



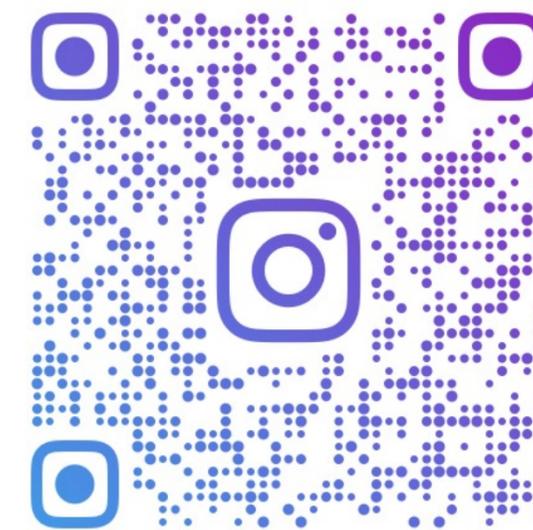
**Medicamento de alto custo, demandas de saúde  
e “fast track”**



CENTRO UNIVERSITÁRIO  
SÃO CAMILO

**PROFA. MARINA BORBA**

✉ [marina.borba@usp.br](mailto:marina.borba@usp.br)



**MARINA\_BORBA**

# APRESENTAÇÃO



CENTRO UNIVERSITÁRIO  
SÃO CAMILO



- **Introdução ao Direito à Saúde**
- **Medicamentos de Alto Custo: Regulação do Executivo**
- **“Fast Track”**
- **Pesquisa SPIN**
- **Resolução Assembleia-Geral da ONU n. 72/2021**



# INTRODUÇÃO



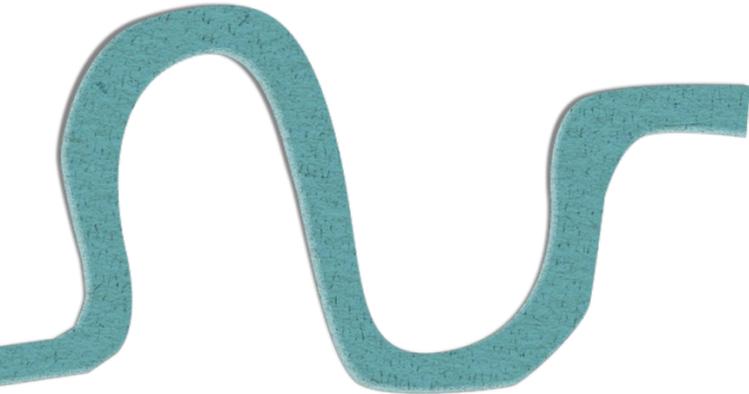
## NOÇÃO DE SAÚDE

- Saúde como equilíbrio *versus* saúde como ausência de doença;
- **Preâmbulo da Constituição da OMS (1946):** concepção holística de saúde

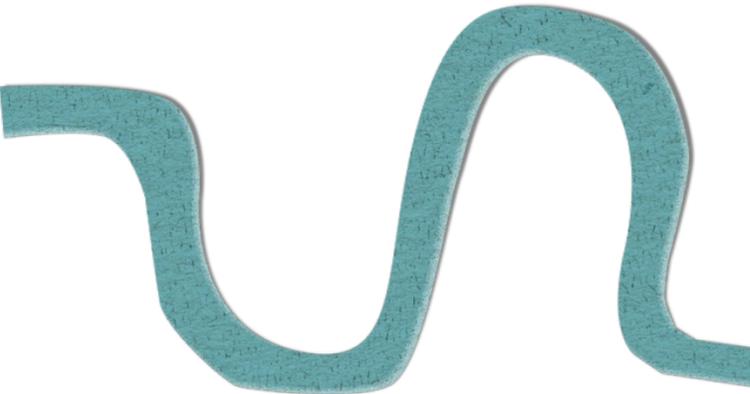


## NOÇÃO DE DIREITO À SAÚDE

- Baseia-se na concepção de saúde como *continuum*;
  - “Engloba um *continuum* dos **direitos individuais**, passando pelos **sociais**, até os direitos humanos **transgeracionais**” (DALLARI, 2013).
- 



# DIREITO À SAÚDE



Direito à Saúde é um **conceito aberto** que deve ser definido em **nível local**, pois “apenas a **comunidade** é capaz de definir a extensão do conceito de saúde e delimitar o alcance da **liberdade** e o da **igualdade** que, interagindo com seu nível de **desenvolvimento**, fundamentam seu **direito à saúde**”.

