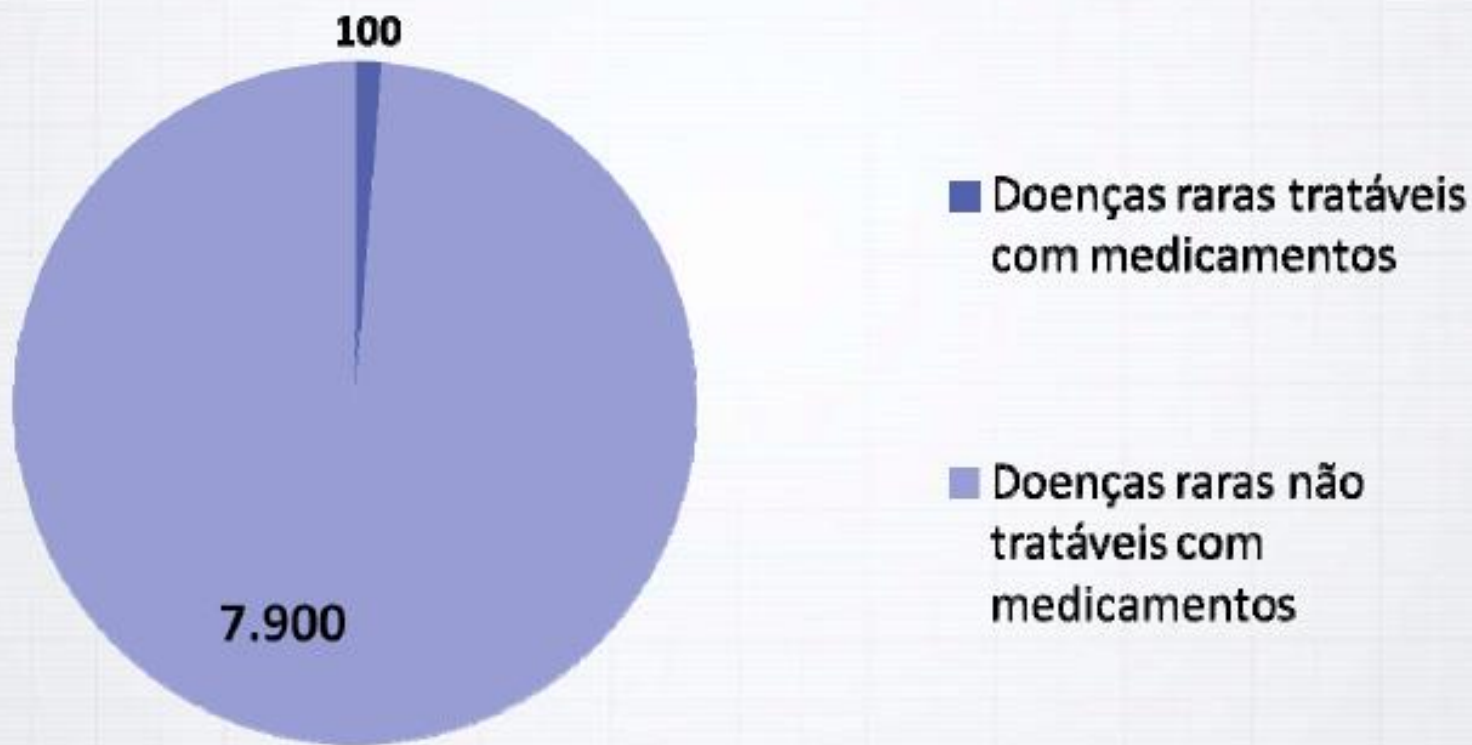




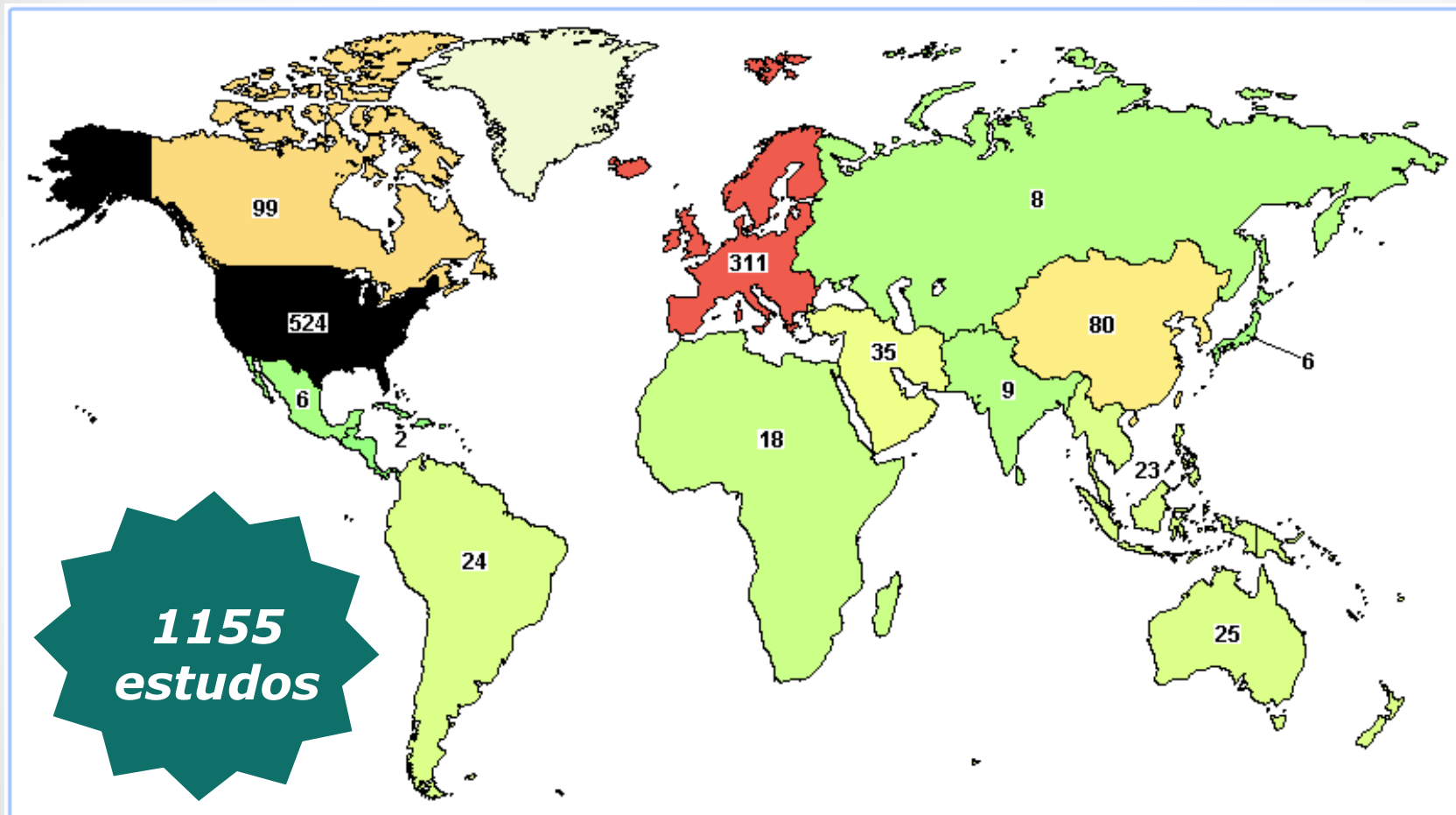
Antoine Daher
Presidente da Casa Hunter



É preciso lembrar que as doenças raras com tratamento baseado em drogas representam uma pequena fração das doenças raras.



