

# A CONTRIBUIÇÃO DA INTERFARMA NAS DOENÇAS RARAS



## **Audiência Pública - CSSF**

*"Debater doenças raras, dificuldades no acesso ao tratamento e a judicialização sob a ótica do paciente".*

20 de outubro 2016

# DOENÇAS RARAS

**350.000.000**

de pacientes lutam contra uma  
doença rara no mundo

as crianças são

**50%**

dos pacientes  
que sofrem com  
as doenças  
raras

**85%**

das doenças raras  
são de origem  
genética

**6.000 a 8.000**

é o número de doenças raras que se  
acredita conhecer

dos pacientes  
não são  
diagnosticados  
no início da  
doença

**40%**

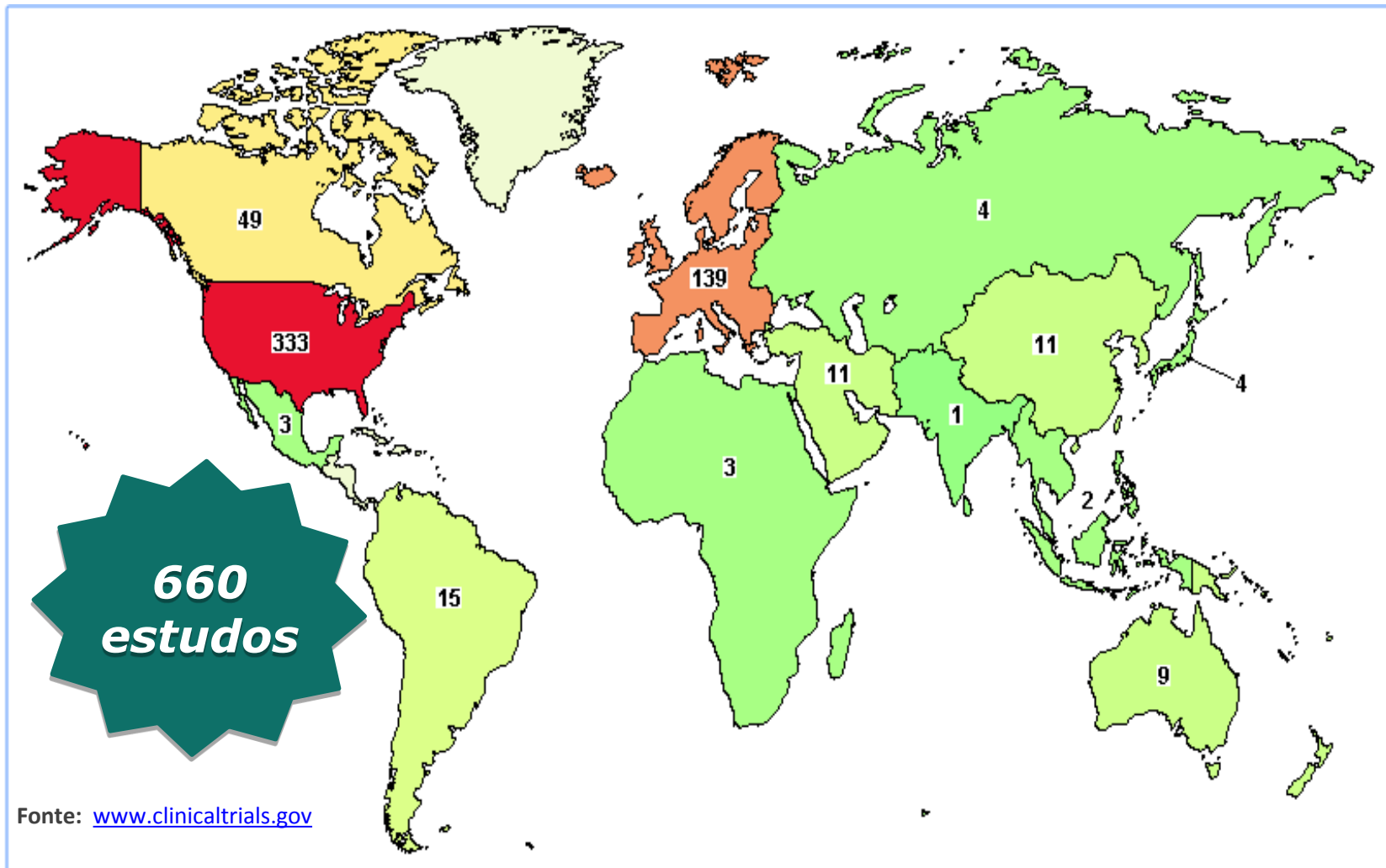
**7,3**  
**médicos**

chegam a ser consultados  
até o diagnóstico

**4,8 anos**

é o tempo que  
costuma levar até um  
diagnóstico preciso de  
uma doença rara

# ESTUDOS NO MUNDO SOBRE DOENÇAS RARAS



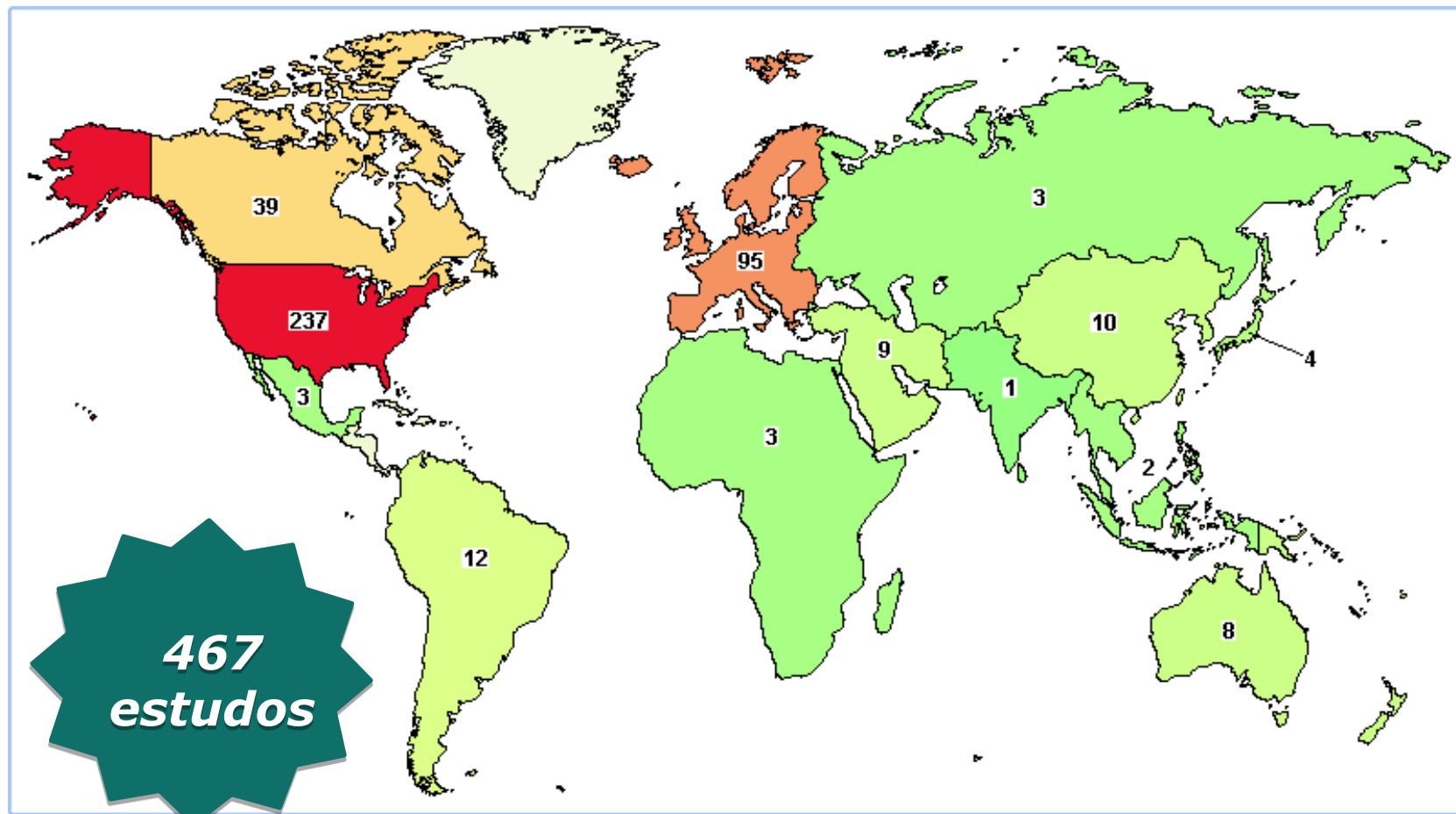
Fonte: [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

# ESTUDOS NA AMÉRICA LATINA SOBRE DOENÇAS RARAS



Fonte: [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov)

