

CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS

Relatório - SUBFARMA

Relatora Deputada LEANDRE
Presidente Deputado ARLINDO CHINAGLIA
Vice-Presidente Deputada CARMEN ZANOTTO

APRESENTAÇÃO

- ▶ A assistência farmacêutica e as formas de acesso aos medicamentos, tendo em vista a integralidade da atenção à saúde, em especial para os pacientes com doenças raras e graves, são temas que possuem alta relevância para a concretização do direito à saúde e constituem objeto da presente Subcomissão Especial.
- ▶ O acesso a terapias experimentais ainda não autorizadas no País também mereceu atenção especial da Subcomissão.
- ▶ Os trabalhos foram pautados pelos objetivos constantes do Plano de Trabalho aprovado pelos membros desta Subfarmá.
- ▶ Importante destacar que a Subfarmá enfrentou diversos obstáculos no decorrer do desenvolvimento dos trabalhos. O calendário eleitoral brasileiro além da exaustiva pauta do Plenário, foram os principais óbices para a definição de uma agenda que permitisse à Subcomissão promover os debates apropriados para aprofundar a análise de tão importante tema. Assim, o cumprimento de alguns objetivos propostos ficou comprometido.

1. ACOMPANHAMENTO DA FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA
2. O ACESSO AOS MEDICAMENTOS E A SUA JUDICIALIZAÇÃO
3. PESQUISA E DESENVOLVIMENTO: A IMPORTÂNCIA ESTRATÉGICA DOS MEDICAMENTOS
4. DOENÇAS GRAVES E RERAS E A POSSIBILIDADE DE ACESSO AOS FÁRMACOS EXPERIMENTAIS

1. ACOMPANHAMENTO DA FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA

a) USO DA SUBSTÂNCIA

- ▶ Muitos pacientes diagnosticados com algum tipo de neoplasia maligna e sem alternativas terapêuticas regularmente aprovadas e com eficácia contra a patologia, tiveram acesso à substância produzida pelo IQSC/USP, na luta para proteger sua própria vida.
- ▶ A produção e distribuição referidas ocorreram à margem da lei e da regulamentação que rege o setor.
- ▶ Não havia a comprovação científica exigida legalmente para que ela pudesse ser qualificada e reconhecida como medicamento. Mas, apesar disso existem muitos relatos e testemunhos de pessoas que utilizaram a fosfoetanolamina sobre a melhoria dos sintomas.

b) PESQUISAS CIENTÍFICAS

- ▶ Após o grande clamor social que circundou o caso da fosfo, o Poder Público, por meio do MCTIC, tem financiado uma série de estudos com o objetivo de aprofundar a análise e o entendimento sobre a substância.
 - Três grupos de pesquisadores estão envolvidos com os testes pré-clínicos: o Laboratório de Avaliação e Síntese de Substâncias Bioativas da Universidade Federal do Rio de Janeiro - LASSBIO/UFRJ, em associação com o Laboratório de Química Orgânica Sintética - LQOS/UNICAMP; Centro de Inovação de Ensaios Pré-clínicos - CIEnp em Florianópolis/SC; e Núcleo de Pesquisa e Desenvolvimento de Medicamentos da Universidade Federal do Ceará - NPDM/UFC.
- ▶ A nível estadual, o estado de SP, por meio do ICESP, vem desenvolvendo pesquisas


- ▶ Os resultados, até então obtidos pelos pesquisadores do grupo do MCTIC, sobre a fosfoetanolamina revelam que:
 - Não é tóxica ao organismo humano e não apresentou efeitos adversos nos animais estudados, nem em doses muito altas;
 - Os testes de genotoxicidade também apresentaram resultados negativos;
 - No caso de testes em animais com melanoma, a substância obteve resposta positiva em 65% dos casos.
 - Não apresenta atividade citotóxica e antiproliferativa in vitro, nem em linhagens de células humanas
- ▶ Já no ICESP:
 - os estudos de fase 1 já foram concluídos, não tendo sido demonstrada toxicidade.
 - Os estudos de fase 2 (em humanos) já foram iniciados, com o acompanhamento de 200 pacientes, divididos em 10 grupos de acordo com o tipo de neoplasia. Essa fase teve início em outubro de 2016, com previsão de duração de 6 meses;

c) **LEI 13.269/16 E ADI 5501**

- ▶ Elaboração do projeto, pelo GT da fosfo, que resultou na Lei 13.269/2016, que autorizou seu uso por pacientes diagnosticados com neoplasia maligna, em caráter excepcional, enquanto estiverem em curso estudos clínicos acerca dessa substância.
- ▶ ADI 5501 questiona a constitucionalidade da lei, sendo que, em caráter liminar, esta teve seus efeitos suspensos até o julgamento de mérito.