ESTUDOS NO MUNDO SOBRE MEDICAMENTOS PARA DOENÇAS RARAS



Colors indicate the number of studies with locations in that region

Least  Most

Labels give the exact number of studies

ESTUDOS NA AMÉRICA LATINA SOBRE DOENÇAS RARAS



Ministério da Saúde
Conselho Nacional de Saúde

RESOLUÇÃO Nº 466, DE 12 DE DEZEMBRO DE 2012

O Plenário do Conselho Nacional de Saúde em sua 240ª Reunião Ordinária, realizada nos dias 11 e 12 de dezembro de 2012, no uso de suas competências regimentais e atribuições conferidas pela Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, e pela Lei nº 8.142, de 28 de dezembro de 1990, e

Considerando o respeito pela dignidade humana e pela especial proteção devida aos participantes das pesquisas científicas envolvendo seres humanos;

Considerando o desenvolvimento e o engajamento ético, que é inerente ao desenvolvimento científico e tecnológico;

III.3 - As pesquisas que utilizam metodologias experimentais na área biomédica, envolvendo seres humanos, além do preconizado no item III.2, deverão ainda:

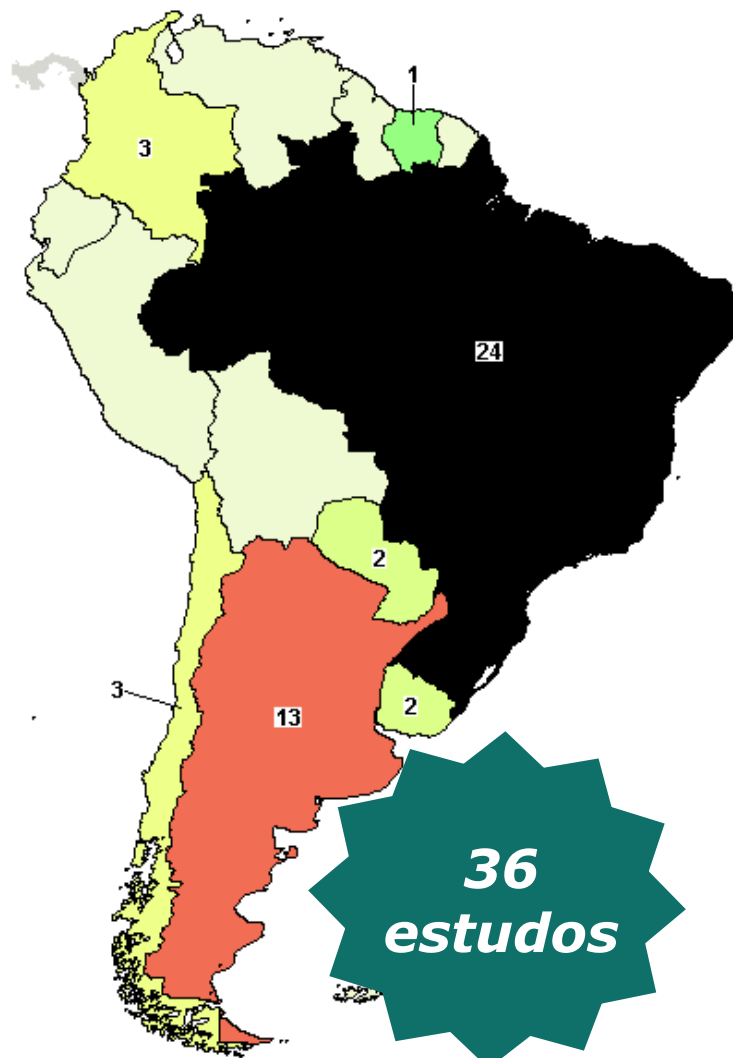
a) estar fundamentadas na experimentação prévia, realizada em laboratórios, utilizando-se animais ou outros modelos experimentais e comprovação científica, quando pertinente;

b) ter plenamente justificadas, quando for o caso, a utilização de placebo, em termos de não maleficência e de necessidade metodológica, sendo que os benefícios, riscos, dificuldades e efetividade de um novo método terapêutico devem ser testados, comparando-o com os melhores métodos profiláticos, diagnósticos e terapêuticos atuais. Isso não exclui o uso de placebo ou nenhum tratamento em estudos nos quais não existam métodos provados de profilaxia, diagnóstico ou tratamento;