# ELEMENTOS DO DIREITO À SAÚDE

**Comentário Geral n. 14 do Comitê sobre Direitos  
Econômicos, Sociais e Culturais da Organização das  
Nações Unidas (ONU, 2000)**

- Disponibilidade
- Aceitabilidade
- Acessibilidade
- Qualidade





**Medicamentos de Alto Custo:  
Regulação do Executivo**

# MEDICAMENTOS ESSENCIAIS

- Em 1977, OMS publicou a primeira **Lista Modelo de Medicamentos Essenciais**, relacionando 208 medicamentos que forneciam tratamento seguro e eficaz para a maioria das doenças transmissíveis e não transmissíveis;
- A Lista de Modelos não foi concebida como um padrão global.
- Nos últimos 30 anos, contudo, influenciou o desenvolvimento de **listas nacionais** e aceitação de um **conceito global de medicamentos essenciais** como um meio de promoção da **equidade** na saúde.



# MEDICAMENTOS ESSENCIAIS

OMS → Critérios para seleção de medicamentos essenciais:

- **Prevalência** da doença;
- Relevância para a saúde pública;
- **Evidências** de eficácia e segurança clínicas;
- **Custo-benefício e custo-efetividade** em relação às necessidades de saúde;

**Doenças raras???**



# Medicamentos de Alto Custo:

## Regulação do Executivo

### Portaria GM/MS nº 3.916/1998

#### Instituiu a Política Nacional de Medicamentos (PNM)

Estabeleceu a Relação Nacional de Medicamentos (**RENAME**)

#### Finalidades:

- Garantir a segurança, eficácia e qualidade;
- Promover o **uso racional**;
- Promover o **acesso** da população àqueles **medicamentos considerados essenciais**



### Política Nacional de Medicamentos

#### Diretrizes da PNM

#### a. Adoção de relação de **MEDICAMENTOS ESSENCIAIS**

- São aqueles considerados básicos e indispensáveis para tratamento e controle da **maioria das patologias prevalentes** no País;
- Servem de base para o direcionamento da produção farmacêutica e para o **desenvolvimento científico e tecnológico**;



### Política Nacional de Medicamentos

#### Diretrizes da PNM

#### c. Reorientação da assistência farmacêutica

- Medicamentos de dispensação em caráter excepcional →
  - Utilizados em **doenças raras**
  - Geralmente de **custo elevado**
- Responsabilidade dos **gestores federais e estaduais** pactuada mediante **cooperação técnica e financeira intergestores**;

# Medicamentos de Alto Custo: Regulação do Executivo

## Resolução MS/CNS nº 338/2004

Instituiu a Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF)

Art. 2º. Eixos estratégicos:

- VII – **RENAME** → instrumento racionalizador das ações no âmbito da assistência farmacêutica;
- XIII - promoção do uso racional de medicamentos, por intermédio de ações que disciplinem a prescrição, a dispensação e o consumo.

## Lei nº 12.401/2011

Alterou a Lei no 8.080/90 para dispor sobre ... a incorporação de tecnologia em saúde no SUS

Art. 19-M. Assistência Terapêutica Integral

- I - dispensação de medicamentos e produtos de interesse para a saúde, cuja prescrição esteja em conformidade com as PCDT para a doença ou o agravo à saúde a ser tratado ou, na falta do protocolo, em conformidade com o disposto no art. 19-P;

## Lei nº 12.401/2011

Art. 19-P. Na falta de PCDT, a dispensação será realizada:

- I - com base nas relações de medicamentos instituídas pelo gestor federal do SUS, observadas as competências estabelecidas nesta Lei, e a responsabilidade pelo fornecimento será pactuada na Comissão Intergestores Tripartite;
- II - [...]

# Medicamentos de Alto Custo: Regulação do Executivo

## Decreto nº 7.508/2011

Regulamenta a Lei nº 8.080/90 para dispor sobre ... a articulação interfederativa

### CAPÍTULO IV

#### DA ASSISTÊNCIA À SAÚDE

- Seção I – Da Relação Nacional de Ações e Serviços de Saúde – **RENASES**
- Seção II – Da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – **RENAME**

## Decreto nº 7.508/2011

Art. 25. Parágrafo único. A RENAME será acompanhada do **Formulário Terapêutico Nacional - FTN** que subsidiará a prescrição, a dispensação e o uso dos seus medicamentos.

Art. 28. O acesso universal e igualitário à assistência farmacêutica pressupõe, **cumulativamente**:

I - estar o **usuário assistido** por ações e serviços de saúde do **SUS**;

## Decreto nº 7.508/2011

[...]

II - ter o medicamento sido **prescrito por profissional de saúde**, no exercício regular de suas funções no **SUS**;

III - estar a prescrição em conformidade com a **RENAME e os PCDT** ou com a relação específica complementar estadual, distrital ou municipal de medicamentos; e

IV - ter a **dispensação** ocorrido em unidades indicadas pela direção do SUS.

