

“COMPARTILHAMENTO DE RISCO NO SISTEMA DE SAÚDE”

DR. CASSIO IDE ALVES

Potenciais Conflitos de Interesses

Diretor Técnico-Médico da ABRAMGE

Membro Titular COSAÚDE

Conselheiro da ONA

Consultor de Saúde ABCF

Membro da SBAM

Executivo Médico com atuação na Saúde Suplementar (Gestão, Auditoria)

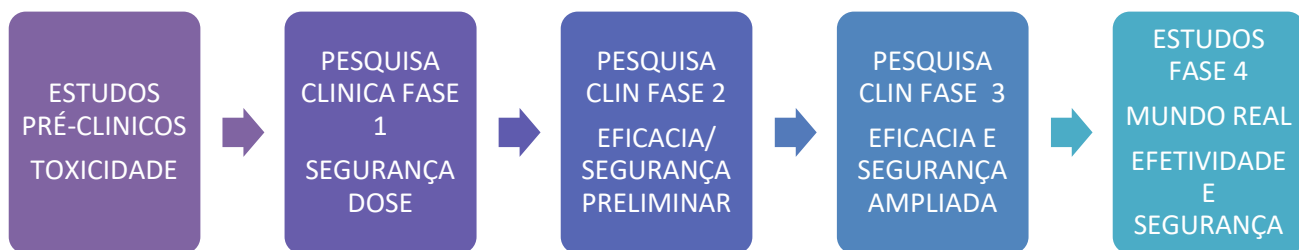
Atuação Assistencial em Consultório e Hospitais em São Paulo



ANVISA

FAST TRACK – RDC 204/2017 PRIORIZAÇÃO (ART. 3 , 4 , 5 , 6)

TERAPIAS AVANÇADAS- RDC 205 – ARCABOUÇO REGULATÓRIO PRÓPRIO



Registro
Fast Track
(6 meses)

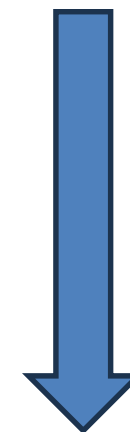
Registro
Pleno

CÂMARA DE REGULAÇÃO DO MERCADO DE MEDICAMENTOS – CMED -Lei de 2004

06 CATEGORIAS (MOLÉCULA NOVA, **GANHO DE EFICÁCIA OU SEGURANÇA**, MEDICAMENTO GENÉRICO) – **evidências distintas**

MAIORIA DAS INOVAÇÕES- **CASO OMISSO** (tempo ???)

MENOR PREÇO CESTA DE PAÍSES/COMPARADOR**



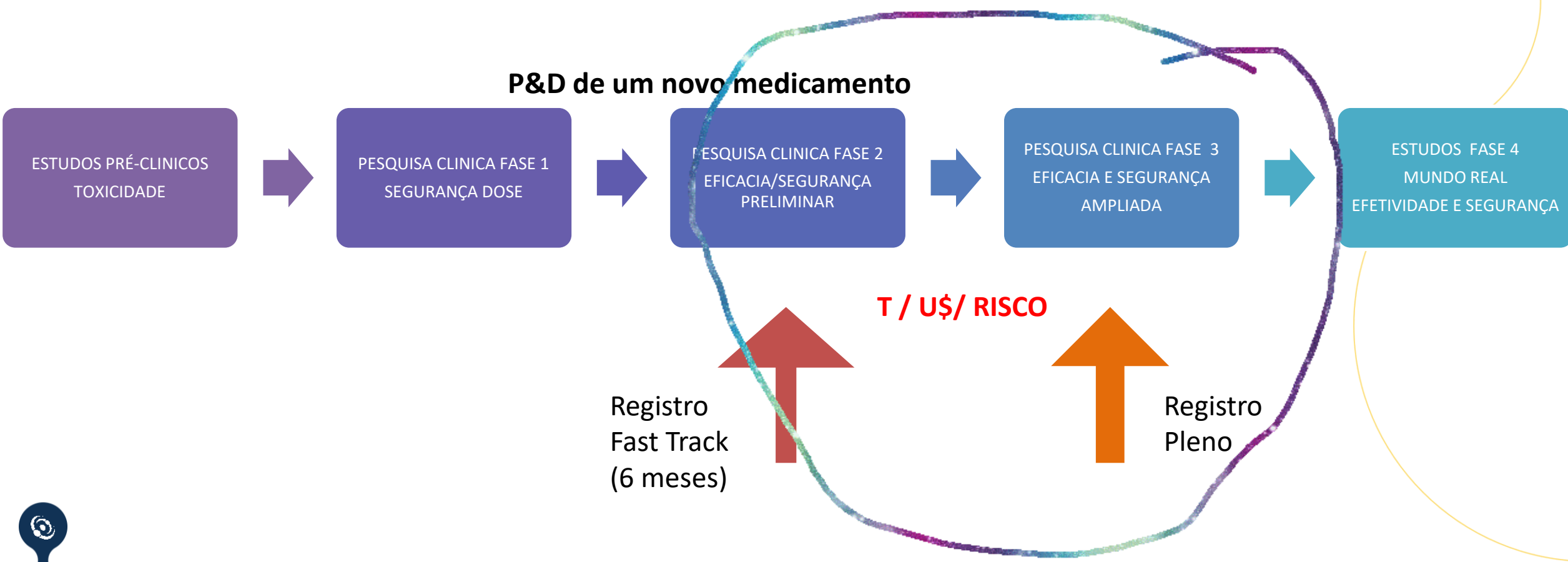
Comercialização
Elegível incluir Lista Assistencial