# ESTUDOS NO MUNDO SOBRE MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS



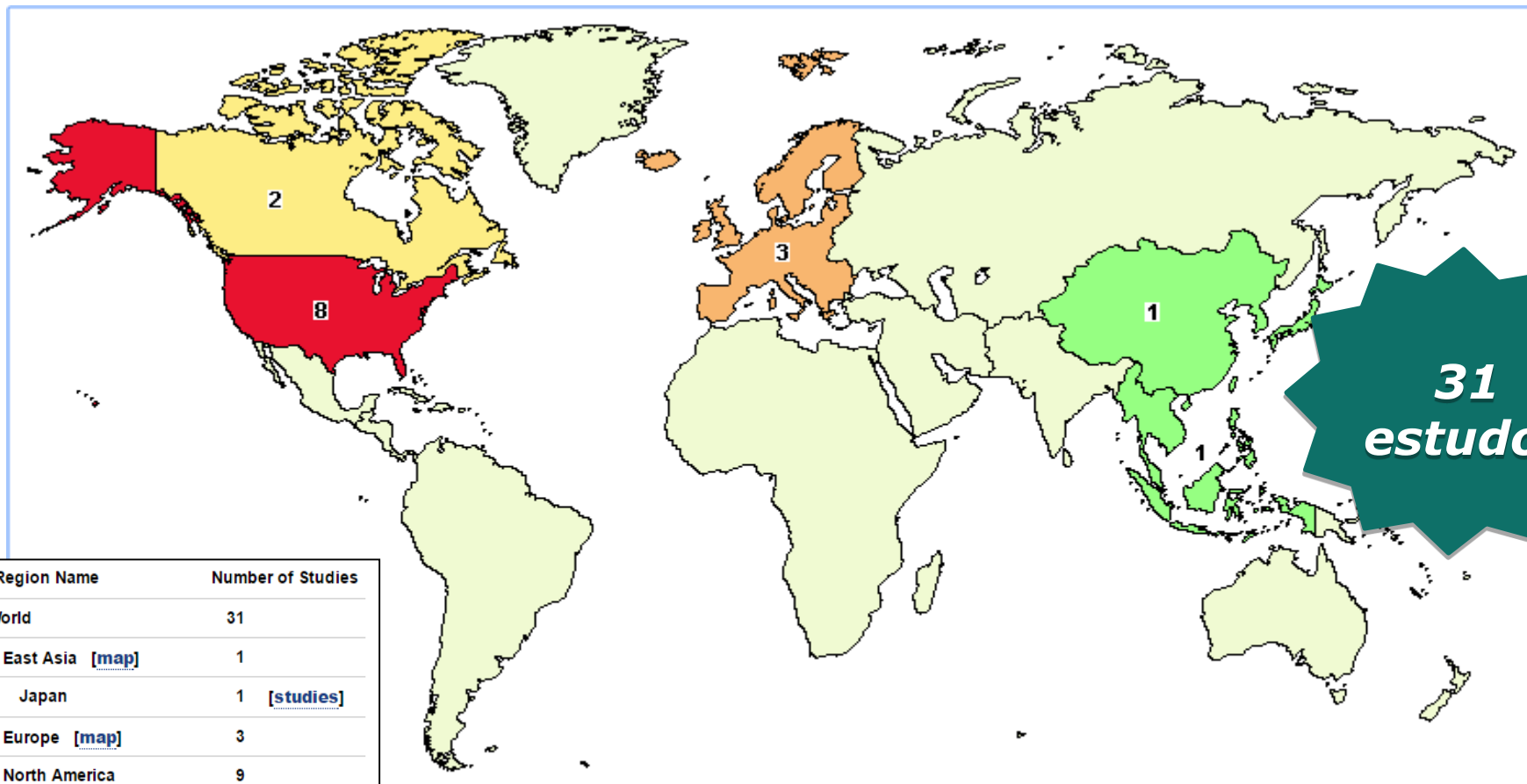
**467**  
*estudos*

Colors indicate the number of studies with locations in that region

Least  Most

Labels give the exact number of studies

# ESTUDOS NO MUNDO SOBRE DROGAS ÓRFÃS PARA DOENÇAS RARAS



**31**  
*estudos*

Region Name	Number of Studies
World	31
East Asia <a href="#">[map]</a>	1
Japan	1 <a href="#">[studies]</a>
Europe <a href="#">[map]</a>	3
North America	9
Canada <a href="#">[map]</a>	2 <a href="#">[studies]</a>
United States <a href="#">[map]</a>	8 <a href="#">[studies]</a>
Southeast Asia <a href="#">[map]</a>	1

Colors indicate the number of studies with locations in that region

Least  Most

Labels give the exact number of studies

# OS AVANÇOS NO EXECUTIVO

- **PORTARIA 199/2014** - Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras;
- **Portaria 5/2015** – Incorpora a avaliação diagnóstica, procedimentos ambulatoriais e o aconselhamento genético;
- **Portaria 19/15** – Definiu os 47 PCDTs para Doenças Raras – 12 primeiros até 12/2015.