# Medicamentos de Alto Custo: Regulação do Executivo

## Resolução CIT nº 1/2012

Estabelece as diretrizes nacionais da RENAME no âmbito do SUS

Art. 3º A RENAME atenderá os seguintes princípios:

I - **universalidade**: acesso **universal e igualitário** aos medicamentos;



## Resolução CIT nº 1/2012

[...]

II - **efetividade**: medicamentos eficazes e **seguros**, com **relação risco-benefício favorável** e comprovada conforme evidências científicas e **com registro aprovado** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA);

III - **eficiência**: **melhor resposta terapêutica com os menores custos**;



## Resolução CIT nº 1/2012

[...]

V - **racionalidade no uso dos medicamentos**: uso conforme os **Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**, diretrizes específicas do Ministério da Saúde e do **Formulário Terapêutico Nacional (FTN)** para a promoção do uso racional dos medicamentos;

# Medicamentos de Alto Custo: Regulação do Executivo

**Portaria de Consolidação 02/2017**  
**(Origem: PRT 1.554/2013)**

**Dispõe sobre o financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no SUS**

Art. 3º Os medicamentos do CEAF estão divididos em três grupos:

I - Grupo 1: **financiamento pelo Ministério da Saúde;**

II - Grupo 2: financiamento das Sec. de Saúde dos Estados e DF;

III - Grupo 3: aquisição das Sec. de Saúde do DF e dos Municípios.

**Portaria de Consolidação 02/2017**  
**(Origem: PRT 1.554/2013)**

Art. 3º.

I - Grupo 1: dividido em:

a) **Grupo 1A:** medicamentos com **aquisição centralizada pelo MS** e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal; e

b) **Grupo 1B:** medicamentos **financiados pelo Ministério da Saúde** mediante transferência de recursos financeiros para aquisição pelas Secretarias de Saúde dos Estados e Distrito Federal;

**Portaria de Consolidação 02/2017**  
**(Origem: PRT 1.554/2013)**

Art. 4º Os grupos são definidos de acordo com os seguintes critérios gerais:

I - **complexidade** do tratamento da doença;

II - garantia da **integralidade** do tratamento da doença no âmbito da linha de cuidado; e

III - manutenção do **equilíbrio financeiro** entre as esferas de gestão do SUS.

Art. 8º.

§ 1º Os medicamentos dos **Grupos 1 e 2** → **Anexo III** da RENAME vigente.