2. O ACESSO AOS MEDICAMENTOS E A SUA JUDICIALIZAÇÃO

- a) O STF ainda não havia sido provocado a se pronunciar sobre o dever do Estado em garantir o acesso a medicamentos sem o registro sanitário na Anvisa e uso off label. Tais temas serão analisados no âmbito dos Recursos Extraordinários nºs 657.718/MG e 566.471/RN (Anexo 3), que tiveram sua repercussão geral reconhecida.
- b) Grande aumento dos casos de judicialização no Brasil, com impactos negativos para o SUS, tendo como consequência a não efetivação das políticas de saúde, gerando uma desorganização nas contas públicas e no planejamento.
 - ▶ Em apenas 4 anos, os gastos do Ministério da Saúde em ações judiciais saltaram 107%, chegando em 2015 a R\$761 milhões

- 
- ▶ Segundo a Interfarma, o aumento no número de ações envolvendo o direito à saúde tem como fatores:
 - População sem subsídio;
 - Crise econômica;
 - Envelhecimento da população;
 - Pouca incorporação de novos produtos pelo SUS;
 - Atrasos e problemas de logística;
 - ▶ Por outro lado, o SUS deve atuar em observância ao princípio constitucional da economicidade. A carência de recursos exige a sua priorização, de modo que a incorporação de tecnologias deve ser avaliada do ponto de vista do custo-efetividade dos medicamentos, como forma de proteger o interesse coletivo.

c) O CNJ e o Ministério da Saúde firmaram termo de cooperação técnica para *“proporcionar aos Tribunais de Justiça (TJ) e Tribunais Regionais Federais (TRF) subsídios técnicos para a tomada de decisão com base em evidências científicas nas ações relacionadas com a atenção à saúde”*.

▶ Estão sendo construídos bancos de dados técnicos para subsidiar as decisões dos magistrados, com notas técnicas, análises de evidências científicas e pareceres técnicos científicos consolidados, além de notas da CONITEC e acesso a outras ferramentas.

d) A Justiça Federal do Distrito Federal desenvolveu o Projeto Doenças Raras - DF, que se mostra muito relevante na proteção do interesse coletivo ao incorporar a perícia médica como necessária à concessão da tutela antecipada, que até então era realizada só na análise meritória da demanda.

▶ Os juízes creem, que, em média, com a alteração procedimental realizada, a concessão da tutela antecipada só é feita em 20% dos pedidos.

3. PESQUISA E DESENVOLVIMENTO - A IMPORTÂNCIA ESTRATÉGICA DOS MEDICAMENTOS

a) PANORAMA ATUAL

- ▶ O acesso aos medicamentos constitui um dos principais meios para a concretização do direito à saúde nos moldes previstos pela Constituição Federal, em especial perante à integralidade.
- ▶ Além da falta de medicamentos por questões logísticas, operacionais, gerenciais e de falta de dinheiro, que atinge todos os pacientes do SUS, aqueles com doenças graves e raras enfrentam situação mais complicada face à inexistência de terapias eficazes.
- ▶ Apesar de o Brasil ser um dos maiores mercados consumidores de medicamentos, sendo o SUS o maior comprador mundial desses produtos, com despesas que superam os R\$ 8 bilhões/ano, o País não só não produz fármacos relevantes, como não descobre nenhum inovador.
- ▶ O SUS também não utiliza seu poder de compra para exigir da indústria farmacêutica pesquisa, desenvolvimento e inovação, apesar da alta lucratividade dos laboratórios.

