



MEDICAMENTOS ÓRFÃOS (MO) E DOENÇAS RARAS



DESIGNAÇÃO DE ORFANDADE E INCENTIVOS



- ODA- Orphan Drugs Act – EUA
- Designação medicamento órfão -UE
- Incentivos à pesquisa de novos alvos terapêuticos
- Redução de requisitos regulatórios, registro precoce: estudos fase II
- Altíssimos preços de entrada
- Na década de 80 antes do ODA = 10 medicamentos. Em 2017, a FDA registrou mais de 450 medicamentos órfãos para 667 indicações clínicas raras



- Polimorfismo
- Dificuldade de diagnóstico precoce
- Caros e raros exames confirmatórios
- Progressão variada da doença/doentes
- Diagnóstico precoce: Janela de oportunidade para tratamentos alvo
- Cuidados multidisciplinares dão ganhos reais de sobrevida e qualidade de vida
- Embora promissores os novos MO oferecem benefícios clinicamente insuficientes ou irrelevantes.

MEDICAMENTOS ÓRFÃOS: ACESSO NO BRASIL

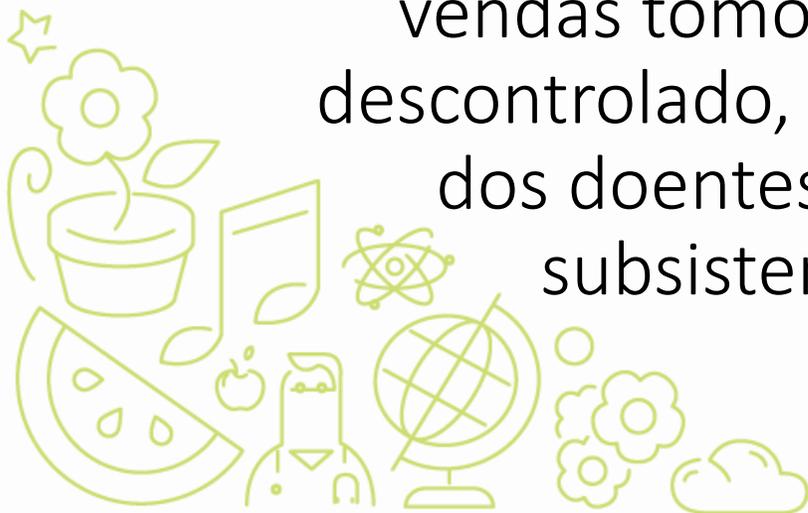


- Pressão para incorporar: mídia, manipulação de doentes, médicos, gestores e políticos,
- Medicamentos órfãos registrados com estudos preliminares fase II
- Embasamento científico frágil para uma bula confiável
- RDC 37/2014 e 204/2017 da Anvisa, o registro de MO no Brasil é facilitado e autorizado em 120 dias
- A aprovação do PL 056/2016 fragiliza a regulação da Anvisa e da CONITEC
- Incorporação automática sem avaliação de custo-efetividade
- Carência de serviços de genética clínica para atenção individualizada: diagnóstico, aconselhamento genético/tratamento/reabilitação
- Carência de Registro e notificação de resultados de eficácia e segurança



Os Países mais ricos, cultos e transparentes do mundo tratam a incorporação de medicamentos órfãos como terapias experimentais, como recursos extraordinários fortemente regulados para a segurança de todos

No Brasil a pressão das farmacêuticas por aumentar as vendas tomou o caminho da desregulação, do uso descontrolado, da judicialização acrítica, da insegurança dos doentes e da ameaça à sustentabilidade dos sistemas de saúde público e privados.



PORQUE NÃO RECOMENDAMOS O SPINRAZA PARA INCORPORAÇÃO NO ROL



- É uma tecnologia insuficiente, inconveniente e perigosa
- O doente testado nos estudos praticamente não existe na vida real
- Há apenas dois estudos publicados, patrocinados pelo fabricante
- Registro: FDA em 12/ 2016, EMA 6/2017 Anvisa Nov/2017
- Conitec: março/2018 NICE março/2018: em avaliação
- Tecnologia experimental Alto potencial de risco e uso irracional
- Seu uso demanda recursos médicos de alta complexidade
- Preço de tratamento incompatível com a economia brasileira

RESULTADOS- SPINRAZA PARA AME 1 / ENDEAR



Desfecho no grupo nusinersen	NNT	Custo estimado no primeiro ano de tratamento para um desfecho (R\$)
22% das crianças no grupo nusinersen conseguiram controle completo da cabeça	5	11.165.562,30
10% foram capazes de rolar	10	22.331.124,60
8% foram capazes de sentar-se de forma independente	13	29.056.461,96
1% foi capaz de ficar de pé.	100	223.511.246,00

Preço CMED FR de 5 mL - 2,4mg/mL (12 mg) = **R\$372.185,41**

EVENTOS ADVERSOS



16% dos pacientes descontinuaram o nusinersen por eventos adversos graves. Todos os eventos adversos que levaram à descontinuidade do tratamento, levaram os pacientes à morte.