# RENAME 2022



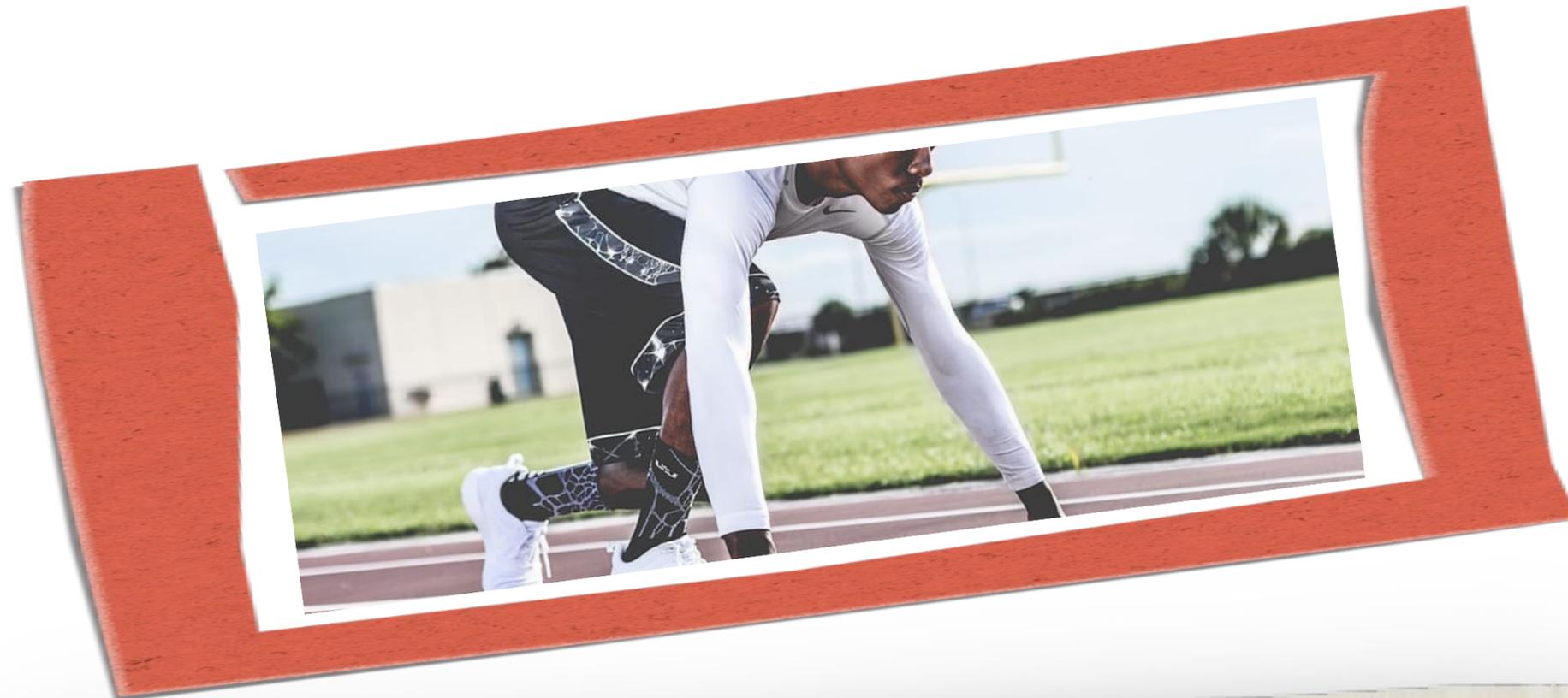
☰ Ministério da Saúde

## Rename Vigente

[Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - 2022](#)

**Confira todas as publicações anteriores da RENAME**

- [Rename 2020](#)
- [Rename 2018 \(publicada em Novembro/2018\)](#)
- [Rename 2017 \(publicada em Ago/2017\)](#)
- [Rename 2014 \(versão revisada e atualizada, Jun/2015\)](#)



**“Fast Track”**



## REGISTRO E PRECIFICAÇÃO

- **Registro** de medicamentos é feito pela **ANVISA** (Lei nº 9.782/1999);
- **Precificação** de medicamentos é feita pela **CMED** (Lei 10.742/2003), órgão interministerial; **Anvisa** → Secretaria-Executiva da Câmara.



## AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS DE SAÚDE (ATS)

- **CONITEC** (Lei nº 12.401/2011) → ATS, PCDT e atualização RENAME
  - Incorporação → Publicação da decisão do **Secretário SCTIE**;
  - **180 dias para disponibilização no SUS** da tecnologia incorporada.
- 

# A Regulação de Preços de Medicamentos Novos

(SOUZA *et.al.*, 2022)



**RESUMO:** Desde 2003, a indústria farmacêutica no Brasil é regulada, no que diz respeito ao preço, pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Todavia, com o passar dos anos, a regulação estabelecida começou a sofrer críticas, sobretudo por parte das empresas farmacêuticas nacionais, que buscam obter preços capazes de remunerar seus investimentos em inovação para desenvolvimento de medicamentos novos. Por este motivo, o e equânime à saúde. Dessa forma, a regulação de preços no Brasil se dá para compras privadas e públicas. Conclui-se que é de extrema importância que sejam feitas revisões periódicas na regulação de preços de medicamentos para que se obtenha resultados mais satisfatórios para consumidores e empresas.