***“É importante que o Ministério da Saúde acate as decisões do Ministério da Saúde!”*** SALMO RASKIN - (PUC –PR)

- **RDC 37/2014-** 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 60/2014** – Permite registro de medicamentos em Fase II de Pesquisa Clínica (Art. 25).

# MARCOS LEGAIS PARA ACESSO A MEDICAMENTOS

- **Lei 12.401/11:** Dispõe sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.
- **RDC ANVISA 81/08:** Importação para uso por pessoa física;
- **Resolução CNS 466/12:** assegurar aos participantes da pesquisa os benefícios resultantes do projeto, seja em termos de retorno social, acesso aos procedimentos, produtos ou agentes da pesquisa;
- **RDC ANVISA 38/13:** Programas de acesso expandido, uso compassivo e fornecimento de medicamento pós-estudo;
- **RDC Nº 8/14:** 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;



# DOENÇAS RARAS

## ALGUNS **ENTRAVES** PARA A INCORPORAÇÃO

- Hoje, as drogas utilizadas para doenças raras são submetidas às mesmas **exigências** e critérios dos outros medicamentos:
  - A **existência** de ensaios clínicos randomizados com número elevado de pacientes
  - A **comprovação do prolongamento da sobrevida ou redução de desfechos** relevantes no contexto da doença no longo prazo com o uso do novo medicamento
  - Atingimento de **limites de custo-efetividade** aceitáveis, pois em geral os custos por paciente são bastante elevados, e geralmente comparados a um cenário sem tratamento direcionado que impacte na evolução ou progressão da doença
- **O uso de critérios idênticos aos dos demais medicamentos para drogas órfãs leva, na prática, à NÃO INCORPORAÇÃO da maior parte dos medicamentos avaliados.**

# DOENÇAS RARAS

## ESTUDO POSSÍVEIS SOLUÇÕES PARA OS ENTRAVES

### ▪ OBJETIVO

- Avaliação de **critérios específicos** (aspectos clínicos, econômicos e sociais) adotados por outros países, discutidos com especialistas, para identificação do melhor modelo a ser seguido pela CONITEC, para a incorporação de medicamentos órfãos, para tratar doenças raras no SUS.

### ▪ METODOLOGIA

- Análise de modelos internacionais - 8 países (Austrália, Canadá, Coreia do Sul, Escócia, França, Holanda, Japão e Reino Unido)
- Identificados 16 critérios mais alinhados à realidade brasileira
- Painel de especialistas (médicos, sociedade civil organizada e academia), visando a discussão e definição dos melhores critérios de avaliação

# DOENÇAS RARAS

## ESTUDO POSSÍVEIS SOLUÇÕES PARA OS ENTRAVES

### ▪ RESULTADO

- Identificados os **10 Principais Critérios** que deveriam ser observados para incorporação de novas tecnologias para tratar doenças raras

Medicamentos aprovados para doenças que possam ser identificadas, considerando critérios diagnósticos internacionalmente aceitos

Medicamentos aprovados para doenças que levem o paciente a um estado de saúde grave e progressivo

Medicamentos aprovados para doenças clinicamente possíveis de se definir e que afetem até 65 pessoas em cada 100 mil

Medicamentos aprovados para doenças que afetem a qualidade de vida do paciente e de seu cuidador

Medicamentos que comprovem melhora clínica considerável para a condição de saúde estudada

Medicamentos com custo anual considerado excessivamente alto para ser arcado pelo paciente ou responsável

Medicamentos com evidências comprovadas de que melhorem a qualidade de vida ou as comorbidades associadas

Medicamentos aprovados para doenças que reduzam significativamente a sobrevida dos pacientes quando não tratadas

Medicamentos com benefícios clínicos relevantes para os pacientes e comprovados por estudos clínicos

Ausência de medicamentos para tratar o subgrupo de pacientes com indicação para a droga avaliada, sejam todos os pacientes com a doença ou aqueles que tenham falhado a um tratamento inicial