Eventos decorrentes do uso prolongado da droga não foram avaliados

Evento adverso	Nusinersen (%)	Controle (%)
Constipação	35	22
Infecção respiratória alta	30	22
Pneumonia	29	17
Infecção do trato urinário	9	0
Bronquite	8	2

PORQUE NÃO RECOMENDAMOS O ECULIZUMABE PARA SHUA



- É uma tecnologia inconveniente e potencialmente perigosa
- A doença é de difícil confirmação diagnóstica (exclusão SHU)
- Há incerteza significativa se os benefícios advém do uso do medicamento ou da evolução natural da doença
- A indicação de SHUa foi registrada pela FDA em 2011 durante um surto de SHU por E. coli e sem apresentação de estudos comparativos
- Lacunas na bula sobre doses e quando iniciar e suspender o medicamento.
- Demanda manejo individualizado em serviço especializado e coleta de dados.
- No Reino Unido é usado como "quase experimento" HTS-1 NICE
- Seu preço é incompatível com a economia brasileira

PORQUE NÃO RECOMENDAMOS O ECULIZUMABE PARA HPN



- É uma tecnologia não curativa de uso crônico pela vida toda
- Só indicado em pacientes com HPN confirmado e sintomatologia significativa
- Registrado pela FDA em 2010 como MO, no Brasil o fabricante operou por 7 anos um esquema antiético de estímulo às vendas via judicialização
- Só o MS tem mais de 600 ações judiciais de Eculizumabe.
- Possivelmente todos as pessoas com HPN já o recebem pela via judicial
- Não se tem dados desses pacientes
- Demanda manejo individualizado em serviço especializado e coleta de dados.
- Preço de tratamento é incompatível com a economia brasileira

CONSIDERAÇÕES FINAIS



- MO (mesmo registrados) carecem de evidencias suficientes para incorporação e uso racional em sistemas de saúde.
- A dispensação do MO demanda serviços especializados em Genética Clínica, nem sempre disponíveis nas regiões de saúde
- O impacto econômico dos tratamentos é excessivamente elevado até para países de alta renda com sistemas de saúde maduros
- Coortes de doentes em situação terminal, reivindicando "direito à esperança" pressionam por uso mesmo fora dos critérios de indicação
- Pesquisa para doença rara tem mais voluntários do que é necessário. O Brasil é pais de back up em PC

CONSIDERAÇÕES FINAIS



- As ATS da CONITEC e do NICE estão previstas para este ano
- GT para estudar novas tecnologias em DR na Saúde Suplementar vista a facilitação dos registros de MO na Anvisa
- Envolver o judiciário na discussão sobre as incertezas, desafios, benefícios, riscos e custos desses tratamentos.
- Soluções negociadas entre governo, provedores e indústria para cortar custos podem facilitar seu uso precoce e monitorado.
- Pesquisa clínica pos-marketing e acesso expandido e uso compassivo na AME1 devem ser considerados como feito no UK



Antes de incorporar, estudar o cenário global das DR e MO e as novas drogas aprovadas e em análise de registro na Anvisa com estimativa de IO em 2020-2025

O SUS e a Saúde Suplementar não podem ser postos em risco por incorporações acríticas induzidas pela emoção, mas sim por ciência robusta

A saúde da população brasileira depende de ambos!



VIAGEM SEM VOLTA A MARTE



- Duzentas mil pessoas se candidataram para participar do projeto para colonizar o Planeta Vermelho, em 2023. Cientistas criticam a seleção de pessoal por meio de reality show de tevê (<https://www.revistaplaneta.com.br/viagem-sem-volta-a-marte/> - 28/11/2013)



Fonte imagem: <http://geekness.com.br/marte-em- apenas-30-minutos/>



Obrigada!



Unimed 
Brasil