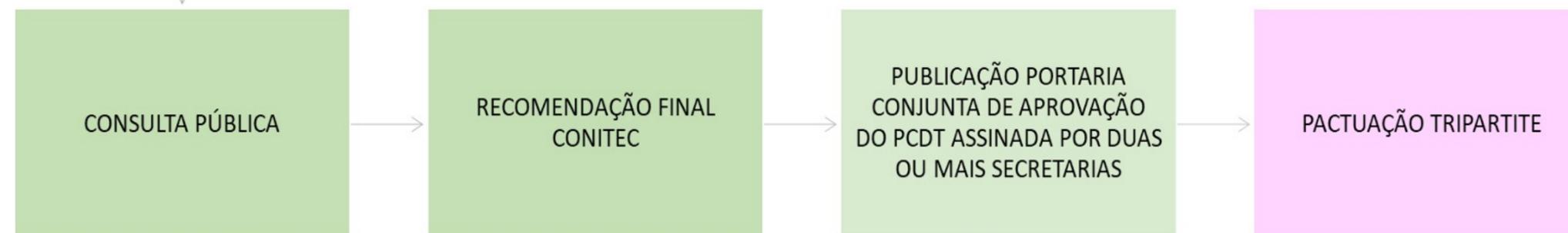
**Críticas**

# Descrição do itinerário pós recomendação positiva da CONITEC

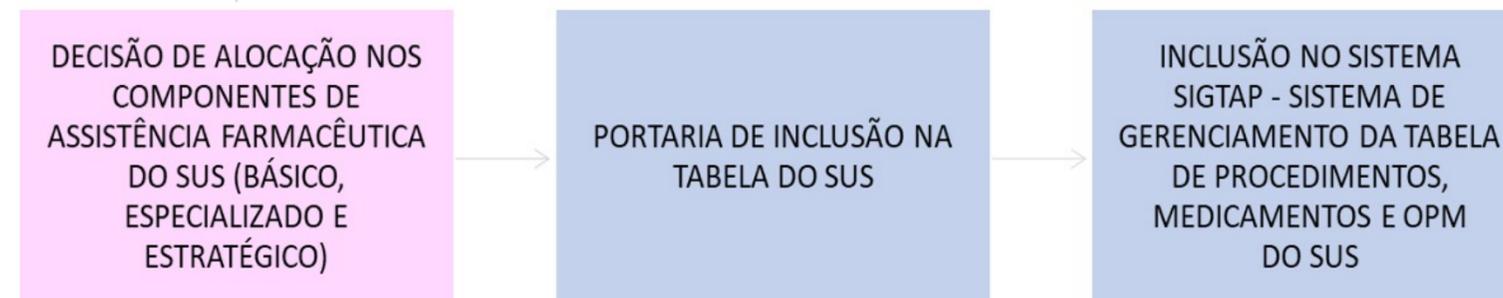
## 1ª FASE - INCORPORAÇÃO



## 2ª FASE - PROTOCOLIZAÇÃO



## 3ª FASE – INCLUSÃO NA TABELA DO SUS



## 4ª FASE – DISPONIBILIZAÇÃO

SIMÕES, Marcela. Dissertação de Mestrado. Acesso à saúde e o SUS: O processo de incorporação pós recomendação positiva da CONITEC. Orientada por: Dra. Marina de Neiva Borba. Mestrado em Saúde Pública da Universidade de São Paulo (FMS/USP). 2023.

# Prazos para registro

## Lei nº 13.411/2017

Art. 17-A - Critérios p/ definição dos prazos:

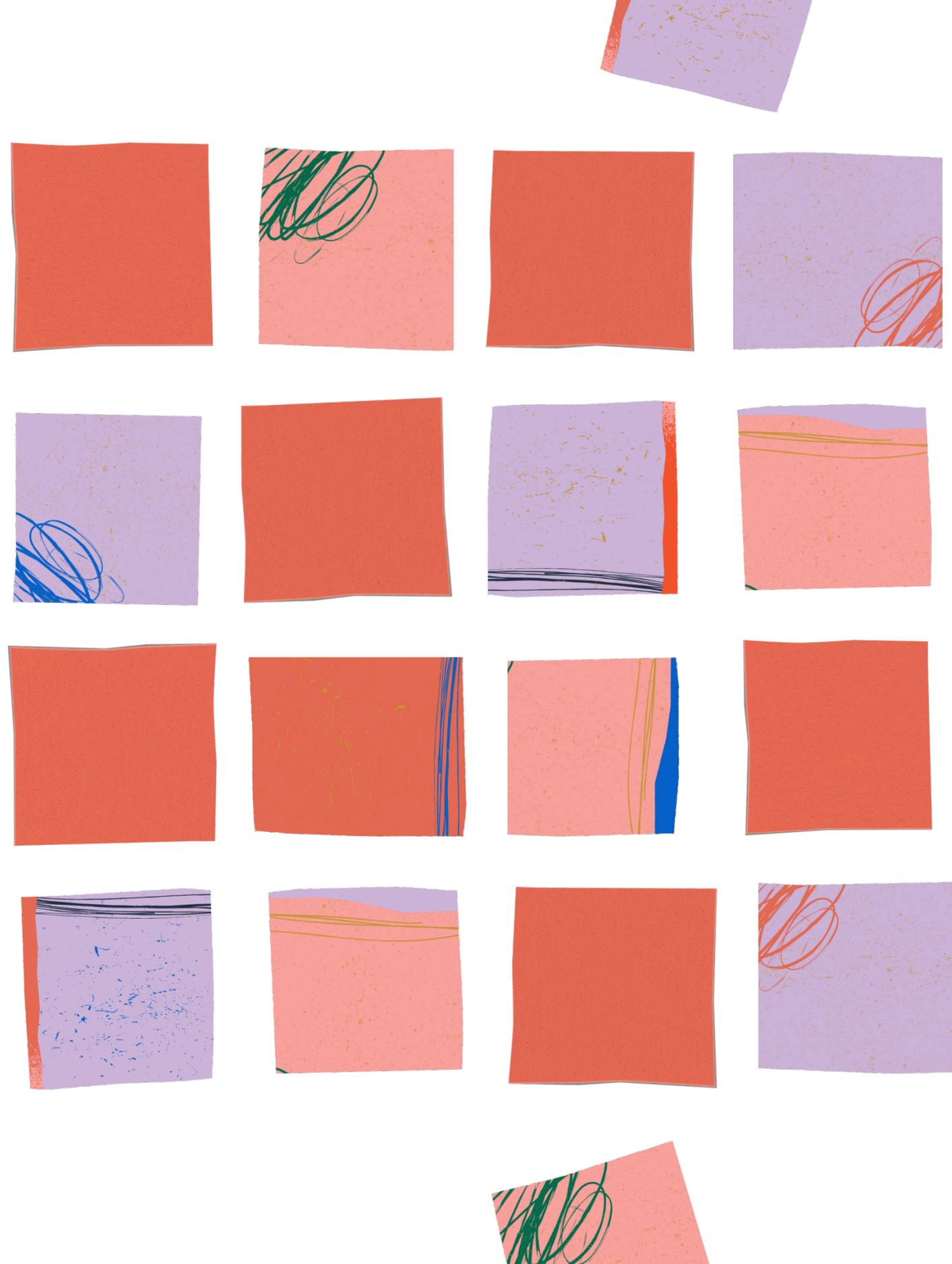
I - complexidade técnica

I - benefícios clínicos, econômicos e sociais da utilização do medicamento objeto do requerimento

§ 1o. - Categorias :

I – prioritária: Decisão final (registro): 120 dias  
(prorrogável por 1/3)

II – ordinária: Decisão final (registro): 365 dias  
(prorrogável por 1/3)



# VIA PRIORITÁRIA “Fast Track”

The logo for the U.S. Food and Drug Administration (FDA), consisting of the letters "FDA" in a bold, blue, sans-serif font. To the right of the text is a vertical blue line that extends downwards and then turns left to become a horizontal blue line.

Criado para facilitar aprovação de medicamentos voltados para **necessidades médicas não atendidas** de modo que o novo medicamento chegue **mais rápido** ao paciente

Fast track is a process designed to facilitate the development, and expedite the review of drugs to treat serious conditions and fill an unmet medical need. The purpose is to get important new drugs to the patient earlier. Fast Track addresses a broad range of serious conditions.

# RDC 205/2017 ANVISA

Art. 2o. Esta resolução se aplica a **novos medicamentos para doenças raras.**

Art. 1o. Procedimento especial para:

I – anuência de ensaios clínicos a serem realizados no Brasil para avaliação de medicamentos para doenças raras;

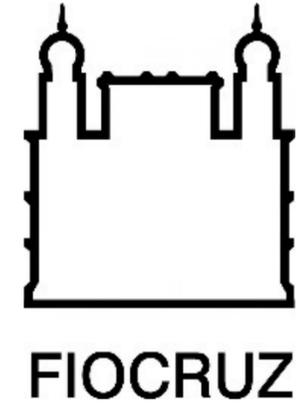
II – certificação de boas práticas de fabricação aplicável a medicamentos para doenças raras; e

III – **registro sanitário** de novos medicamentos para doenças raras.





**Pesquisa SPIN**



CENTRO UNIVERSITÁRIO  
**SÃO CAMILO**



**SOCIAL PHARMACEUTICAL  
INNOVATION**

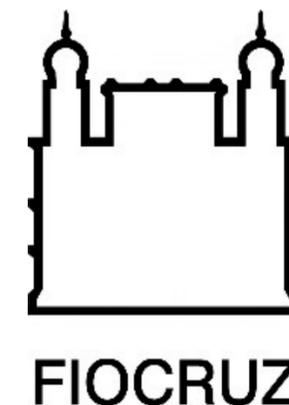
**Financiamento**



[www.socialpharmaceuticalinnovation.org/](http://www.socialpharmaceuticalinnovation.org/)



# TEAM



Fernando Aith (1)

Marina Borba (1,2)

Julino Rodrigues (1)

Claudio Cordovil (3)

1 – University of São Paulo - Center for Studies and Research in Health Law (CEPEDISA)

2 – Centro Universitário São Camilo (CUSC/SP)

3 – Sergio Arouca National School of Public Health(ENSP/Fiocruz)



**The objective of this project is to understand the economic, political, regulatorial, social, and scientific **barriers** as well as the **facilitators** to alternative forms of pharmaceutical research for rare diseases drugs.**



# Cenário das DR

- A **inovação farmacêutica** é altamente regulamentada e institucionalizada, sendo o modelo dominante de inovação;
- O modelo atual não fornece a quantidade e a qualidade de produtos de saúde necessários para lidar com as **necessidades médicas não atendidas**;
- O modelo atual oferta produtos de saúde com **preços insustentáveis** aos sistemas de saúde;





