

Relatório

Missão Oficial - World Orphan Drug Congress

A Deputada Federal Mariana Carvalho (PSDB/RO) foi convidada para participar do **World Orphan Drug Congress, nos dias 23 e 24 de abril de 2015, em Washington – EUA.**

O World Orphan Drug Congress reuniu indústrias farmacêuticas (PHARMA), formuladores de políticas públicas, reguladores e os grupos de defesa dos pacientes para falar sobre sustentabilidade, preços, reembolso, comercialização e acesso de drogas órfãs ao mercado global.

A Deputada participou como mediadora de uma rodada de debates sobre medicamentos órfãs e doenças raras, no dia 23 de abril, com o tema **“Os poderes Executivo, Legislativo e Judiciário, e os médicos: assegurando direitos para doenças raras no Brasil”**. Também debateram esse assunto Dr. Carlos Vital Tavares Corrêa Lima, Presidente do Conselho Federal de Medicina; Dr. João Baptista Galhardo Junior, do Conselho Nacional de Justiça; Sr. Paolo Tagliaferri, Consultor Sênior do setor farmacêutico em Doenças Raras.

No dia 24 de abril, o debate era sobre **“A atuação das associações de pacientes para definição da agenda pública em benefício das pessoas com doenças raras”**. Participantes Sr. Antonie Daher, Presidente da “Casa Hunter”, Associação de Pacientes em Doenças Raras; Dr. Pedro Stelian, Comissão Nacional de Ética e Pesquisa (CONEP); Sra. Maria José Delgado Fagundes, diretora da Interfarma (Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa). E ainda no mesmo dia **“Cenário brasileiro para doenças raras: Iniciativas da Interfarma e da ANVISA”**. Participantes Sra. Maria José Delgado Fagundes, diretora da Interfarma (Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa); Sr. Renato Porto, diretor da ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária).

Nesse Congresso a Deputada levantou a importância dos projetos de lei relacionados às doenças raras ou medicamentos órfãs que estão atualmente em tramitação no Congresso Nacional e que terão que ter celeridade nas discussões. Hoje apenas 26 proposições fazem parte dos debates.

Na comparação com outros países é um passo atrás. O Brasil não conta com uma política oficial específica para doenças raras, tampouco possui um conceito oficial para defini-las. É necessário promover essa discussão dentro do legislativo com audiências públicas como também em seminários regionais.

Estima-se que 7 mil tipos de doenças foram identificadas no mundo inteiro, sendo que 80% delas podem ser de origem genética. Outras se desenvolvem como infecções bacterianas e virais, alergias, ou têm causas degenerativas. A maioria, cerca de 75%, se manifesta ainda na infância.

O desenvolvimento de pesquisas pela indústria farmacêutica é caro e arriscado, do ponto de vista financeiro. Para viabilizar a produção de medicamentos para o tratamento destas doenças tem que ser levado em consideração, em um grau complexo e personalizado, características microambientais específicas com possibilidades de mutações.

O ritual regulatório no Brasil para fabricação e distribuição destes medicamentos dificulta o tratamento da maioria dos pacientes com doenças raras. Algumas nunca chegarão a ter tratamentos aprovados se não houver uma visão moderada.

Prestar assistência adequada aos pacientes com doenças raras significa formular uma política capaz de combinar as duas principais facetas da questão: cuidados e tratamento por um lado; oferta de medicamentos órfãs, por outro. Na prática, esse binômio requer a organização de uma rede de serviços que mescle tratamentos e medicamentos de alto teor tecnológico com procedimentos de baixa complexidade e possa suprir as principais necessidades dos pacientes: diagnóstico preciso e precoce – um dos grandes problemas enfrentados por essas pessoas; profissionais qualificados.

Há um déficit de conhecimento médico e científico acerca dessas doenças; infraestrutura condizente com as diferentes necessidades de saúde dos pacientes; acesso a medicamentos e acompanhamento dos tratamentos ministrados.

O fato de o Brasil não possuir uma política oficial específica para doenças raras não significa, porém, que os pacientes não recebam cuidados e tratamento. Os medicamentos acabam chegando até eles, na maioria por via judicial. De uma maneira ou de outra o SUS atende essas pessoas – porém, de forma fragmentada, sem planejamento, com grande desperdício de recursos públicos e prejuízo para os pacientes.