b) AUDIÊNCIA PÚBLICA

- ▶ Data: 08/11/2016
- ▶ Participantes: Prof. Dr. Salmo Raskin (PUC/PR),
Prof. Dr. Fernando Queiroz Cunha (FMRP/USP),
Prof. Jorge Kalil (Diretor do Instituto Butantan) e
Prof. Dr. José Fernando Perez (Diretor-Presidente da Recepta)
- ▶ Dados apresentados:
 - Existe significativo número de cientistas no Brasil, com relevante produção científica, mas que não geram inovações no setor de desenvolvimento e produtor, assim como não é direcionada para a descoberta de conhecimento;
 - O mercado brasileiro de medicamentos é o sexto maior do mundo, mas as pesquisas não ocorrem no país;
 - As indústrias farmacêuticas brasileiras não dedicam recursos (financeiros, humanos, tecnológicos) no desenvolvimento de centros de pesquisas;
 - Os custos envolvidos na pesquisa e desenvolvimento de um novo fármaco podem chegar a US\$ 2,6 bilhões (computando-se as tentativas frustradas), e dificultam as iniciativas em países em desenvolvimento;
 - O setor de pesquisa e desenvolvimento na área farmacêutica exige um alto investimento, em torno de US\$ 30 bilhões/ano. Mas os recursos são focados em drogas com grande potencial mercadológico.

- No Brasil, não se busca a parceria da Academia com o setor produtivo, sendo que 70% dos pesquisadores brasileiros se concentram no primeiro.
- Brasil é o 15° país do mundo em número de artigos científicos publicados em revistas internacionais, , mas essa produção acadêmica não se reflete em inovação, já que o país ocupa a 64° posição no ranking mundial de inovação, com 36,33 pontos (a Suíça, 1ª colocada tem 66,6);
- O tempo necessário para que estudos clínicos sejam aprovados no Brasil é em torno de 365 dias (muito demorado). Na Coreia do Sul esse tempo é de apenas 30 dias;
- Para cada grupo de 10.000 substâncias que iniciam na pesquisa básica, somente uma chega ao mercado (média mundial).
- Metade das substâncias que iniciam estudos chega aos testes pré-clínicos, mas somente 5 delas passam a ser elegíveis para os testes clínicos, mas só uma obterá o registro.

- Os aspectos positivos da ciência e inovação no Brasil são:
 - base crescente de conhecimento e pesquisadores;
 - respeito à propriedade intelectual;
 - respeito às regras da Organização Mundial do Comércio;
 - riqueza de capital ambiental;
 - promoção da criatividade;
 - e heróis locais;
- Já as fraquezas são:
 - instabilidade econômica e política;
 - queda no financiamento da ciência,
 - tecnologia e inovação;
 - financiamento majoritariamente público;
 - baixa conversão do conhecimento em inovação;
 - acúmulo de pendências de patentes;
 - regulação confusa, complicada e burocrática;
 - peso tributário e dificuldades de importação;
 - sistema educacional insuficiente; baixa valorização do pesquisador; e
 - universidades com recursos escassos.

- O câncer merece uma atenção especial no que tange à pesquisa e desenvolvimento de fármacos, pois além de ser uma doença muito grave, tem mostrado forte tendência em aumentar sua incidência por diversos fatores, por exemplo o aumento na expectativa de vida da população.

No ano de 2016: estima-se em 596 mil novos casos no Brasil.

Em 2015: aproximadamente 400 mil pacientes com câncer foram atendidos pelo SUS, um aumento de 33% em relação a 2012, quando cerca de 300 mil pacientes foram atendidos no SUS.

- Os recursos investidos pelo SUS no combate ao câncer passaram de R\$ 2,1 bilhões em 2010, para R\$ 3,5 bilhões em 2015, aumento de 66% (os custos aumentam mais do que incidência).
- As doenças raras constituem a segunda causa de mortalidade infantil no Brasil há 20 anos;
- A indústria farmacêutica não demonstra interesse em pesquisar as doenças raras (previsão de não retorno do investimento; pequeno número de pacientes dificulta a construção de protocolos de pesquisa).
- Há também desinteresse das instituições públicas, do Estado, em financiar estudos e em desenvolver políticas e ações específicas.