# INOVAÇÃO SOCIAL

É o desenvolvimento e implementação de **novas** ideias  
(**produtos, serviços ou modelos**) para atender às  
**necessidades sociais** a partir da criação de novas relações e  
**colaborações sociais.**

# INOVAÇÃO SOCIAL (IS)



- É tanto um **processo** quanto um **produto**. É uma dinâmica comum da história humana, na qual práticas de IS podem ser identificadas nos séc. XVIII e XIX;
- Por essência, visa a **melhorar o bem-estar** humano;
- Voltada para servir às **necessidades sociais** por meio de novos arranjos e formas de organização: É orientada pelas **demandas**, em vez de ser orientada pela oferta;

# INOVAÇÃO SOCIAL (IS)



- Surge de “baixo para cima” → Participação social tem papel significativo;
- A **inovação ASCEDENTE** desenvolve-se em abordagens **abertas** e **colaborativas**
  - Compartilhamento mais livre do conhecimento;
  - Abordagem mais comunitária da propriedade do conhecimento;
  - Abertura disciplinar que permite abordagens integradas para a resolução de problemas.
- Preocupação com a **capacitação** e **empoderamento de usuários e cidadãos** para que sejam alcançados resultados sob medida para necessidades específicas.

**“Inovações sociais [frequentemente] atendem a demandas que nem o Estado nem os mercados poderiam ou podem atender”**

**“Reforça a capacidade de agir do indivíduo com base nos valores da solidariedade e inclusão”**





# Social pharmaceutical innovation and alternative forms of research, development and deployment for drugs for rare diseases

Conor M. W. Douglas<sup>1\*</sup>, Fernando Aith<sup>2</sup>, Wouter Boon<sup>3</sup>, Marina de Neiva Borba<sup>4</sup>, Liliana Doganova<sup>5</sup>, Shir Grunebaum<sup>6</sup>, Rob Hagendijk<sup>7</sup>, Larry Lynd<sup>8</sup>, Alexandre Mallard<sup>9</sup>, Faisal Ali Mohamed<sup>10</sup>, Ellen Moors<sup>11</sup>, Claudio Cordovil Oliveira<sup>12</sup>, Florence Paterson<sup>5</sup>, Vanessa Scanga<sup>13</sup>, Julino Soares<sup>14</sup>, Vololona Raberharisoa<sup>5</sup> and Tineke Kleinhout-Vliek<sup>15</sup>

To explore SPIN, we need a working definition. We understand SPIN as novel forms of collaborative processes, programs, policies, procedures and/or designs involving diverse sets of actors that break with conventional pharmaceutical innovation practices for the production of safe, effective, and accessible interventions that address unmet societal needs of rare disease patients and that are not primarily market driven. Similar to SI,