PRIORITÁRIOS – FAST TRACK

ANVISA- RESPONSÁVEL PELO REGISTRO SANITÁRIO

FAST TRACK – RDC 204/2017 PRIORIZAÇÃO (ART. 3 , 4 , 5 , 6)

TERAPIAS AVANÇADAS- RDC 205 – ARCABOUÇO REGULATÓRIO PRÓPRIO



ESTRATÉGIAS INTERNACIONAIS COMUNS

SEGURANÇA – FARMACOVIGILÂNCIA ATIVA , EXIGÊNCIA DE ESTUDOS DE FASE 3 E 4 E BANCO DE DADOS NACIONAIS

EFICÁCIA EM MUNDO REAL - RWE,REGISTROS CLÍNICOS E MONITORAMENTO DE DESFECHOS (QALY, SLP, AVG)

RACIONALIDADE E SUSTENTABILIDADE- *REAVALIAÇÃO PERIÓDICA DE PREÇOS, PAGAMENTOS FASEADOS, **ACORDOS DE COMPARTILHAMENTO DE RISCO**, CLAUSULAS DE DESEMPENHO ;*

BUSCA POR NOVOS MODELOS DE PAGAMENTO E SISTEMAS DE FINANCIAMENTO

DECISÃO REVERSÍVEL- PROVAÇÃO CONDICIONAL COM POSSIBILIDADE DE RETIRADA OU OBRIGAÇÃO DE AJUSTES



Clinical Benefit and Regulatory Outcomes of Cancer Drugs Receiving Accelerated Approval

Ian T. T. Liu, MD, JD, MPH, MS; Aaron S. Kesselheim, MD, JD, MPH; Edward R. Scheffer Cliff, MBBS, MPH

IMPORTANCE The US Food and Drug Administration’s (FDA) accelerated approval pathway allows approval of investigational drugs treating unmet medical needs based on changes to surrogate measures considered “reasonably likely” to predict clinical benefit. Postapproval clinical trials are then required to confirm whether these drugs offer clinical benefit.

OBJECTIVE To determine whether cancer drugs granted accelerated approval ultimately demonstrate clinical benefit and to evaluate the basis of conversion to regular approval.

DESIGN, SETTING, AND PARTICIPANTS In this cohort study, publicly available FDA data were used to identify cancer drugs granted accelerated approval from 2013 to 2023.

MAIN OUTCOMES AND MEASURES Demonstrated improvement in quality of life or overall survival in accelerated approvals with more than 5 years of follow-up, as well as confirmatory trial end points and time to conversion for drug-indication pairs converted to regular approval.

RESULTS A total of 129 cancer drug–indication pairs were granted accelerated approval from 2013 to 2023. Among 46 indications with more than 5 years of follow-up (approved 2013–2017), approximately two-thirds (29, 63%) were converted to regular approval, 10 (22%) were withdrawn, and 7 (15%) remained ongoing after a median of 6.3 years. Fewer than half (20/46, 43%) demonstrated a clinical benefit in confirmatory trials. Time to withdrawal decreased from 9.9 years to 3.6 years, and time to regular approval increased from 1.6 years to 3.6 years. Among 48 drug-indication pairs converted to regular approval, 19 (40%) were converted based on overall survival, 21 (44%) on progression-free survival, 5 (10%) on response rate plus duration of response, 2 (4%) on response rate, and 1 (2%) despite a negative confirmatory trial. Comparing accelerated and regular approval indications, 18 of 48 (38%) were unchanged, while 30 of 48 (63%) had different indications (eg, earlier line of therapy).