MARIANA CARVALHO

Deputada Federal

PSDB/RO



Prezados senhores,

A Interfarma agradece a disponibilidade de todos os participantes Convidados do Brasil no World Orphan Drug Congress USA. Além de tudo, cumprimenta-os pelo engajamento em prol deste tão importante tema: as pessoas com doenças raras.

Ao longo de três dias em Abril (22, 23 e 24), o World Orphan Drug Congress reunirá indústrias farmacêuticas (PHARMA), formuladores de políticas públicas, reguladores e os grupos de defesa dos pacientes para falar sobre sustentabilidade, preços, reembolso, comercialização e acesso de drogas órfãs ao mercado global.

A Interfarma foi convidada a auxiliar na organização de um grupo de representantes brasileiros, que por sua atuação forte em prol do tema ou por sua atuação governamental, pudessem expor e debater o cenário das doenças raras no Brasil.



Dr. Renato Porto
Agência Nacional de Vigilância Sanitária

Graduado em Direito. Em 2007, especializou-se em Vigilância Sanitária. Em 2011, especializou-se em Processo Civil. Em 2009, passou a Coordenar a Coordenação de Instrução e Análise de Recursos da Gerência Geral de Medicamentos, cargo que ocupou até a posse na Diretoria Colegiada.

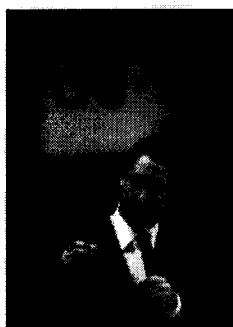
E-mail institucional: regulacao@anvisa.gov.br



Dra. Mariana Fonseca
Deputada Federal

Mariana Fonseca Ribeiro Carvalho de Moraes é advogada, médica e política brasileira. Mariana é deputada federal por Rondônia desde fevereiro de 2015.

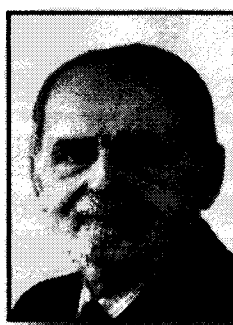
E-mail institucional: dep.marianacarvalho@camara.leg.br ou gabriellelopes1990@gmail.com



Dr. João Baptista Galhardo Junior
Conselho Nacional de Justiça.

Juiz de Direito no Estado de São Paulo desde 1990; titular da Vara da Fazenda Pública de Araraquara e Assessor da Presidência do Tribunal de Justiça de São Paulo; Coordenador do Comitê de Saúde do Conselho Nacional de Justiça no Estado de São Paulo; mestre em direito pela Universidade Estadual Paulista – UNESP.

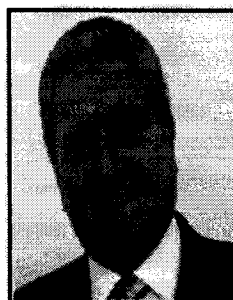
E-mail institucional: jbgjunior@tjsp.jus.br



Dr. Carlos Vital Tavares Corrêa Lima - Conselho Federal de Medicina

É clínico geral e pós-graduado em Medicina Ocupacional. Presidiu o Conselho Regional de Medicina de Pernambuco (Cremepe) de 2005 a 2008. Membro da Academia Pernambucana de Medicina, sócio-fundador da Sociedade Brasileira de Bioética (Regional Pernambuco) e da Sociedade Brasileira de Direito Médico. Foi 1º vice-presidente do CFM, entre 2009 e 2014. Atualmente é Presidente do Conselho Federal de Medicina.

E-mail institucional: presidencia@portalmedico.org.br



Dr. Pedro Stelian
Comissão Nacional de Ética e Pesquisa

Membro do CEP do HSL e do HC da USP e Relator da Comissão Nacional de Ética em Pesquisa - CONEP.

E-mail: stelian.pedrocarlos@yahoo.com.br ou stelian@uol.com.br

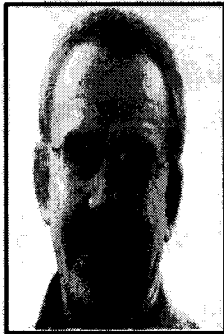


Sr. Antonie Daher - Casa Hunter

Cientista político, empresário, formado pela Faculdade do Líbano (Líbano) em Ciências Políticas Administrativa (1997), mestrado em Ciências Políticas Administrativa pela Faculdade Libanesa.

