



Ministério da Saúde

FIOCRUZ

Fundação Oswaldo Cruz

PRESIDÊNCIA

Audiência Pública
Subcomissão Especial dos Fármacos
Experimentais - Doenças Raras

Marilia Santini de Oliveira

18 de outubro de 2017

- 
- b. Avaliar o contexto nacional e internacional das pesquisas científicas que envolvem as doenças graves e medicamentos;
 - c. Debater a pesquisa, desenvolvimento e inovação na área de doenças graves;
 - d. Identificar os obstáculos para a adequada atenção à saúde dos pacientes com doenças graves;
 - e. Propor medidas que possam melhorar o acesso aos medicamentos e fármacos experimentais;

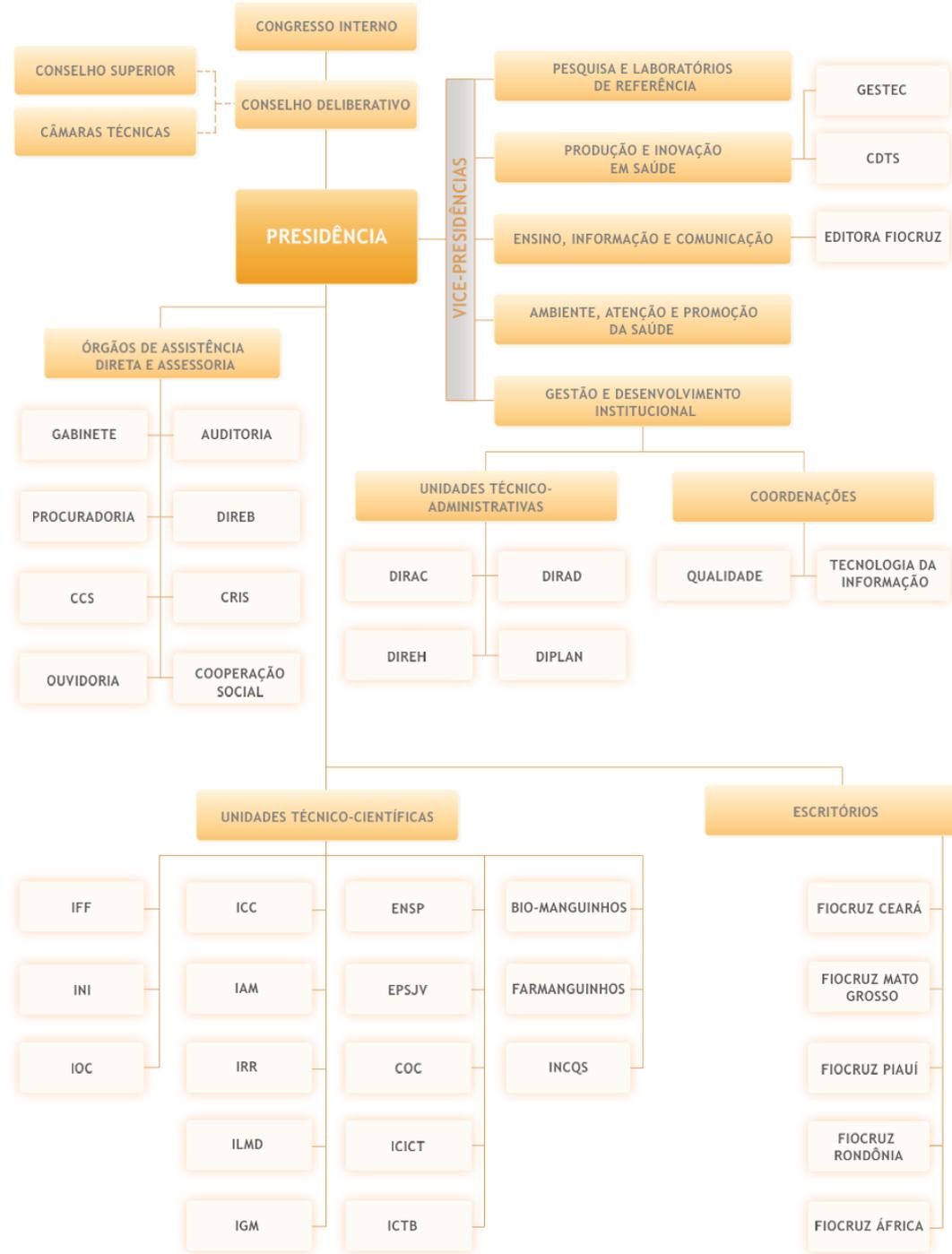
Conhecimentos e experiências trazidos para o debate

Pessoais

- Infectologista, mestrado e doutorado em pesquisa clínica em doenças infecciosas pelo Instituto Nacional de Infectologia Evandro Chagas (INI)/Fiocruz