# Diferentes tipos de SPIN

**RDC 205**

**FORMAS  
ALTERNATIVAS DE  
REGISTRO**

**MARCOS  
REGULATORIOS  
ALTERNATIVOS**

**NOVAS PARCERIAS  
DE P&D**

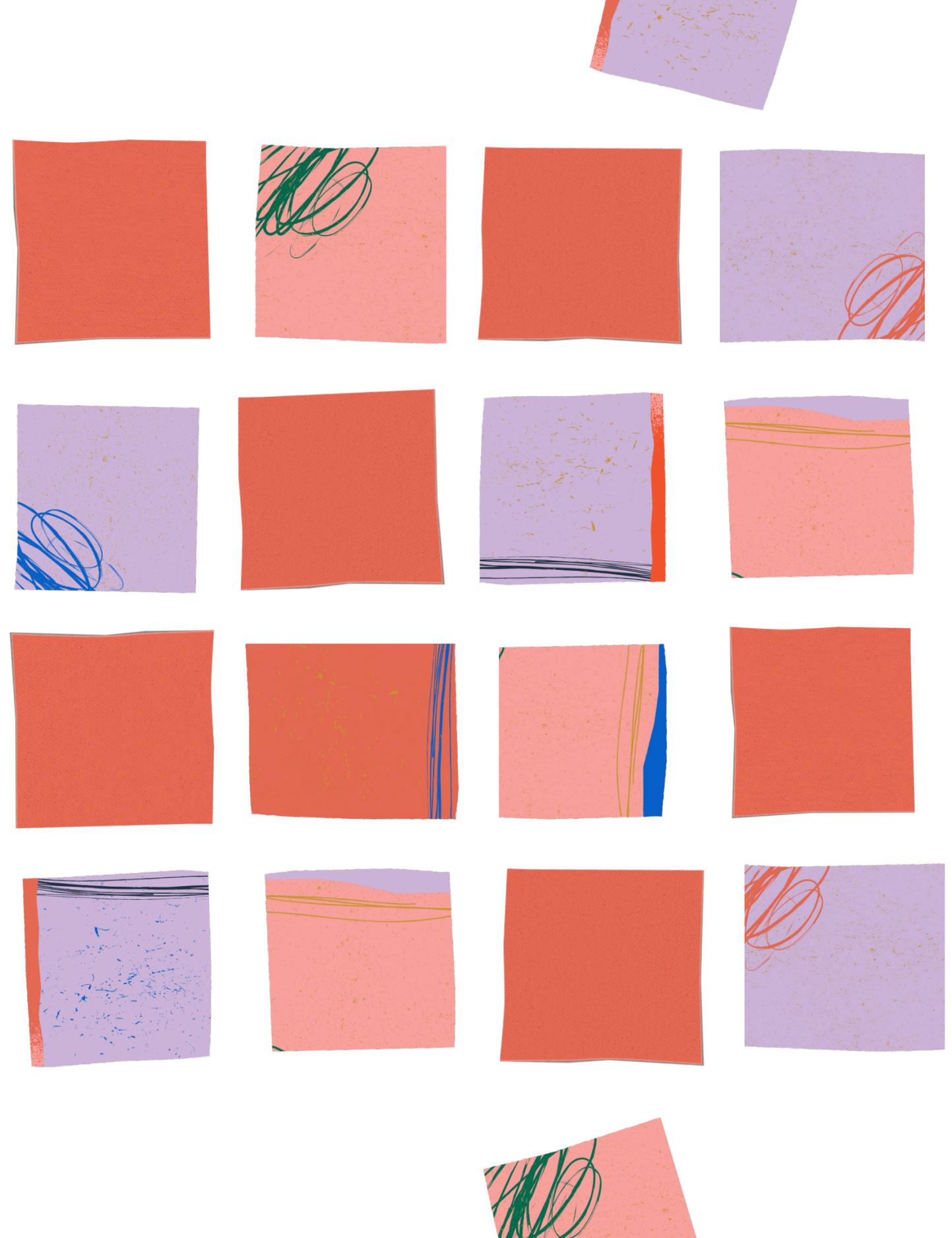
Novas parcerias  
entre os setores  
públicos e privado  
para criação de  
redes cooperação

Formas  
alternativas de  
fornecimento e  
registro de  
medicamentos

Novos modelos de  
**ATS** que  
considerem o **valor**  
**social dos**  
**medicamentos**  
para necessidades  
médicas não  
atendidas

# Limites da Pesquisa

- O processo de tomada de decisão da Conitec sofre com a **falta de independência** e transparência;
- Participação **incipiente** de organizações de pacientes com DR;
- Judicialização --> **Função contramajoritária** do STF;



# DEMOCRACIA SANITÁRIA

É importante destacar o **papel das democracias modernas** na criação de respostas jurídicas e institucionais para garantir inovação e acessibilidade de medicamentos para doenças raras





United Nations



**General Assembly**

## **76/132. Addressing the challenges of persons living with a rare disease and their families**

**Governança global** da doenças raras mediante:

- colaborações internacionais entre os Estados;
- inclusão das doenças raras na Agenda, ações e prioridades ONU.

**Fortalecimento dos sistemas de saúde** pelos Estados para a promoção do acesso universal à saúde, priorizando à atenção primária;

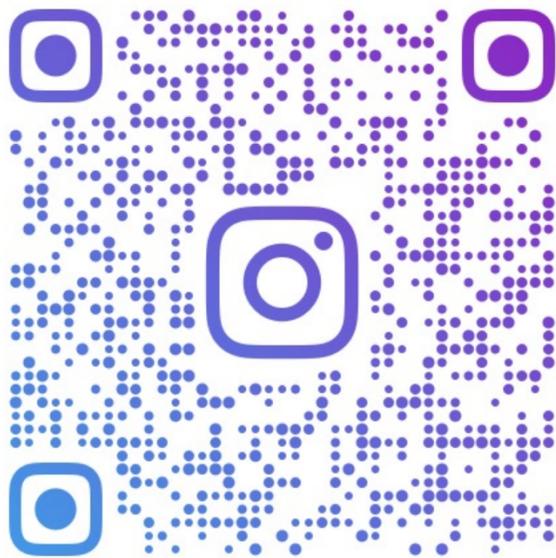
Incremento da **participação social** nas tomadas de decisões estatais.



**PROFA. MARINA BORBA**

✉ [marina.borba@usp.br](mailto:marina.borba@usp.br)

**Obrigada**



**MARINA\_BORBA**

**Agosto, 2023**