c) utilizar o material biológico e os dados obtidos na pesquisa exclusivamente para a finalidade prevista no seu protocolo, ou conforme o consentimento dado pelo participante da pesquisa; e

d) assegurar a todos os participantes ao final do estudo, por parte do patrocinador, acesso gratuito e por tempo indeterminado, aos melhores métodos profiláticos, diagnósticos e terapêuticos que se demonstraram eficazes;

d.1) o acesso também será garantido no intervalo entre o término da participação individual e o final do estudo, podendo, nesse caso, esta garantia ser dada por meio de estudo de extensão, de acordo com análise devidamente justificada do médico assistente do participante.



Colors indicate the number of studies with locations in that region

Least Most

Labels give the exact number of studies

Fonte: www.clinicaltrials.gov

Política de Doenças Raras – Janeiro 2014



**Ministério da Saúde
Gabinete do Ministro**

PORTARIA Nº 199, DE 30 DE JANEIRO DE 2014

Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio.

O MINISTRO DE ESTADO DA SAÚDE, no uso da atribuição que lhe confere o inciso II do parágrafo único do art. 87 da Constituição, e

Considerando a Lei nº 8.080, de 19 de setembro de 1990, que dispõe sobre as condições para a promoção, proteção e recuperação da saúde, a organização e o funcionamento dos serviços correspondentes e dá outras providências;

Considerando a Lei nº 8.142, de 28 de dezembro de 1990, que dispõe sobre a participação da comunidade na gestão do Sistema Único de Saúde (SUS) e sobre as transferências intergovernamentais de recursos financeiros na área da saúde;

Considerando o Decreto nº 7.508, de 28 de junho de 2011, que regulamenta a Lei nº 8.080, de 1990, para dispor sobre a organização do SUS, o planejamento da saúde, a assistência à saúde e a articulação interfederativa, e dá outras providências;

Considerando o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, que dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo SUS;

Considerando a Portaria nº 1.559/GM/MS, de 1º de agosto de 2008, que institui a Política Nacional de Regulação do SUS;

Considerando a Portaria nº 81/GM/MS, de 20 de janeiro de 2009, que institui, no âmbito do SUS, a Política Nacional de

Política Nacional de Doenças Raras

(Portaria 199 de 30/01/14)

- Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras
- Definiu as diretrizes para a atenção integral às pessoas com doenças raras no âmbito do SUS
- **Instituiu incentivos financeiros** de custeio para nos serviços especializados destinados ao tratamento de pessoas com doenças raras
- **Objetivo da Política**: reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, **tratamento oportuno** e redução de incapacidade e cuidados paliativos (A cura não foi contemplada)

Aprovação da priorização de PCDT para doenças raras – 27/5/15

PORTARIA No- 19, DE 26 DE MAIO DE 2015

Torna pública a decisão de aprovar a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

O SECRETÁRIO DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA E INSUMOS ESTRATÉGICOS DO MINISTÉRIO DA SAÚDE, no uso de suas atribuições legais e com base nos termos dos art. 20 e art. 23 do Decreto 7.646, de 21 de dezembro de 2011, resolve:

Art. 1º Fica aprovada a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

Art. 2º O relatório de recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) sobre essa tecnologia estará disponível no endereço eletrônico: <http://conitec.gov.br/>.

Art. 3º Esta Portaria entra em vigor na data de sua publicação.