Ex presidente do Conselho de Jovens da Confederação Nacional das Entidades Líbano-Brasileira. Vice presidente do Conselho Superior da Imigração Libanesa no Brasil. Possui completa fluência nos idiomas Inglês, Libanês, Francês e Português. Hoje é presidente da Casa Hunter.

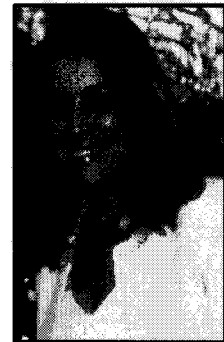
E-mail: a.daher@terra.com.br



Sr. Paolo Tagliaferri

Consultor Sênior do setor farmacêutico. Já foi Diretor - Business Development, Marketing & Commercial Operations Latin America, da Astellas Pharma US; Business Director- Iberia and Latin America, da Menarini; General Sales & Marketing Manager - Southern Europe, da 3M Pharmaceuticals; Product Mngr - Sales Mngr - Market Research Mngr, da Eli Lilly and Company e Product Manager, da Boehringer Ingelheim.

E-mail: marcelo@m3pharma.com.uy



Dra. Maria José Delgado Fagundes
Interfarma

Advogada e especialista em saúde pública, administração hospitalar, direito privado e bioética. Foi Gerente Geral de Monitoração e Fiscalização de Propaganda, Publicidade (GGPRO/ANVISA) e membro do Ad Hoc Expert Group em Marketing de Alimentos e Bebidas não alcoólicas para crianças da Organização Mundial da Saúde (OMS). Hoje é Diretora da Interfarma – Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa.

E-mail institucional: maria.delgado@interfarma.org.br

É importante destacar que obtivemos a realização de mais duas mesas no dia 23 de abril e de uma pequena Plenária no dia 24 de abril, ambas não programadas no início.

A iniciativa é muito importante, pois permitirá mostrarmos aos presentes o esforço que cada um dos presentes vem empreendendo para as drogas órfãs e para as pessoas com doenças raras no Brasil.

A metodologia da mesa é simples e não exigirá uma apresentação formal, basta que se apresentem, identificando sua instituição e, contem de maneira resumida o que a sua instituição faz no Brasil e abra para perguntas dos presentes. Caso, algum

convidado, queira entregar um pequeno texto para registrar sua fala aos presentes, nos envie para que possamos providenciar as cópias.

A organização das atividades será a seguinte:

Dia 23 de Abril

1ª Roundtable das 13:30 as 14:10

2ª Roundtable das 14:20 as 15:00

- 10 minutos de intervalo entre as mesas

Título: “Os poderes Executivo, Legislativo e Judiciário, e os médicos: assegurando direitos para doenças raras no Brasil” (“The Executive, Legislative and Judicial powers and physicians: ensuring rights for rare diseases in Brazil”)

- Moderador: Sra. Mariana Fonseca, Deputada Federal.
 - Participantes:
 - Dr. Carlos Vital Tavares Corrêa Lima, Presidente do Conselho Federal de Medicina;
 - Dr. João Baptista Galhardo Junior, do Conselho Nacional de Justiça;
 - Sr. Paolo Tagliaferri, Consultor Sênior do setor farmacêutico em Doenças Raras;

Dia 24 de Abril

Pequena Plenária de 20 minutos - das 14:50 as 15:10

Título: “Cenário brasileiro para doenças raras: Iniciativas da Interfarma e da ANVISA” (“Brazilian scenario for rare diseases: Interfarma’s and ANVISA’S initiatives”)

- Participantes:
 - Sra. Maria José Delgado Fagundes, diretora da Interfarma (Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa);
 - Sr. Renato Porto, diretor da ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária);

Roundtable de 40 min - das 16:10 as 16:50

Título da mesa: **“A atuação da associações de pacientes para definição da agenda pública em benefício das pessoas com doenças raras”** (“The role of patient organizations in setting the public agenda in behalf of people with rare diseases”)

- Moderador: Sr. Renato Porto – ANVISA (Agência Nacional de Vigilância Sanitária);
 - Participantes:
 - Sr. Antonie Daher. Presidente da “Casa Hunter”, Associação de Pacientes em Doenças Raras;
 - Dr. Pedro Stelian, Comissão Nacional de Ética e Pesquisa (CONEP);
 - Sra. Mariana Fonseca, Deputada Federal;
 - Sra. Maria José Delgado Fagundes, diretora da Interfarma (Associação da Indústria Farmacêutica de Pesquisa);

Contatos importantes:

Maria José Delgado Fagundes: (11) 993026794
Marcela Simões – Interfarma: (11) 51803490 (Brasil)

Embaixada do Brasil em Washington, D.C.