# OS AVANÇOS NO CONGRESSO NACIONAL

- **PL 1606/11** - Institui a Política Nacional para Doenças Raras no Sistema Único de Saúde, o SUS. Parecer do Relator, Dep. Marcos Rogério (DEM-RO), pela constitucionalidade, juridicidade e técnica legislativa (**18/05/2016**). Pronta para Pauta na Comissão de Constituição e Justiça e de Cidadania (CCJC). Concluiu tramitação na Câmara dos Deputados sem alteração do substitutivo elaborado pelo Dep. Perondi. Tramitou para ao Senado em setembro de 2016, onde a mesa já definiu as duas Comissões - CDH e CAS por onde tramitará. Recebeu a numeração PLC 56/16 e o relator será o Senador Romário;
- **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. PLS tramitou para Câmara dos Deputados, em 2015, recebendo o número **PL. 2657/2015**. Proposição Sujeita à **Apreciação Conclusiva** pelas Comissões de Seguridade Social e Família e Constituição e Justiça e de Cidadania – Relator Dep. Darcísio Perondi);
- **PL 3302/2015** - Dispõe sobre a aplicação mínima de recursos para a pesquisa e o desenvolvimento de diagnósticos, medicamentos e outros produtos para a saúde destinados ao tratamento de doenças raras. Situação: Aguardando Designação de Relator na Comissão de Seguridade Social e Família (CSSF). Última ação legislativa: 22/10/2015. – Apensou 5 projetos.

36 Protocolos Clínicos e Diretrizes  
Terapêuticas e

13 medicamentos órfãos para  
doenças raras registrados na  
ANVISA

# ÓRFÃOS NÃO INCORPORADOS

Entretanto, dentre estas doenças, existem ainda tecnologias disponíveis **NÃO CONTEMPLADAS** nos protocolos de tratamento.

DOENÇA	MEDICAMENTOS
Esclerose Lateral Amiotrófica	Riluzol
Angioedema Hereditário	Icatibanto
Acromegalia	Pegvisomant

# ÓRFÃOS NÃO INCORPORADOS

Além destas, existem **10 DOENÇAS** para as quais existem medicamentos órfãos registrados no Brasil e que não foram incorporadas pelo SUS, nem possuem protocolos de diagnóstico e tratamento estabelecidos.

DOENÇA	MEDICAMENTOS
Doença de Pompe	Alfaglicosidade
Deficiência de Biotinidase	Biotina
Doença de Fabry	Alfagalsidade, Beta-Galsidade
Mucopolissacaridose I	Laronidase
Mucopolissacaridose II	Idursulfase
Mucopolissacaridose IV A	Elosulfase Afa
Mucopolissacaridose VI	Galsulfase
Niemann-Pick Tipo C	Miglustate
Leucemia Mielóide Aguda	Idarrubicina
Polineuropatia Amiloidótica Familiar	Tafamidis Meglumine

E EXECUÇÃO DO ORÇAMENTO DA SAÚDE?



# EXECUÇÃO ORÇAMENTÁRIA MINISTÉRIO DA SAÚDE

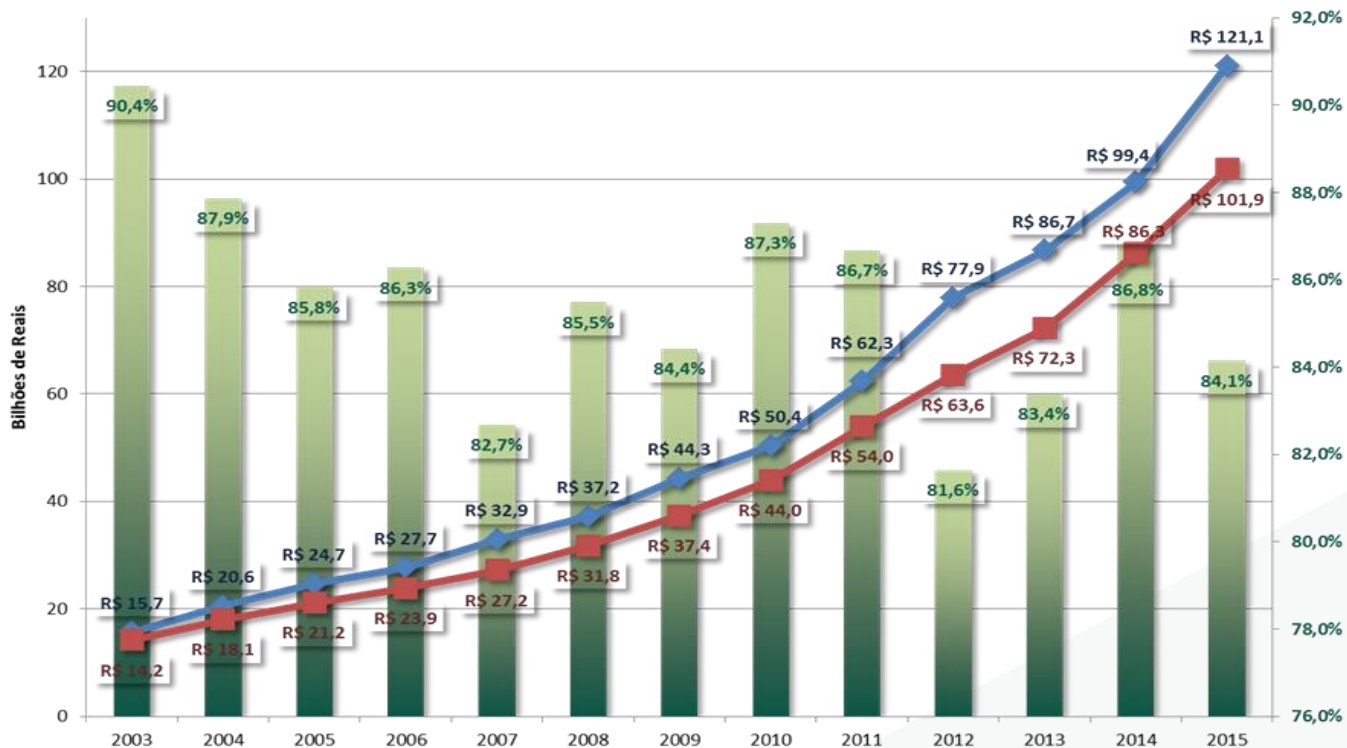
Valores em bilhões de reais a preços médios de 2015 (IPCA)