JARBAS BARBOSA DA SILVA JÚNIOR

Relatório CONITEC set/14 – elenca 12 PCDTs para 2015

12 PCDTs anunciados

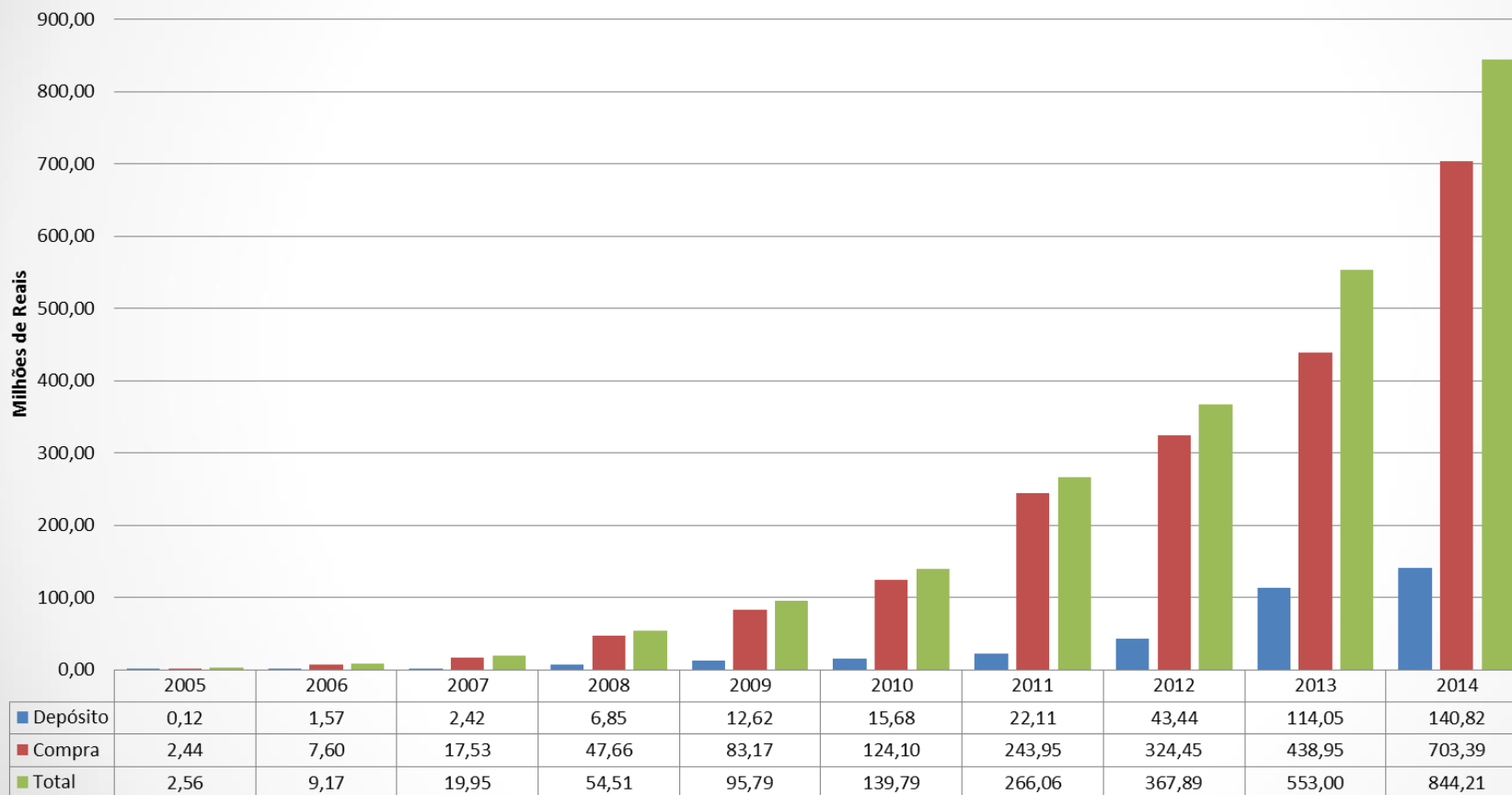
Quadro 7. Lista dos 12 PCDT

EIXO/GRUPO	NÚMEROS DE PCDT	DOENÇAS/GRUPOS DE DOENÇAS
EIXO I - Anomalias Congênicas ou de Manifestação Tardia	1	Polineuropatia amiloidótica familiar
	2	Anomalias da determinação e diferenciação do sexo
	3	Imunodeficiências primárias
	4	Anomalias Cromossômicas e complexos malformativos (Incluindo: Craniostenose; Osteocondrodysplasia; Doenças de cromossômica; Facomatoses)
EIXO I - Deficiência Intelectual	1	Deficiência intelectual complexos malformativos
		Deficiência Intelectual cromossômica
		Síndrome Rett e Síndrome do X-Frágil
		Deficiência intelectual
		Deficiência Intelectual
		Deficiência Intelectual
		Deficiência intelectual
EIXO I - Erros inatos do metabolismo	2	Aminoacidopatias diagnosticados em conjunto com as hiperfenilalaninemias
		Erros inatos do metabolismo com manifestação aguda (Incluindo: Intolerâncias a açúcares; Defeitos de β -oxidação dos ácidos graxos; Distúrbios do ciclo da Uréia; Glicogenoses; Acidurias Orgânicas, e Porfirias)
		Adrenoleucodistrofia ligada ao Cromossomo X e Doenças Peroxissomais
		Aminoacidopatias (Incluindo os neurotransmissores diagnosticados em conjunto com as hiperfenilalaninemias)
EIXO II - Infecções	1	Infecção por micobactéria atípica e BCGite
		EIXO II - Inflamatórias
		Doença de Still do Adulto
		EIXO II - Autoimunes
		Vasculites Sistêmicas Primárias
EIXO I - Erros inatos do metabolismo	2	Erros inatos do metabolismo (Incluindo: Intolerâncias a açúcares; Defeitos de β -oxidação dos ácidos graxos; Distúrbios do ciclo da Uréia; Glicogenoses; Acidurias Orgânicas, e Porfirias)
		TOTAL

NENHUM PCDT PUBLICADO ATÉ JUNHO/2016

Evolução dos Gastos do MS com Judicialização*