Institucionais

- Unidades técnico científicas dedicadas à pesquisa básica e clínica; atenção, assistência e promoção da saúde; educação e comunicação; controle de qualidade; produção na área da saúde



Doenças Raras

- Definição por taxa de acometimento:
65/100.000 pessoas (OMS)
- Cerca de 8000 tipos – 500 milhões de
pessoas no mundo, 15 milhões no Brasil
- > 90% sem tratamento específico
- 80% de origem genética

Contexto da Pesquisa na Área

- Grupos de pesquisa acadêmicos: poucos, mais dedicados a estudos bioquímicos e pesquisa clínica
- Inovação e desenvolvimento tecnológico a cargo da indústria farmacêutica (investimento direcionado para perspectiva de venda futura)

Contexto da Pesquisa na Área

Atualmente grande interesse (= investimento das indústrias) em medicamentos órfãos:

- Anos 60 aos 2000: emenda Kefauver-Harris (EUA), boom de medicamentos de uso amplo
- Século XXI: tecnologia disponível para terapia individualizada, diminuição de blockbuster nos portfólios

Quase a totalidade do desenvolvimento e inivação na área da ICH (EU, EUA e Japão)

Pesquisa, Desenvolvimento e Inovação na Área de Doenças Raras

E no Brasil?

- Pesquisa básica: grupos acadêmicos, falta de políticas que estimulem parcerias para o desenvolvimento (da bancada para o uso clínico)
- Desenvolvimento e inovação: transferência de tecnologia de indústrias transnacionais (ex: Alfataliglicerase, BioManguinhos/Fiocruz)

Pesquisa, Desenvolvimento e Inovação na Área de Doenças Raras no Brasil

- Pesquisa clínica: depende da opção do fabricante pelo país, da existência de serviços de saúde com acesso aos voluntários e com profissionais treinados nos diferentes processos da atividade

Obstáculos para Adequada Atenção aos Pacientes

- Implementação incompleta da Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras (2014)
- Diagnóstico tardio (treinamento de profissionais de saúde, laboratórios de referência, informações para a população)

Experiência: IFF/Fiocruz

Condições para Aumentar o Acesso a Produtos Investigacionais

1. Ter o produto em fase clínica de desenvolvimento: incentivos financeiros, fiscais e científicos para:
 - Pesquisa básica na área
 - Plantas de produção de tecnologia avançada
 - Formação de pessoal capacitado

Resultados a médio / longo prazo,
investimento alto, necessidade de continuidade

Condições para Aumentar o Acesso a Produtos Investigacionais

2. Ambiente favorável à pesquisa clínica:

- Cenário regulatório mais favorável (tempo de análise, número de instâncias de análise, acesso pós-estudo)
- Associações de pacientes organizadas e conhecedoras de pesquisa clínica (voluntários informados e estimulados)
- Formação de pessoal capacitado

Resultados a curto / médioprazo, investimento médio / baixo, necessidade de continuidade

Condições para Aumentar o Acesso a Produtos Investigacionais

3. Cadeia de desenvolvimento completa, integrada e regulada por Políticas Públicas que:

- Incentivem o desenvolvimento tecnológico
- Fomentem a formação de pessoal capacitado para pesquisa e produção em todos os níveis
- Garantam aporte adequado e contínuo de investimentos para toda a cadeia
- Melhorem o cenário regulatório
- Fortaleçam a comunicação em saúde e a sociedade civil

Aprimorar formas de monitoramento, análise crítica e melhoria contínua

Algumas Medidas Sugeridas

1. Formulação de políticas intersetoriais (planejamento, fazenda, saúde, educação, ciência e tecnologia, ANVISA, CNS, etc) com monitoramento e análise crítica por equipe conjunta de todos os setores envolvidos
2. Atos legislativos que garantam o financiamento adequado para a efetiva implementação da política nacional
3. **Manutenção e aprimoramento do SUS, em todos os seus princípios e pressupostos**

Algumas Medidas Sugeridas

A VIII Conferência Nacional de Saúde (1988) elabora e propõe o Sistema Único de Saúde (SUS) tendo como pressuposto “Fazer Saúde” em contraposição a “Comprar Saúde”

Atos que voltam a favorecer a idéia de saúde como produto num cenário de:

- Doenças raras acometendo número pequeno mas crescente de pacientes
- Medicamentos de alto custo
- Investimento grande para ter desenvolvimento tecnológico, inovação e capacidade de produção de produtos para diagnóstico e tratamento
- Cenário de crise econômica

= Grande chance dos financiadores optarem por não investir nesse tipo de “compra”

Obrigada!

marilia.santini@fiocruz.br