adota regras que estimulam a concorrência no setor, monitora a comercialização e aplica penalidades quando suas regras são descumpridas. É responsável também pela fixação e monitoramento da aplicação do desconto mínimo obrigatório para compras públicas.

Conheça a CMED a consulte os **preços máximos** permitidos para medicamentos.

Clique aqui e saiba informações sobre a migração das petições da Secretaria Executiva da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (SCMED) para o Sistema Solicita.

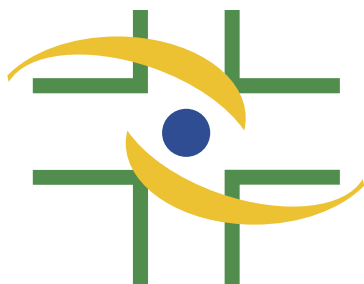
Preços de medicamentos

Compras públicas

Ajuste anual de preços de medicamentos

Medicamentos com risco de desabastecimento (Resolução CM-CMED nº 07/2022)

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>



ANVISA

Agência Nacional de Vigilância Sanitária

cmed@anvisa.gov.br

Contato

Agência Nacional de Vigilância Sanitária - Anvisa

SIA Trecho 5 - Área especial 57 - Lote 200

CEP: 71205-050

Brasília - DF

www.anvisa.gov.br

www.twitter.com/anvisa_oficial

Anvisa Atende: 0800-642-9782

ouvidoria@anvisa.gov.br