	2003	2004	2005	2006	2007	2008	2009	2010	2011	2012	2013	2014	2015	Acumulado
Autorizado	15,7	20,6	24,7	27,7	32,9	37,2	44,3	50,4	62,3	77,9	86,7	99,4	121,1	700,9
Pago	14,2	18,1	21,2	23,9	27,2	31,8	37,4	44	54	63,6	72,3	86,3	101,9	595,9
% Execução	90,4%	87,9%	85,8%	86,3%	82,7%	85,5%	84,4%	87,3%	86,7%	81,6%	83,4%	86,8%	84,1%	85,0%

Fonte: "Orçamento da União em Foco: Parâmetros, resultados fiscais e execução" - Câmara dos Deputados (Brasília outubro de 2016); Elaboração: Interfarma

**105 BILHÕES NÃO EXECUTADOS  
(ACUMULADO DE 10 ANOS)**

Valores em bilhões de reais a preços médios de 2015 (IPCA)



Fonte: "Orçamento da União em Foco: Parâmetros, resultados fiscais e execução" - Câmara dos Deputados (Brasília outubro de 2016); Elaboração: Interfarma

# QUESTIONAMENTO

E SE O MEDICAMENTO NECESSÁRIO FOR O ÚNICO EXISTENTE PARA O TRATAMENTO DA DOENÇA E, SE NÃO EXISTIR NENHUMA ALTERNATIVA TERAPÊUTICA INCORPORADA, O QUE FAZ O PACIENTE?

# JUDICIALIZAÇÃO

# JUDICIALIZAÇÃO

## FATORES

- **Pouca incorporação:** nos últimos três anos, até julho de 2015, mais de 56% dos pedidos de incorporação foram negados, o equivalente a quase 200 medicamentos (Fonte: dados públicos Ministério da Saúde);
- **Atrasos e problemas de logística:** mesmo medicamentos incorporados ao SUS acabam em falta nos postos de saúde e hospitais públicos.
- **População sem subsídio:** 75% da população conta apenas com o próprio salário para a compra de medicamentos (Fonte: OECD Health Data/2008 e Datasus/Siops);
- **Crise econômica:** as dificuldades financeiras e a taxa de desemprego aumentaram, além do crescimento da inflação;
- **Envelhecimento da população:** os idosos já representam 12% do total da população, aumentando a incidência de doenças como câncer, hipertensão, diabetes e problemas neurológicos (Fonte: IBGE);

# JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

## CONSEQUÊNCIAS

- Desorganização das contas públicas, do planejamento da assistência à saúde e do planejamento da indústria farmacêutica;
- Em apenas quatro anos, o gasto do Ministério da Saúde com ações judiciais saltou 107%, passando de **R\$ 368 milhões** para **R\$ 761 milhões** em 2015; o acumulado do quadriênio é **R\$ 2,53 bilhões**.
- Favorecimento aos que melhor demandam e não aos que realmente necessitam;
- Geração de oportunidades para ações antiéticas e prejudiciais ao sistema;

# TIPOS DE JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

## 1. TERAPIA JÁ INCORPORADA

1. Possui registro sanitário, está incorporado ao Sistema Único de Saúde (SUS) mas, não está disponível no postos de saúde e hospitais públicos. ( 3 a 4%)\*