CONCLUSIONS AND RELEVANCE Most cancer drugs granted accelerated approval did not demonstrate benefit in overall survival or quality of life within 5 years of accelerated approval. Patients should be clearly informed about the cancer drugs that use the accelerated approval pathway and do not end up showing benefits in patient-centered clinical outcomes.

JAMA. doi:10.1001/jama.2024.2396
Published online April 7, 2024.

The US Food and Drug Administration (FDA) approves new drugs “shown to be safe and effective” when their proven benefits outweigh their risks.¹ In response to the HIV epidemic of the 1980s, the accelerated approval pathway was developed to provide a pathway for promising drugs treating unmet medical needs to reach the market sooner based on changes to unvalidated surrogate measures considered “reasonably likely” to predict clinical benefit.^{2,3} After accelerated approval is granted, mandatory postapproval trials are then re-

Despite its origins in HIV treatment, accelerated approval is now most common in oncology, with one-third of all oncology drug approvals being granted accelerated approval.⁴ More than 80% of all accelerated approvals are for cancer therapies.⁷ The surrogate measures used for accelerated approvals of cancer therapies include response rate and progression-free survival, imaging or laboratory tests.

The record of accelerated approval



Auth
Regu
Divisi
and F
Depa
and V
Medi
Mass
Corre
Kesse
Divisi
and F
and V
St, St
(akes





+ 1000 ACORDOS

71% DESCONTOS (diretos, parcelamento, CHECK, TRAVAS)

29% ACR





Outcomes-based reimbursement for gene therapies in practice: the experience of recently launched CAR-T cell therapies in major European countries

[Jesper Jørgensen](#),^a [Eve Hanna](#),^b and [Panos Kefalas](#)^a

► [Author information](#) ► [Copyright and License information](#) [PMC Disclaimer](#)

Associated Data

► [Data Citations](#)

ABSTRACT

[Go to:](#) ►

Background: The experience of Kymriah® and Yescarta® provides real-world examples of how health-care systems approach and manage the reimbursement of one-off, high-cost, cell, and gene therapies. [Feedback](#)

The use of innovative payment mechanisms for gene therapies in Europe and the USA

Jesper Jørgensen et al. Regen Med. 2021 Apr.

[Show details](#)



[Full text links](#)

[Cite](#)

...

Abstract

Innovative reimbursement mechanisms have long been considered potential solutions to the data uncertainty associated with one-off, high-value gene therapies that have long-term therapeutic potential, combined with limited supporting evidence at launch. The launches of increasing numbers of such gene therapies in Europe and the USA in the past 5 years provide valuable exemplars of how innovative reimbursement mechanisms are used by healthcare system decision makers in practice. This review details the use of such reimbursement schemes for recently launched gene therapies in key European

Medicare Drug Price Negotiation Program: Negotiated Prices for Initial Price Applicability Year 2026



In August 2022, President Biden signed the Inflation Reduction Act of 2022 (P.L. 117-169) into law. The law makes improvements to Medicare by expanding benefits, lowering drug costs, and improving the sustainability of the Medicare program for generations to come. The law provides meaningful financial relief for millions of people with Medicare by improving access to affordable treatments and strengthening Medicare, both now and in the long run.

For the first time, the law provides Medicare the ability to directly negotiate the prices of certain high expenditure, single source drugs without generic or biosimilar competition. The Centers for Medicare & Medicaid Services (CMS) **selected** ten drugs covered under Medicare Part D for the first cycle of negotiations for initial price applicability year 2026 and engaged in voluntary negotiations with the drug companies for the selected drugs. Below is the list of negotiated prices, which the statute refers to as Maximum Fair Prices (MFPs), for 10 drugs covered under Medicare Part

1- A negociação de preços dos 10 medicamentos anunciada hoje é consequência de uma lei de 2022, o Inflation Reduction Act (P.L. 117-169), que, entre outras coisas, introduz uma nova política de negociação de preços de medicamentos.

19:08

2- Pela primeira vez, o Medicare, que é o programa de saúde do governo para idosos e pessoas com deficiência, recebe o poder de negociar diretamente os preços de certos medicamentos com as farmacêuticas. Isso representa uma mudança significativa, já que anteriormente o Medicare era proibido de negociar preços diretamente.

19:10

3- O processo é "relativamente" aberto como negociação. O Medicare manda uma proposta inicial do preço que gostaria de pagar e a partir daí se reúne com as farmacêuticas que submetem sua contraproposta. Dos 10 anunciados, cinco chegaram ao preço por negociação. Nos outros cinco, o Medicare não concordou com as contraproposta, após uma sequência de rodadas, e enviou uma proposta final. Todas as farmacêuticas acataram essa proposta dentro do prazo concedido.