c) CONCLUSÕES DOS CONVIDADOS

- ▶ A produção de conhecimento na área da farmacologia depende muito do saber adquirido sobre a doença, seus mecanismos de ação, da forma como ocorre a alteração fisiológica/metabólica ou orgânica, como se transmite e quais os aspectos que podem servir de prioridade para a intervenção terapêutica, em especial a farmacológica.
- ▶ O conjunto de dados, informações, indicadores e observações feitas acima mostra que o Brasil tem grandes desafios a enfrentar para modificar a atual situação do setor de pesquisa e desenvolvimento de fármacos.
- ▶ A indústria brasileira de farmoquímicos, que poderia liderar e exercer importante papel na pesquisa de novas substâncias, é muito incipiente. Geralmente se dedica a reproduzir aquilo que já foi descoberto e não possui mais proteção de patentes.

f) De acordo com o estudo denominado “**Avaliação do Setor Produtivo Farmoquímico Nacional: Capacitação Tecnológica e Produtiva**”, publicado pela Fundação Oswaldo Cruz/Vice-Presidência de Produção e Inovação em Saúde, as seguintes oportunidades foram destacadas:

- Harmonização de processos de certificação internacional
- Uso do poder de compra do Estado
- Margem de preferência
- Parcerias com universidade e institutos de pesquisa
- Apoio financeiro de Fundação de Apoio a Pesquisa à produção
- Existência de interesse público na internalização de tecnologias para a produção de insumos estratégicos via parcerias e desenvolvimentos produtivos
- Existência de parques tecnológicos e incubadoras de empresas.

4. DOENÇAS GRAVES E RARAS E A POSSIBILIDADE DE ACESSO AOS FÁRMACOS EXPERIMENTAIS

- ▶ A ampliação do acesso às terapias, inclusive alternativas, passa a ser vista, cada vez mais, como algo necessário para a proteção da saúde humana. Existem muitas doenças que ainda são incuráveis e para as quais não existe qualquer tipo de terapia para sua resolução.
- ▶ Em muitas situações pode existir uma substância em estudo que tenha apresentado resultados promissores contra alguma doença, mas que ainda seja inacessível aos pacientes por não terem sido concluídos todos os estudos para a comprovação científica de sua segurança e eficácia. Entretanto, muitos pacientes podem desenvolver doenças que não são tratáveis.
- ▶ Diante da falta de alternativas, o acesso a produtos ainda experimentais mostra-se, então, como uma esperança.

- ▶ O Ministério da Saúde instituiu as “Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no Sistema Único de Saúde - SUS”, por meio da Portaria nº 199/2014, com objetivo de “organizar a atenção às pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde, o que permitirá reduzir o sofrimento dos afetados e o ônus emocional sobre os pacientes e seus familiares, permitindo ao gestor de saúde a racionalização de recursos”.
 - A norma pode até ser considerada adequada, atualizada e suficiente. Porém, as ações para torná-la uma realidade praticamente não existem, e as que foram idealizadas mostram-se inócuas para a solução dos problemas.

5. CONCLUSÕES

Considerando que:

- a) As pesquisas científicas envolvendo a fosfoetanolamina sintética, financiadas com recursos públicos federais, por meio do MCTIC (já feitos os testes pré-clínicos e devendo iniciar os testes clínicos) e estaduais, realizados pelo ICESP (com os ensaios clínicos de fase II, que tem previsão de término em 2017), ainda não foram concluídas e muitos aspectos ainda precisam ser estudados e entendidos plenamente,
- b) As questões jurídicas envolvendo os limites da garantia de acesso aos medicamentos, levadas à apreciação do Supremo Tribunal Federal, ainda não obtiveram seu pronunciamento de mérito.
- c) As possibilidades de acesso às terapias experimentais ainda não suficientemente aprofundadas, como os obstáculos ao uso compassivo, o acesso expandido, o estudo de extensão e o fornecimento pós-estudo.

Diante de todo o exposto, é imperioso que haja a continuidade dos trabalhos de acompanhamento de tais itens pela Comissão de Seguridade Social e Família. Assim, o ideal é que na próxima sessão legislativa o tema do acesso aos medicamentos volte a ser acompanhado e analisado em profundidade por instalação de uma nova Subcomissão. Essa, certamente, é uma decisão do mais alto interesse social, pois são temas que merecem um acompanhamento contínuo por esta Casa.