



FEBRARARAS

FEDERAÇÃO BRASILEIRA DAS ASSOCIAÇÕES DE DOENÇAS RARAS

AUDIÊNCIA PÚBLICA – 04 de outubro/2023

**Projeto de Lei nº 3.499/2021 -
Terapia gênicas**

ANTOINE DAHER
Presidente Febrararas



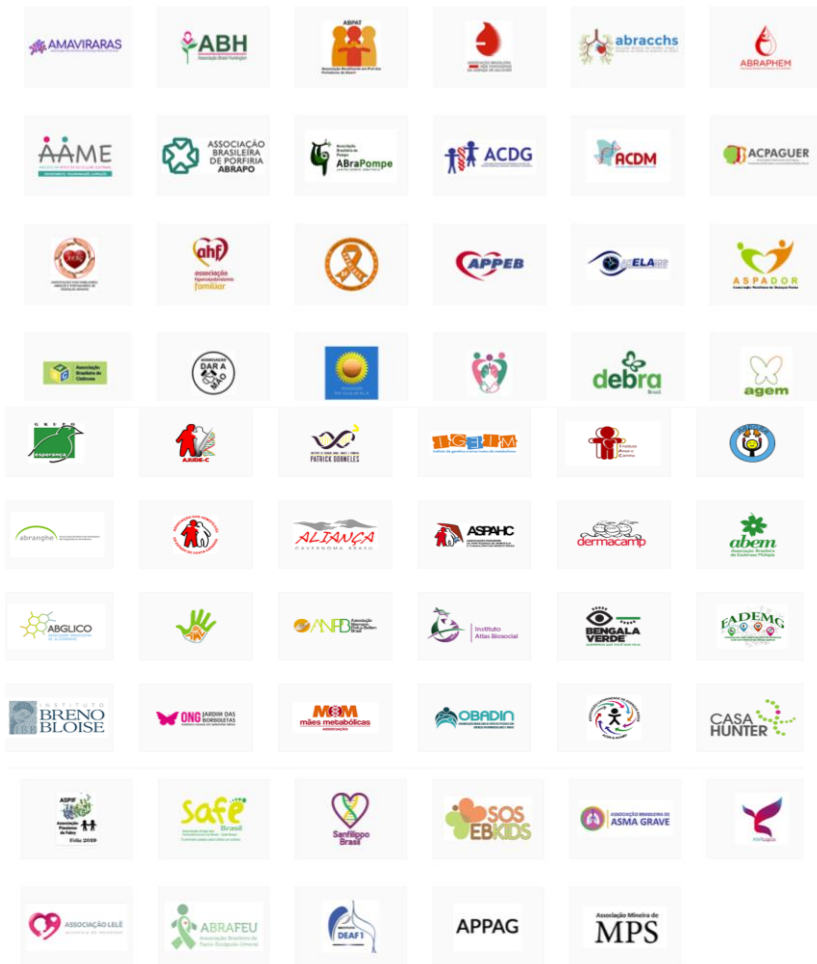
FEBRARARAS: Sobre Nós

Fundada em 30 de janeiro de 2019, a Federação Brasileira das Associações de Doenças Raras (FEBRARARAS) está presente em todas as regiões do Brasil, representada por suas mais de 60 associadas.

A finalidade estatutária da Federação é participar da elaboração de políticas nacionais voltadas para as pessoas com doenças raras.

Nossa Missão

Atuar em defesa dos direitos das pessoas com doenças raras pela participação na formulação de políticas públicas.





TERAPIAS GÊNICAS: INOVAÇÃO

Prevê a injeção de material genético (DNA ou RNA) a fim de induzir, bloquear ou substituir um gene de interesse.

Pode resolver muitos problemas do paciente com uma doença rara, uma vez que cada paciente exige tratamento individualizado.

Não são produtos de prateleira.

Terapias
gênicas

Doenças raras são enfermidades geralmente crônicas, degenerativas e incapacitantes que afetam principalmente crianças.

Requerem centros especializados, que possam se adequar para oferecer os tratamentos com uma única intervenção.



Projeto de Lei nº 3.499/2021

Objetivo: "altera a Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, para prever a utilização de critérios diferenciados para a definição dos preços de terapias gênicas, celulares e com células-tronco.

Inovação pressupõe altos investimentos em Pesquisa e Desenvolvimento para dar acesso às necessidades médicas não atendidas

Tecnologias inovadoras precisam de novas regras de **precificação**

A Resolução nº 2/2004 não foi feita para terapias inovadoras - Foi criada para a precificação de medicamentos tradicionais.

Como criar mecanismos de precificação capazes de oferecer sustentabilidade ao sistema, de maneira a garantir o acesso rápido aos pacientes, mais previsibilidade e segurança jurídica a todos os envolvidos

Criar regras e/ou barreiras para a redução do preço registrado no Brasil pela CMED inviabilizará o registro de produtos inovadores no país

As terapias gênicas serão cada vez mais frequentes e teremos uma maior judicialização, com valor muito mais caro que a incorporação.



Potenciais soluções

O preço das terapias gênicas não é considerado alto, se levarmos em consideração outras terapias que acabam sendo muito mais caras quando administradas por toda a vida do paciente.

Esta deve ser a nossa perspectiva, e não apenas considerar o valor de uma única administração.

- ❑ Gestores devem acompanhar o uso das terapias inovadoras para medir o que está sendo entregue de valor para os pacientes.
- ❑ Modelos inovadores de financiamento devem ser baseados em Valor e não em Preço.
- ❑ Preço CMED é diferente do preço da Incorporação
- ❑ Preço CMED é comparador para outros países do mundo - Pode impactar o registro do produto no Brasil se forem criadas barreiras para reduzir o preço a ser registrado perante a CMED.
- ❑ Desoneração tributária para os medicamentos – Hoje a carga tributária é a maior do mundo – Representa mais que 30% do custo do medicamento.

Obrigado !!

Febrararas@febrararas.org.br



FEBRARARAS

FEDERAÇÃO BRASILEIRA DAS ASSOCIAÇÕES DE DOENÇAS RARAS

SHCS CT Quadra 502, Bloco C, Loja 37, parte 1041. CEP 70330-530 Brasília-DF
Telefones: 61 3246-9284 61 98201-3885