ÚLTIMOS 10 ANOS



■ Depósito ■ Compra ■ Total

*Dispêndio com aquisições de medicamentos, equipamentos e insumos. Excluídos as demandas por internações hospitalares.

Fontes: Advocacia-Geral da União (Consultoria Jurídica)/Ministério da Saúde (2005 a 2011); Interfarma (2012 a 2014); Elaboração Interfarma.

Judicialização - Top 20

Ministério da Saúde 2014

- ✓ Representam **96,5%** (R\$ 678,8 milhões) de todas as compras para atender as ações judiciais contra o Ministério da Saúde em 2014 (total de R\$ 703,4 milhões);
- ✓ 07 produtos oncológicos ;
- ✓ **11 para doenças raras (90,9%** da despesa do período)
- ✓ 06 não são ainda registrados na ANVISA
- ✓ 20 já registrados no EMA
- ✓ Nenhum destes produtos foram incluídos na lista de produtos
- reembolsados pelo SUS

QUANTOS TIPOS DE JUDICIALIZAÇÃO - BRASIL

3 Tipos de judicialização

Produtos com **registro** e já **incluídos nas listas do SUS** mas ainda não disponíveis

Produtos sem registro e não incluídos nas listas do SUS

Produtos com registro e ainda não incluídos nas listas de reembolso do SUS

Primeiro tipo de ações judiciais

Produtos com **registro** e **já incluídos nas listas do SUS** mas ainda não disponíveis

- ✓ Produtos não disponíveis nos Hospitais públicos ou nas farmácias públicas de alto custo
- ✓ Falha administrativa, negligência ou incompetência da entidade pública
- ✓ Aprox. 4% de todos os casos em valores, porém representa hoje 52% do volume das ações judiciais (componente básico de assistência farmacêutica)
- ✓ A judicialização não vai resolver o problema

Segundo tipo de ações judiciais

Produtos sem registro e não incluídos nas listas do SUS

- ✓ Produtos sem registro no Brasil
- ✓ Falta de conhecimento sobre outras opções terapêuticas com a mesma eficácia e ganho terapêutico já disponíveis no SUS