3006 Massachusetts Avenue N.W. - Washington, D.C. 20008
Telefone: (202) 238-2700
Fax: (202) 238-2827
E-mail: consular@brasilemb.org

Links úteis:

Site do Congresso: <http://www.terrapinn.com/conference/world-orphan-drug-congress-usa/index.stm>
Site da Interfarma: <http://www.interfarma.org.br/>



April 23-24, 2015
The Washington Hilton
Washington, D.C.
USA

**The global orphan drug conference
and expo**

Mariana Fonseca Ribeiro Carvalho de Moraes
Member
Brazilian Congress

Dear Mariana,

I am delighted to invite you to the fifth annual **World Orphan Drug Congress 2015**, taking place at The Hilton Washington in Washington on **April 23-24, 2015**.

Given your country's work in the rare disease space in Brazil, I believe this conference is a good fit and great opportunity for us to work together to continue to highlight Brazil's successes while moving the industry forward.

World Orphan Drug Congress is North America's premier business event for the Orphan Drug industry. Together with industry leaders from Shire, Genzyme-Sanofi, Alexion, and other major pharmaceutical players, this comprehensive two-day event will combine their experience with insight from payers, patient groups, and regulators to cover major potentials and current challenges faced by Orphan Drug stakeholders.

Based on our current agenda, I believe that you would be a great fit for a roundtable on Brazil's marketplace as highlighted below alongside Interfarma and a few other Brazilian organizations. In addition, the time and date of your proposed roundtable is included. Please feel free to modify the topic to ensure that you are addressing what you believe to be the most pertinent and relevant details.

SESSION:

4:10 PM, April 24, 2015

Roundtable 5: Navigating Brazil's Orphan Drug infrastructure

Chris Hackett, Conference Manager
Tel: +1 646 619 1789 / Fax +1 212 379 6319
Email: chris.hackett@terrapinn.com

Previous speakers from Terrapinn's World Orphan Drug Congress include:



Stephanie Okey
Senior Vice President & Head of
North America, Genetic Diseases
and US General Manager
Genzyme



Bert Bruce
Vice President, Rare Disease
Commercial Development
Pfizer



Martin Mackay
Executive Vice President,
Global Head of Research and
Development
Alexion Pharmaceuticals



Sam Rasty
Vice President, New
Products, Rare Disease
Business Unit
Shire

- **Chris Garabedian**, President and Chief Executive Officer, **Sarepta Therapeutics**
- **Leonard Lance**, Congressman, **New Jersey**
- **Jimmy Lin**, President and Founder, **Rare Genomics Institute**
- **Liz Donohue**, Director, **Coordination of Rare Diseases (CoRDS)**
- **Pat Furlong**, Founder and President, **Parent's Project Muscular Dystrophy**
- **Marlene Haffner**, President and Chief Executive Officer, **Haffner Associates**
- **Angi Robinson**, FFPM, VP Medical Affairs, **Premier Research**
- **Eric Gervais**, Executive Vice President, **Medunik Canada**
- **Katherine Needleman**, Director of Orphan Products Grants Program, **FDA**
- **Christopher Austin**, Director, **NCATS, NIH**

Key themes to be discussed at World Orphan Drug Congress USA 2015 include:

- Target and biomarker discovery, and areas for improvement
- How to devise international strategies for Orphan Drugs
- How to improve commercialization and distribution of orphan drugs
- Sustainability of a tenuous rare disease marketplace
- Maintaining safety with low volume patient testings while fast-tracking approvals
- How to attract investment and partners

Chris Hackett, Conference Manager
Tel: +1 646 619 1789 / Fax +1 212 379 6319
Email: chris.hackett@terrapinn.com



One of our interactive roundtable discussions

I have attached last year's brochure along with this invitation for your review. I look forward to hearing back from you soon.

Kind regards,

Chris Hackett
Conference Producer
Terrapinn Inc, USA
96 Spring Street, 4th Fl.
New York, NY 10012

Tel: +1 646 619 1789
Fax: +1 212 379 6319

Chris Hackett, Conference Manager
Tel: +1 646 619 1789 / Fax +1 212 379 6319
Email: chris.hackett@terrapinn.com