## 2. TERAPIAS EM FASE EXPERIMENTAL

2. Sem registro sanitário, o medicamento não pode ser incorporado ao SUS: risco à segurança do paciente.

*A INTERFARMA, ainda que respeitando a autonomia e o sofrimento de pacientes e de seus familiares, não deve defender o acesso a experimentos em fase de pesquisa, ausentes da garantia de sua segurança e eficácia” \*\* RDC60/2014 permite registro de medicamentos em Fase II de P&D*

## 3. TERAPIAS JÁ APROVADAS

3. Possui registro em outros países e no Brasil, mas não é incorporado pelo SUS: Decisão próxima pelo Supremo Tribunal Federal (STF)

# JUDICIALIZAÇÃO

## RANKING MEDICAMENTOS JUDICIALIZADOS – DOENÇAS RARAS COMPRAS DO MINISTÉRIO DA SAÚDE (2015)\*

Ranking (20 + JUD)	Medicamento	Indicação	Registro Anvisa	Registro EMA	Registro FDA	Incorporado pela CONITEC	Valor Judicialização MS 2015	% Variação Judicialização MS 2015/1
1	ECULIZUMABE	hemoglobinúria paroxística noturna	NÃO	SIM	SIM	NÃO	376.945.666	76,37%
2	ELOSULFASE ALFA	mucopolissacaridose, tipo iva	SIM	SIM	SIM	NÃO	70.635.233	135,31%
3	LOMITAPIDA	hipercolesterolemia hereditária	NÃO*	SIM	SIM	NÃO	51.847.951	104,08%
4	ATALURENO	distrofia muscular	NÃO	SIM	NÃO	NÃO	26.954.166	∞
5	INIBIDOR DE ESTERASE	angioedema hereditário	NÃO	SIM	SIM	NÃO	15.010.271	59,85%
9	MERCAPTAMINA	cistinose nefropática	NÃO*	SIM	SIM	NÃO	4.247.760	1787,30%
10	MIPOMERSEN	hipercolesterolemia hereditária	NÃO	SIM	SIM	NÃO	4.194.164	352,44%
11	TAFAMIDIS	polineuropatia amiloidótica familiar	NÃO	SIM	NÃO	NÃO	4.151.561	10,93%
14	ALFA-1 ANTITRIPSINA (AAT)	deficiência de alfa-1 antitripsina (doença genética)	SIM	SIM	SIM	NÃO	2.503.939	46,02%
15	CANAQUINUMABE	artrite idiopática juvenil sistêmica	SIM	SIM	SIM	NÃO*	2.379.173	138,97%
19	NITISINONA	tirosinemia hereditária do tipo 1 (HT-1)	NÃO	SIM	SIM	NÃO	1.572.408	200,82%
<b>TOTAL (DOENÇAS RARAS)</b>							<b>R\$ 560.442.292,00</b>	

\*valores em milhões de reais

# JUDICIALIZAÇÃO

## MEDICAMENTOS JUDICIALIZADOS PARA DOENÇAS RARAS COMPRAS DO MINISTÉRIO DA SAÚDE (2015)

- Os 11 medicamentos listados representam **90,5% (R\$ 560,4 milhões)** dos itens comprados por meio da judicialização pelo Ministério da Saúde, em 2015, de um investimento total de R\$ 618,6 milhões;
- são indicados para doenças genéticas;
- 8 não possuem registro na ANVISA (dois foram indeferidos);
- Todos (11) possuem registro na Agência Europeia de Medicamentos (EMA);
- 9 possuem registro na FDA;
- **Nenhum** foi incorporado pela CONITEC



# JUDICIALIZAÇÃO: COMO REDUZIR CUSTOS?

## INCORPORAÇÃO DE ANTIVIRAIS PARA HEPATITE C REDUZ GASTOS DO MS E AUMENTA ACESSO

**Após a incorporação**, os antivirais foram adquiridos por valores unitários com **reduções de até 86%**, em comparação com os apurados na judicialização.

O valor da primeira compra dos três antivirais foi de R\$921,9 milhões (após incorporação). **Se o MS tivesse comprado esse volume com os preços médios unitários da judicialização de 2015, os gastos alcançariam R\$4,5 bilhões (R\$ 3,6 bilhões acima do gasto pós-incorporação).**

Medicamento	Antes da Incorporação (judicialização em 2015)			Após Incorporação				Redução média valor unitário
	Valor (R\$)	Qtde.	Valor unitário médio (R\$)	Data da publicação do contrato no DOU	Valor Contrato (R\$)	Qtde.	Valor unitário (R\$)	
DACLATASVIR	345.100	812	425	30 de julho de 2015	172.057.195	1.834.056	94	-78%
SIMEPREVIR	893.154	1.316	679	20 de agosto de 2015	70.902.020	736.848	96	-86%
SOFOSBUVIR	4.275.070	3.528	1.212	6 de agosto de 2015	678.904.773	2.684.304	253	-79%
<b>TOTAL</b>	<b>5.513.324</b>	<b>5.656</b>			<b>921.863.988</b>	<b>5.255.208</b>		