Terceiro Tipo de Ações judiciais

Produtos com registro e ainda não incluídos nas listas de reembolso do SUS

- ✓ Pacientes com diagnóstico e prescrição em mãos, deveriam receber tratamentos de medicamentos registrados no Brasil, mesmo que estas terapias não estejam nas listas do SUS
- ✓ A maioria dos casos são relacionados com produtos sem outras opções terapêuticas
- ✓ É suficiente o Ministério da Saúde ou as Secretarias de Saúde dizerem que não podem fornecer ou incluir todos os produtos nas listas do SUS? Ainda que isto seja verdade por falta de planejamento e orçamento, isto não resolve o problema

“Um paciente judicializado custa ao Estado **R\$10 mil** por mês, enquanto que um paciente inserido nos programas já instituídos pelo Ministério da Saúde custa ao Estado **R\$2.500** por mês”.

- *Fonte: Dados da OptionLine sobre Judicialização (baseados em dados públicos)

Princípio Ativo/Doença	Valor Total Judicializado(R\$)	Qtd Total	Contratos	Preço Mínimo	Preço Máximo
Laronidase - Mucopolissacaridose I					
Ano de 2014	R\$ 26.861.747,00	24.638	3	R\$ 1.078,21	R\$ 1.091,31
Ano de 2015	R\$ 16.617.078,00	15.073	1	R\$ 1.102,44	R\$ 1.102,44
Miglustate - Niemann-Pick Tipo C					
Ano de 2014	R\$ 12.774.076,00	113.680	4	R\$ 93,79	R\$ 129,18
Idarrubicina - Leucemia Mielóide Aguda					
Ano de 2014	R\$ 50.649,00	620	2	R\$ 35,54	R\$ 393,22
Ano de 2015	R\$ 93.732,00	1.880	2	R\$ 35,54	R\$ 372,00

*Fonte: Dados da Option Line sobre Judicialização (baseados em dados públicos)

Outros exemplos:

Princípio Ativo/Doença	Valor Total Judicializado(R\$)	Qtd Total	Contratos	Preço Mínimo	Preço Máximo
Idursulfase - Mucopolissacaridose II					
Ano de 2014	R\$ 72.487.013,00	13.423	7	R\$ 5.303,61	R\$ 5.543,12
Ano de 2015	R\$ 84.252.421,00	18.974	1	R\$ 4.440,41	R\$ 4.440,41
Galsulfase - Mucopolissacaridore VI					
Ano de 2014	R\$ 167.647.191,00	40.163	13	R\$ 3.985,37	R\$ 4.437,92
Ano de 2015	R\$ 167.178.584,00	40.323	1	R\$ 4.145,98	R\$ 4.145,98

*Fonte: Dados da OptionLine sobre Judicialização (baseados em dados públicos).

Custo total em reais para os princípios ativos destacados em 2014 e 2015:

R\$ 547.962.491,00

Número total de ações judiciais para os princípios ativos destacados em 2014 e 2015:

268.774

Ações iniciadas no Judiciário (estadual) em 2015 (até maio/15): **Biotina: 4, Galsulfase: 1, Idarrubicina: 1, Idursulfase: 2, Laronidase: 1, Miglustate: 12**

JUDICIALIZAÇÃO

CAUSA ? CONSEQUÊNCIA?

- ✓ É a consequência da falta de uma Política Pública
- ✓ Não implementação ou não incorporação de medicamentos no SUS
- ✓ Para doenças raras: Falta alternativas terapêuticas aos pacientes
- ✓ A negativa pelo Estado gera uma SENTENÇA DE MORTE AOS PACIENTES que se não tiverem a intervenção do judiciário, estão automaticamente CONDENADOS À MORTE.

CONCLUSÃO

A EXPERIÊNCIA INTERNACIONAL revelou que para promover economias significativas em relação ao tratamento convencional, pontual e fragmentado, é necessário definição de um plano integrado para doenças raras, que incluía:

- registro,
- diagnóstico preciso,
- treinamento de profissionais de saúde e
- oferta de tratamentos multidisciplinares e integrados em centros de referência (incluindo medicamentos quando disponíveis)



<http://www.casahunter.org.br/>

(11) 2776-3647

• casahunter@casahunter.org.br •