ESTRATÉGIAS INTERNACIONAIS COMUNS

A) Modelos Baseados em Desempenho (Performance-based agreements)

Visam reduzir a incerteza clínica:

Pagamento por resultado (*outcomes-based*)

Pagamento total apenas se o paciente atingir metas clínicas pré-definidas.

Ex.: **Itália – AIFA** mantém registro nacional e reembolsa apenas em caso de resposta positiva.

Reembolso condicionado (*conditional coverage with evidence development – CED*)

Cobertura provisória enquanto dados adicionais são coletados.

Ex.: **Austrália (PBAC) e Canadá (CADTH)** com protocolos de reavaliação.

Contrato de risco compartilhado (*risk-sharing*) puro

Pagador e fabricante dividem custos adicionais se eficácia for menor que a projetada.

Acordos de teste e adoção (*coverage with trial*)

Acesso limitado a grupos-piloto para avaliação antes de ampliação



ESTRATÉGIAS INTERNACIONAIS COMUNS

B) Modelos Financeiros (Financial-based agreements)

Visam reduzir a incerteza **orçamentária**:

Desconto no preço (Price discount / rebates)

Negociação de desconto fixo no preço unitário.

Ex.: **Reino Unido (NICE) e Itália** usam amplamente para entrada inicial.

Capitação de gastos (*budget cap*)

Pagador define teto de gasto anual; acima dele, fabricante assume custo.

Ex.: **Portugal** e França.

Desconto progressivo por volume (Price-volume agreements)

Preço unitário cai à medida que o volume de uso aumenta.

Pagamento parcelado (*installment payments*)

Usado para terapias gênicas de alto custo (ex.: Zolgensma na Itália e Espanha).



ESTRATÉGIAS INTERNACIONAIS COMUNS

Cobertura Condicional com Geração de Evidência (CED)	Garante acesso enquanto coleta dados para decisão final.	Austrália – PBAC com Managed Access Programs.	SUS: uso de protocolos temporários CONITEC com reavaliação. Saúde suplementar: via Diretriz de Utilização (DUT) temporária.
Pagamento por resultado (outcomes-based)	Pagamento integral apenas se resultado clínico for atingido.	Itália – AIFA reembolsa apenas pacientes respondedores, com base em registros.	SUS: integrado a sistemas como o Hórus. Saúde suplementar: monitoramento via prontuário eletrônico e auditoria.
Contrato de risco compartilhado puro	Divide custo adicional entre pagador e fabricante se eficácia menor que esperada.	Países Nórdicos – acordos de custo dividido conforme resposta populacional.	SUS: para tecnologias de alto risco/incerteza; suplementar: para novos medicamentos de alto custo e incerteza
Modelo de assinatura (subscription model)	Pagamento fixo periódico para acesso ilimitado.	Austrália/Suécia – antivirais de hepatite C em “Netflix model”.	SUS: aplicável para doenças com alto volume de tratamento (HCV, HIV). Saúde suplementar: aplicável em redes credenciadas.



ESTRATÉGIAS INTERNACIONAIS COMUNS

Modelo	Fundamento	Exemplo	Adaptação Potencial Brasil
Desconto fixo no preço (Rebate)	Reduz custo inicial, aumenta viabilidade orçamentária.	Reino Unido – NICE aplica Patient Access Schemes com descontos confidenciais.	Viável no SUS via negociação CMED/CONITEC; na saúde suplementar, via acordos coletivos entre operadoras e indústria.
Desconto progressivo por volume	Estimula negociação e amplia acesso mantendo teto de custo médio.	França – contratos de preço-volume vinculados a registro de uso.	SUS: pactuação por volume de compra (ex.: programas de vacinação). Saúde suplementar: aplicável para medicamentos de alta penetração.
Cap de gasto anual (Budget cap)	Limita risco financeiro total; excedente pago pelo fabricante.	Portugal – teto de gastos com terapias oncológicas.	SUS: via contrato com laboratório para oncologia de alto custo. Saúde suplementar: aplicável a medicamentos orais oncológicos.
Pagamento parcelado (installment)	Dilui impacto orçamentário e vincula pagamento ao resultado sustentado.	Itália/Espanha – Zolgensma pago em parcelas anuais condicionadas a resposta.	SUS: viável para terapias gênicas e DMI; suplementar: parcelamento atrelado a indicadores clínicos.



OBRIGADO !!

CASSIO IDE ALVES

cassio.ide@[abramge.com.br](mailto:cassio.ide@abramge.com.br)

 <https://www.linkedin.com/in/cassioalves>