# JUDICIALIZAÇÃO

## INCORPORAÇÃO BRASIL x OUTROS PAÍSES

Incorporação de Medicamentos pelos Sistemas de Saúde em outros países  
Demandas da indústria farmacêutica

País	% Pedido Aprovado
<b>Brasil*</b>	23%
<b>Canada</b>	<b>52%</b>
<b>França</b>	64%
<b>Escócia</b>	68%
<b>Reino Unido</b>	72%
<b>Austrália</b>	74%
<b>Suécia</b>	95%
<b>Média dos 6 países, exceto Brasil</b>	71%

Fonte: PolicyMatters.ca Expert perspectives on select areas of Canadian health policy ([www.policymatters.ca](http://www.policymatters.ca))

\* Status em 15 de junho de 2016.

# O CAMINHO PARA O PACIENTE



# JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

## POSICIONAMENTO DA INTERFARMA

- **A INTERFARMA** entende que condenar a judicialização e o acesso à Justiça para a efetivação dos direitos, é um retrocesso democrático;
- Possuir esse entendimento não significa apoiar formas ilegais ou antiéticas de judicialização. Para tanto, criou dispositivos no seu Código de Conduta, para punir as empresas associadas que incentivarem – direta ou indiretamente – a prática dessa ação.

# JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

## SUGESTÕES INTERFARMA

- Propõe a **criação de canais de diálogo** entre os cidadãos e Governo para **conciliação prévia**, evitando a moção de ações judiciais;
- **Formação de Câmaras Técnicas de Conciliação no Poder Judiciário** para auxiliar os magistrados na formação de um juízo de valor para apreciação das questões clínicas em ações judiciais;
- **Criação Varas especializadas** para aprimorar o conhecimento técnico-científico e a jurisprudência;

# JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

## SUGESTÕES INTERFARMA

- **Nova política de incorporação de tecnologias** para romper o círculo vicioso da CONITEC que recusa incorporar por falta de recursos. Decisão que estimula a judicialização e obriga o Estado a adquirir produtos com preços quatro vezes maior per capita, quando comparado ao paciente com acesso a medicamento pelo SUS.

*" A judicialização irá reduzir à medida em que a incorporação necessária, e apenas a necessária, seja ampliada".\**

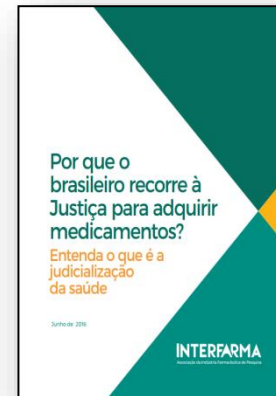
# CONCLUSÃO – 6 MEDIDAS EMERGENCIAIS

No **BRASIL**, é preciso ousar e concluir as 6 medidas emergenciais e importantes :

- **CRENCIAR OS CENTROS DE REFERÊNCIA DE ACORDO COM A PORTARIA 199/2014,**
- **DIAGNÓSTICO PRECOCE E PRECISO,**
- **FINALIZAR O PROCESSO DE ORGANIZAÇÃO DOS PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT),**
- **DISCUTIR CRITÉRIOS DE INCORPORAÇÃO NO SUS DOS TRATAMENTOS JÁ DISPONÍVEIS;**
- **INCLUIR NAS DISCUSSÕES OFICIAIS A SOCIEDADE CIVIL E A INDÚSTRIA FARMACÊUTICA;**
- **ACELERAR A REVISÃO DA RESOLUÇÃO 466/12, PARA PESQUISA DE DOENÇAS RARAS.**

# DOENÇAS RARAS /JUDICIALIZAÇÃO DA SAÚDE

## PUBLICAÇÕES INTERFARMA PARA OS TEMAS



Ou acesse todos por aqui:





# OBRIGADA

---

**MARIA JOSÉ DELGADO FAGUNDES**

Diretora

[maria.delgado@interfarma.org.br](mailto:maria.delgado@interfarma.org.br)

Rua Verbo Divino, 1.488  
cj. 7A · Chácara Sto. Antônio  
São Paulo · SP · 04719-904

t. +55 11 5180-3499  
f. +55 11 5183-4247

[www.interfarma.org.br](http://www.interfarma.org.br)

**INTERFARMA**  
Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa