

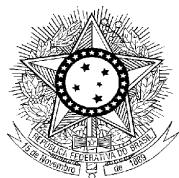


CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

**SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE
TEMAS RELACIONADOS AO USO DE FÁRMACOS
EXPERIMENTAIS PARA O TRATAMENTO DE
DOENÇAS GRAVES OU RARAS.**

RELATÓRIO FINAL

NOVEMBRO DE 2016



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

**DEPUTADOS COMPONENTES DA SUBCOMISSÃO ESPECIAL
DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO USO DE
FÁRMACOS EXPERIMENTAIS PARA O TRATAMENTO DE DOENÇAS
GRAVES OU RARAS, DE 2016:**

TITULARES

- 1. DEPUTADO ADELMO CARNEIRO LEÃO (PT-MG)**
- 2. DEPUTADO ALEXANDRE SERFIOTIS (PMDB-RJ)**
- 3. DEPUTADO ARLINDO CHINAGLIA (PT-SP)**
- 4. DEPUTADA CARMEN ZANOTTO (PPS-SC)**
- 5. DEPUTADA DULCE MIRANDA (PMDB-TO)**
- 6. DEPUTADO EDUARDO BARBOSA (PSDB-MG)**
- 7. DEPUTADA LEANDRE (PV-PR)**
- 8. DEPUTADO LOBBE NETO (PSDB-SP)**
- 9. DEPUTADO MIGUEL LOMBARDI (PR-SP)**

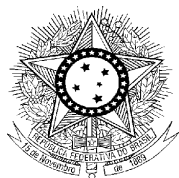
SUPLENTES

- 1. DEPUTADO DARCÍSIO PERONDI – PMDB/RS**

PRESIDENTE: DEPUTADO ARLINDO CHINAGLIA

RELATORA: DEPUTADA LEANDRE

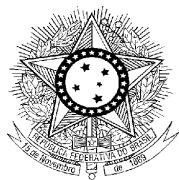
A criação desta Subcomissão foi aprovada pelo Plenário da Comissão de Seguridade Social e Saúde (CSSF), em reunião ordinária realizada em 18 de maio de 2016 e constituída pela Presidente da CSSF, Deputada Conceição Sampaio, nessa mesma data.



SUMÁRIO

1. APRESENTAÇÃO	5
2. ACOMPANHAMENTO DOS ESTUDOS SOBRE A FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA (OBJETIVO 1 DO PLANO DE TRABALHO)	8
2.1. Introdução.....	8
2.2. O uso da fosfoetanolamina sintética.....	9
2.3. Pesquisas sobre a fosfoetanolamina sintética.....	10
2.4. A Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016 e a ADI nº 5501	13
3. O ACESSO AOS MEDICAMENTOS E SUA JUDICIALIZAÇÃO.....	14
4. PESQUISA E DESENVOLVIMENTO – A IMPORTÂNCIA ESTRATÉGICA DOS MEDICAMENTOS	19
4.1. Introdução.....	19
4.2. A pesquisa de medicamentos no Brasil.....	21
5. DOENÇAS GRAVES E RARAS E A POSSIBILIDADE DE ACESSO AOS FÁRMACOS EXPERIMENTAIS	31
5.1. Doenças graves.....	32
5.2. Doenças Raras.....	34
6. CONCLUSÕES.....	36
ANEXOS	38

GLOSSÁRIO



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

CCSF: Comissão de Seguridade Social de Família

CIEnp: Centro de Ensaio Pré-clínicos

ICESP: Instituto de Câncer do Estado de São Paulo

IQSC: Instituto de Química de São Carlos

USP: Universidade de São Paulo

GT: Grupo de Trabalho

STF: Supremo Tribunal Federal

MCTIC: Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovação e Comunicação

ADI: Ação Direta de Inconstitucionalidade

SUS: Sistema Único de Saúde

CNJ: Conselho Nacional de Justiça

FMRP/USP: Faculdade de Medicina de Ribeiro Preto da Universidade de São Paulo

OMC: Organização Mundial do Comércio

P&D: Pesquisa e Desenvolvimento

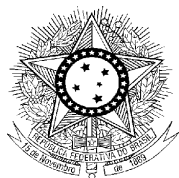
RDC: Resolução da Diretoria Colegiada

FAPs: Fundação de apoio à pesquisa

PDPs: Parceria e desenvolvimento produtivo

AGRADECIMENTOS

Esta Subcomissão agradece a todas as pessoas que participaram de alguma forma na construção do presente Relatório, em especial, àquelas que



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

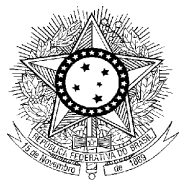
participaram na realização dos debates efetivados em Audiência Pública, nas reuniões internas, nas visitas ao Instituto de Câncer do Estado de São Paulo – ICESP - e ao Centro de Ensaios Pré-clínicos – CIEnp. Um agradecimento especial também a todos os dirigentes de órgãos públicos e entidades privadas que acolheram pedidos de informações ou cederam servidores e funcionários para participação nas discussões e debates realizados.

Estendemos, ainda, nossos agradecimentos a todos os servidores da Câmara dos Deputados que contribuíram para os trabalhos desta Subcomissão e a elaboração deste Relatório, em especial, os funcionários dos gabinetes dos Deputados membros desta Subcomissão e os servidores da Comissão de Seguridade Social e Família e da Consultoria Legislativa.

**Deputada Leandre
Relatora**

1. APRESENTAÇÃO

Os temas e debates que envolvem o direito à saúde sempre são cercados de muito interesse por todos os segmentos sociais. A assistência farmacêutica e as formas de acesso aos medicamentos, tendo em vista a integralidade da atenção à saúde, podem ser apontados como assuntos de maior destaque na atualidade.



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

A importância desse tema ganha contornos ainda mais nítidos e sensíveis quando correlacionado com as doenças graves e raras, com o desenvolvimento de terapias inovadoras e o acesso a produtos experimentais ainda não licenciados para uso no país. Isso porque, geralmente, não existem terapias eficazes que levem à cura dessas doenças. Em muitas situações, a adequada assistência farmacêutica, tanto de seu ponto de vista quantitativo quanto qualitativo, é o principal aspecto relacionado com a proteção da vida e da saúde humana.

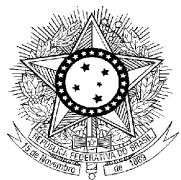
Tais demandas, que possuem alta relevância para a concretização do direito à saúde, constituem objeto da presente Subcomissão Especial destinada a tratar de temas relacionados ao uso de fármacos experimentais para o tratamento de doenças graves ou raras – Subfármacos.

Importante recordar que a presente Subcomissão teve, como um dos principais motivadores, o Grupo de Trabalho instituído no âmbito da Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF - para acompanhar o caso da fosfoetanolamina sintética. O uso dessa substância, que foi distribuída como um medicamento, teve grande repercussão nos meios sociais brasileiros em 2015 e 2016, chegando a ser chamada de “pílula do câncer”, ganhou notoriedade em razão dos possíveis efeitos positivos contra diversos tipos de câncer.

A pílula foi produzida no Instituto de Química de São Carlos – IQSC -, vinculado à Universidade de São Paulo – USP -, por mais de vinte anos. O produto foi distribuído gratuitamente na própria Universidade, especificamente para o “tratamento” de neoplasias.

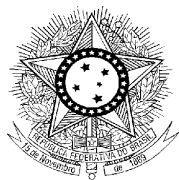
Diante dos debates promovidos e das demandas recebidas no âmbito do referido GT, a Comissão de Seguridade Social e Família da Câmara dos Deputados criou esta Subcomissão Especial para tratar de temas relacionados ao desenvolvimento e uso de fármacos ainda em fase experimental para as doenças graves e raras.

A ideia de dar continuidade ao trabalho até então desenvolvido pelo citado GT foi um dos principais fundamentos para a iniciativa da CSSF. Tendo em vista essa importante missão, a referida Subcomissão aprovou seu Plano de Trabalho (anexo I), no qual foram fixados os seguintes **objetivos**:



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

- 1) Acompanhar todos os desdobramentos e providências relacionadas à fosfoetanolamina sintética, em especial os estudos financiados pelo Estado e o posicionamento do STF acerca da Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016;
- 2) Estudar a jurisprudência do STF acerca da garantia de acesso a medicamentos ainda não registrados no Brasil;
- 3) Avaliar, em seus diversos aspectos, a judicialização acerca do acesso aos medicamentos;
- 4) Obter junto à Anvisa lista dos medicamentos autorizados que não enfrentaram os testes clínicos, bem como dos medicamentos autorizados e proibidos posteriormente;
- 5) Reunir pesquisadores para discutir dificuldades e obstáculos enfrentados, os objetivos perseguidos e os resultados obtidos nas pesquisas científicas relacionadas aos medicamentos inovadores e novas vacinas;
- 6) Detectar as externalidades que influem, ou que advêm do sistema de produção e comercialização dos medicamentos, não controladas de forma satisfatória pelo próprio mercado;
- 7) Explorar os temas que envolvem o desenvolvimento e o uso de fármacos em fase experimental no enfrentamento às patologias graves ou raras;
- 8) Estudar os aspectos relacionados à pesquisa científica e à descoberta de drogas inovadoras, além do desenvolvimento de novos produtos medicamentosos, os obstáculos existentes e as possíveis soluções, entre outros fatores;
- 9) Avaliar e propor soluções, ações, políticas e programas que possam superar os óbices detectados ao desenvolvimento de novas terapias e fármacos, à inovação científica, melhoria de acesso aos medicamentos e adequada assistência farmacêutica para doenças graves e raras, tendo em vista as competências, atribuições e responsabilidades do Poder Público, cominadas pela Constituição, pelas leis e legislação infraconstitucional;
- 10) Oferecer à CSSF um conjunto atualizado de informações sobre



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

medicamentos para subsidiar a atuação da Comissão e da Câmara dos Deputados.

Os objetivos eleitos pelos membros participantes desta Subcomissão serviram de guia para a realização dos trabalhos, reuniões internas, visitas externas, audiências públicas e, conseqüentemente, na elaboração do presente Relatório.

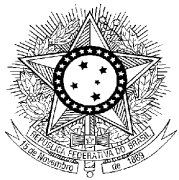
Importante destacar que a Subfármacos enfrentou diversos obstáculos no decorrer do desenvolvimento dos trabalhos. O calendário eleitoral brasileiro, além da exaustiva pauta do Plenário, foram os principais óbices para a definição de uma agenda que permitisse à Subcomissão promover os debates apropriados para aprofundar a análise de tão importante tema.

Assim, o cumprimento de alguns objetivos propostos ficou comprometido. Além de envolverem assuntos de alta complexidade e de bastante amplitude, como o fenômeno da judicialização do acesso aos medicamentos, existem providências que ainda estão em curso. Os estudos com a fosfoetanolamina e o posicionamento do STF sobre os limites da garantia de acesso aos medicamentos, por exemplo, ainda não tiveram um desfecho. Tais fatos mostram que seria de bom alvitre que a CSSF desse continuidade aos trabalhos iniciados por esta Subcomissão.

2. ACOMPANHAMENTO DOS ESTUDOS SOBRE A FOSFOETANOLAMINA SINTÉTICA (OBJETIVO 1 DO PLANO DE TRABALHO)

2.1. Introdução

O caso da fosfoetanolamina sintética e toda a discussão que o circundou foram os motivadores principais para a criação da presente Subcomissão, em continuidade aos trabalhos iniciados pelo referido Grupo de Trabalho. Com efeito, foi um caso que suscitou uma série de incertezas que mostraram a necessidade de mudanças no que tange ao desenvolvimento de fármacos inovadores e na forma como as pesquisas envolvendo tais produtos devem ser realizadas, em especial, quando forem direcionadas a uma doença



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

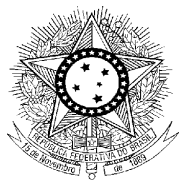
grave ou rara. Outro aspecto sublinhado por esse caso envolveu a possibilidade de um acesso regulado e lícito aos fármacos experimentais, no caso desse acesso ser a última alternativa para combater uma doença grave ou rara, para a qual não exista tratamento eficaz aprovado pelas autoridades sanitárias.

O acompanhamento de todos os desdobramentos envolvendo essa substância, como as pesquisas e os estudos que estão sendo desenvolvidos no Brasil, alguns com financiamento público, os resultados e conclusões até então obtidos, bem como o posicionamento do Supremo Tribunal Federal sobre o mérito da Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016, que dispensou o registro da fosfoetanolamina até a conclusão dos estudos, constitui o escopo previsto no objetivo número 1 do Plano de Trabalho aprovado pela Subcomissão.

2.2. O uso da fosfoetanolamina sintética

Em muitas situações, a falta de uma alternativa terapêutica que possua eficácia sobre determinada patologia pode levar o paciente ao desejo e credulidade de infinita esperança quanto às inovações medicamentosas, independente de comprovação científica de sua eficácia. Na luta para proteger sua própria vida, 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.

Saliente-se que 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. Não havia, como até o momento não há, o regular registro sanitário. Muitas pessoas acreditavam e acreditam se tratar de um medicamento e se sujeitaram a um risco desconhecido movido pela falta de alternativa terapêutica e pelo risco de morte. Apesar disso, existem muitos relatos e testemunhos de pessoas que utilizaram a fosfoetanolamina produzida no IQSC/USP sobre a melhoria no quadro sintomatológico até então apresentado.



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

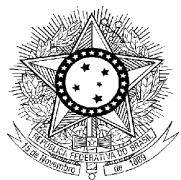
Esse uso, juntamente com os relatos individuais de pacientes que teriam colhido benefícios pelo consumo do produto, provocou a atuação do Poder Legislativo. Muitos parlamentares passaram a acompanhar mais de perto os desdobramentos acerca da fosfoetanolamina, em especial, as pesquisas científicas que foram iniciadas após a intervenção do Ministério da Ciência, Tecnologia, Inovações e Comunicações – MCTIC.

2.3. Pesquisas sobre a fosfoetanolamina sintética

Após o grande clamor social que circundou esse caso, 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 em comento. Tais estudos estão sendo conduzidos por 3 grupos de pesquisadores: 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 Ensaio Pré-clínicos – CIEnp - em Florianópolis/SC; e Núcleo de Pesquisa e Desenvolvimento de Medicamentos da Universidade Federal do Ceará – NPDM/UFC. Os resultados dos testes até então realizados e divulgados trouxeram importantes conclusões acerca dessa substância.

Inicialmente, as análises revelaram que a composição química das cápsulas, na forma como vinham sendo sintetizadas no Instituto de Química de São Carlos – USP -, não era constituída só de fosfoetanolamina, em grau de pureza próximo a 98%, como vinha sendo divulgado. Com efeito, a composição das cápsulas foi a seguinte:

- 32,2% de fosfoetanolamina;
- 34,9% de fosfatos de cálcio, magnésio, ferro, manganês, alumínio, zinco e bário;
- 3,6% de pirofosfato de cálcio, magnésio, ferro, manganês, alumínio, zinco e bário;
- 18,2% de monoetanolamina protonada;
- 3,9% fosfobisetanolamina;
- 7,2% de água.



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

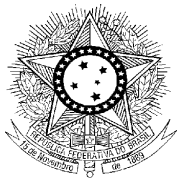
Saliente-se que a amostra usada para a verificação da composição química foi proveniente da mesma fonte que a sintetizava e distribuía para a população. Além da composição com diversas substâncias, as cápsulas apresentaram heterogeneidade no peso do conteúdo.

Os pesquisadores contratados pelo MCTIC também realizaram a síntese da substância nos termos dos protocolos definidos no registro da patente do produto junto ao Instituto Nacional da Propriedade Industrial – INPI - e obtiveram a mesma composição das cápsulas analisadas que eram provenientes do IQSC-USP.

Os relatórios dos demais estudos¹ realizados, chegaram às seguintes conclusões:

- A fosfoetanolamina não apresenta atividade citotóxica e antiproliferativa in vitro, nem em linhagens de células humanas (carcinoma de pulmão, carcinoma de pâncreas e melanoma);
- A substância não é tóxica ao organismo humano e não apresentou efeitos adversos nos animais estudados, nem em doses muito altas;
- Dentre as substâncias presentes na cápsula, apenas a monoetanolamina, que é uma substância reconhecidamente tóxica, mostrou pequena atividade citotóxica. Mas essa atividade foi cerca de 3000 vezes menos citotóxica que a da cisplatina e gencitabina - medicamentos indicados para o tratamento de neoplasias. A composição fornecida pelo IQSC/USP também não apresentou toxicidade em animais de laboratório, nem em altas concentrações;
- Os testes de genotoxicidade também apresentaram resultados negativos. A

¹ Que podem ser lidos na íntegra por meio do seguinte link: <http://www.mcti.gov.br/relatorios-fosfoetanolamina>



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

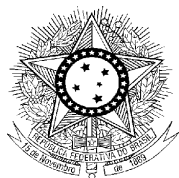
fosfoetanolamina não obteve ação mutagênica/deletéria sobre o DNA;

- No caso de testes em animais com melanoma, a substância obteve resposta positiva em 65% dos casos; e
- O NPDM-UFC também concluiu que a substância não é citotóxica in vitro. Ressalvou, entretanto, que não se pode descartar a citotoxicidade in vivo, por causa da existência de rotas metabólicas no organismo humano que não podem ser reproduzidas in vitro.

Paralelamente às análises financiadas pela União, o Estado de São Paulo também decidiu realizar outros estudos, por meio do Instituto do Câncer do Estado de São Paulo – ICESP² -, já iniciando os trabalhos pela fase 1 dos ensaios clínicos ao considerar que as informações e dados até então disponibilizados acerca da fosfoetanolamina, em especial o que foi produzido pela equipe da USP, serviriam como estudo pré-clínico. Isso porque, geralmente, os ensaios pré-clínicos servem para definir o perfil de toxicidade de determinado agente candidato a ser classificado como um fármaco, em animais de laboratório e/ou in vitro, e tal perfil já estaria satisfatoriamente elucidado, não tendo nenhum estudo identificado a fosfoetanolamina sintética, nem a composição até então elaborada pela USP, como tóxica.

Nos estudos clínicos de fase 1 executados pelo ICESP foram utilizados 10 pacientes diagnosticados com neoplasias diversas, com o objetivo de avaliar e confirmar o perfil de toxicidade da fosfoetanolamina em humanos. Após a verificação de que, de fato, a substância não se mostrou tóxica ao organismo humano, o Instituto iniciou, então, a fase 2 os ensaios clínicos. Nessa fase serão avaliados e acompanhados 200 pacientes, divididos em grupos de 20 doentes de acordo com 10 tipos de câncer diagnosticados:

² O ICESP integra o complexo do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HCFMUSP) e as informações obtidas sobre os estudos foram coletadas em visita realizada por esta subcomissão.



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

cabeça e pescoço; mama; próstata; colo do útero; cólon e reto; estômago; fígado; pulmão; pâncreas; e melanoma. Essa fase teve início no começo de outubro e tem previsão de duração de seis meses. Caso determinado número de pacientes apresente efeitos positivos com o uso da substância, os estudos serão ampliados e um maior número de pacientes poderá ser incorporado ao grupo de avaliação, providência normal e esperada na fase de estudos clínicos. Essa ampliação deverá ocorrer até que se atinja o número máximo de 1000 pacientes (100 para cada grupo). Essa fase é destinada a avaliar a eficácia da substância contra as neoplasias.

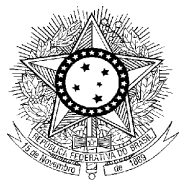
Importante salientar que o produto utilizado nos ensaios realizados pelo ICESP segue a via de síntese definida no depósito de pedido de patente junto ao Instituto Nacional da Propriedade Industrial – INPI. O Laboratório PDT Pharma, responsável pela elaboração do composto, também foi indicação da equipe de pesquisadores do IQSC-USP. A Fundação do Remédio Popular – Furp, que é o laboratório oficial da Secretaria de Estado da Saúde de São Paulo, se encarrega de encapsular a droga para a realização dos testes.

2.4. A Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016 e a ADI nº 5501

O Grupo de Trabalho da fosfoetanolamina concretizou a elaboração do projeto que resultou na Lei 13.269/2016. Essa lei autorizou o uso da substância fosfoetanolamina sintética por pacientes diagnosticados com neoplasia maligna em caráter excepcional, enquanto estiverem em curso estudos clínicos acerca dessa substância.

Entretanto, essa lei foi questionada por meio da Ação Direta de Inconstitucionalidade 5501, tendo o Supremo Tribunal Federal concedido liminar para suspender os efeitos do texto legal, até o pronunciamento sobre o mérito, que está pendente. Votaram favoravelmente à concessão da liminar os Ministros Marco Aurélio (Relator), Luiz Roberto Barroso, Teori Zavascki, Luiz Fux, Carmen Lucia e Ricardo Lewandowski (Anexo 2).

Os Ministros Edson Fachin, Rosa Weber, Dias Tofoli e Gilmar Mendes posicionaram-se favoravelmente a dar uma interpretação conforme à Constituição Federal (Anexo 2).



3. O ACESSO AOS MEDICAMENTOS E SUA JUDICIALIZAÇÃO

Conforme definido nos **objetivos 2 e 3 do Plano de Trabalho**, o fenômeno da judicialização envolvendo a garantia de acesso aos medicamentos, em especial o posicionamento do Supremo Tribunal Federal acerca dos limites de tal direito, estão no escopo dos trabalhos desenvolvidos por esta Subcomissão.

A jurisprudência do STF sobre tão importante tema se consolidou no sentido do reconhecimento do direito à saúde como um direito fundamental do ser humano, essencial, inalienável, indisponível, inviolável e universal. A assistência farmacêutica está intimamente vinculada a esse direito, do qual ganhou traços característicos. O dever de garantir a saúde, de modo integral, é partilhado de forma solidária entre os entes federados, União, estados e municípios.

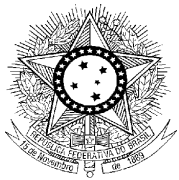
No que tange especificamente à concessão de medicamentos, um dos principais fundamentos para a concessão judicial reside na demonstração da hipossuficiência econômica do requerente para arcar com o tratamento, embora nem sempre tal condição tenha sido considerada imprescindível. As alegações de óbices financeiros, orçamentários, burocráticos (como o produto não ser padronizado no âmbito do SUS) e secundários do Estado (polo passivo da ação), não possuem força suficiente para afastar os princípios do direito à vida e à saúde.

Ressalte-se que o STF ainda não havia sido instado a se pronunciar sobre o dever do Estado em garantir o acesso a medicamentos sem o registro sanitário na Anvisa e uso off label³. Tais temas serão analisados no âmbito dos Recursos Extraordinários nºs 657.718/MG e 566.471/RN (Anexo 3).

É de extrema importância para o Parlamento, em face do interesse social que envolve a matéria, que esses processos sejam acompanhados pela CSSF.

A judicialização envolvendo medicamentos, não só nesses dois casos, mas de uma forma geral, tem aumentado de modo progressivo nos últimos anos como forma de o paciente garantir o seu direito à atenção integral à

³ O uso não aprovado, que não consta da bula.



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

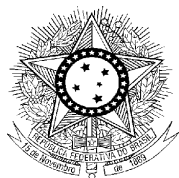
saúde e o acesso à terapêutica para combate à doença.

. Sabemos que o SUS enfrenta muitos problemas em todas as regiões brasileiras e a carência de recursos compromete a adequada concretização do direito à saúde em sua plenitude. Se as políticas públicas de saúde, como a assistência farmacêutica, apresentassem uma alta efetividade, certamente o número de ações envolvendo o acesso a determinados medicamentos seria bem menor. Mas o que vemos hoje são milhares de processos nos tribunais de todo o país para que seja garantido o acesso a serviços e bens relacionados com a atenção à saúde, em especial os medicamentos, muitos deles padronizados pelo SUS, mas que rotineiramente faltam nas farmácias públicas.

Tem-se como consequência da não efetividade das políticas de saúde o grande aumento da judicialização, que, por sua vez, gera uma desorganização das contas públicas e do planejamento. Em apenas 4 anos, os gastos do Ministério da Saúde em ações judiciais saltaram 107%, chegando em 2015 a R\$761 milhões⁴. Nas doenças raras, pela baixa incidências e não previsão de incorporação dos medicamentos no SUS, acabam tendo o maior custo:

Ranking [20 + JUI]	Medicamento	Indicação	Registro Anvisa	Registro EMA	Registro FDA	Incorporado pelo COMITEC	Valor Judicialização MS 2015	% Variação Judicialização MS 2015/14
1	ECOLIZUMABE	hemoglobina paroxística noturna	NÃO	SIM	SIM	NÃO	276.945.666	76,37%
2	ELOSUFASE ALFA	mucofesscaridose, tipo Iva	SIM	SIM	SIM	NÃO	70.635.233	135,31%
3	LONITAPIDA	hipercolesterolemia hereditária	NÃO*	SIM	SIM	NÃO	51.847.851	104,08%
4	ATALURENO	distrofia muscular	NÃO	SIM	NÃO	NÃO	26.954.166	o
5	INBIDOR DE ESTERASE	angiodema hereditário	NÃO	SIM	SIM	NÃO	15.010.271	59,85%
9	MERCAPTANONA	ostiose nefropática	NÃO*	SIM	SIM	NÃO	4.247.760	1787,30%
10	MPOMERSEN	hipercolesterolemia hereditária	NÃO	SIM	SIM	NÃO	4.194.164	352,44%
11	TAFAMODIS	polineuropatia amiotóxica familiar	NÃO	SIM	NÃO	NÃO	4.151.561	10,93%
14	ALFA-1 ANTITRIPSINA (AAT)	deficiência de alfa-1 antitripsina (doença genética)	SIM	SIM	SIM	NÃO	2.303.939	46,02%
15	CHIAQUIMABE	arbita dopaxica juvenil sistêmica	SIM	SIM	SIM	NÃO*	2.379.173	138,97%
19	NETESIONA	transferrina hereditária do tipo I (Hf-I)	NÃO	SIM	SIM	NÃO	1.572.408	200,82%
TOTAL (DOENÇAS RARAS)							R\$ 580.442.292,00	

Interfarma na audiência pública da CSSF – CD, em 20/10/2016: legislativa/comissoes/comissoes-Sessao=58124&codReuniao=45306



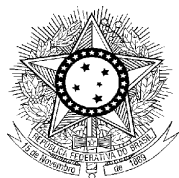
**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS**

(Fonte: Interfarma)

O aumento no número de ações envolvendo o direito à saúde, segundo a Interfarma, tem como fatores:

- **População sem subsídio:** 75% da população conta apenas com o próprio salário para a compra de medicamentos (Fonte: OECD Health Data/2008 e Datasus/Siops);
- **Crise econômica:** as dificuldades financeiras e a taxa de desemprego aumentaram, além do crescimento da inflação;
- **Envelhecimento da população:** os idosos já representam 12% do total da população, aumentando a incidência de doenças como câncer, hipertensão, diabetes e problemas neurológicos (Fonte: IBGE). E o aumento da incidência das doenças crônicas, com o decorrer da idade, é uma consequência já esperada;
- **Pouca incorporação de novos produtos pelo SUS:** nos últimos três anos, até julho de 2015, mais de 56% dos pedidos de incorporação de produtos ao rol de padronização do SUS foram negados, o equivalente a quase 200 medicamentos (Fonte: dados públicos do Ministério da Saúde);
- **Atrasos e problemas de logística:** mesmo medicamentos incorporados ao SUS acabam em falta nos postos de saúde e hospitais públicos.

Saliente-se que o SUS deve atuar em observância ao princípio constitucional da economicidade. A carência de recursos exige a sua



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

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.

Para reforçar esses dados, vale observar a quantidade de processos que envolvem a saúde, segundo o Conselho Nacional de Justiça:

Relatórios de cumprimento da Resolução CNJ n. 107

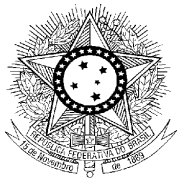
Ações de saúde

Tribunal Federal	1º Grau	2º Grau	TOTAL
TRF-1	10.194	5.608	15.802*
TRF-2	4.919	1.567	6.486
TRF-3	3.126	1.579	4.705
TRF-4	24.229	11.058	35.287
TRF-5	7	4	11
			TOTAL: 62.291

**Números fornecidos pela assessoria de imprensa do tribunal.*

Tribunal Estadual	Número de ações
TJSP	44.690
TJAC	7
TJAP	76
TJAL	6.303*
TJBA	841
TJAM (não informado)	-
TJCE	8.344
TJDFT	2.575
TJES	8.991
TJMG	66.751
TJPA	19
TJGO	309
TJMS	1.081
TJMA	668
TJMT	6.664
TJPE (não informado)	-
TJRJ	46.883
TJRR	64
TJPI	229
TJRN	452
TJPR	2.609
TJRO	595
TJRS	113.953
TJSC	18.188
TJTO	149
TJSE	189
TJPB (não informado)	-
Total:	330.630

**Números fornecidos pela assessoria de imprensa do tribunal.*



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

(Fonte: Dados extraídos do sistema de acompanhamento da Resolução CNJ nº. 107, em junho de 2014)

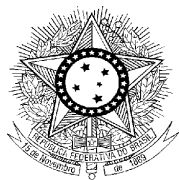
Ante ao cenário caótico da judicialização dado pelos números acima demonstrados, o Conselho Nacional de Justiça – CNJ - e o Ministério da Saúde firmaram, em agosto de 2016, termo de cooperação técnica para *“proporcionar aos Tribunais de Justiça (TJs) e Tribunais Regionais Federais (TRFs) subsídios técnicos para a tomada de decisão com base em evidências científicas nas ações relacionadas com a atenção à saúde, visando, assim, a aprimorar a litigiosidade e a solução das demandas, conferir maior celeridade no julgamento das ações judiciais nas quais figurem a atenção à saúde”*, no qual serão criados bancos de dados técnicos para subsidiar as decisões dos magistrados, que conterà notas técnicas, análises de evidências científicas e pareceres técnicos científicos consolidados, além de notas da CONITEC e acesso à biblioteca do centro *Cochrane* do Brasil. Medida esta que poderá contribuir para maior celeridade das demandas, podendo gerir a problemática entre compatibilidade entre o atendimento da coletividade e o individual urgente. Inclusive, ressalta-se que já constam no site do CNJ respostas rápidas⁵ e notas técnicas⁶, colocando em prática a medida adotada.

No mesmo sentido, com o intuito de encontrar um mecanismo para auxiliar a grande demanda existente, magistrados da Justiça Federal do Distrito Federal desenvolveram o Projeto Doenças Raras – DF, o qual motivou uma visita de membros desta Subcomissão aos idealizadores da iniciativa. O projeto se mostrou 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.

Importante destacar que um dos motivos que deu causa ao início do projeto foi exatamente a existência de vários indícios de fraudes, que inclusive ensejaram a instauração de inquéritos policias. Os juízes creem, que, em média, com a alteração procedimental realizada, a concessão da tutela antecipada só é feita em 20% dos pedidos.

⁵ <http://www.cnj.jus.br/programas-e-acoas/forum-da-saude/respostas-rapidas>

⁶ <http://www.cnj.jus.br/programas-e-acoas/forum-da-saude/notas-tecnicas>



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

Ainda, há a proposta de que *“seja instituído o “Cadastro Nacional de Ações de Pedidos de Medicamentos”, alimentado por todas as justiças, pois se percebeu que, devido à possibilidade de estas ações serem interpostas em diversos lugares e também, simultaneamente, na justiça federal e estadual, envolvendo vários entes do SUS (princípio da solidariedade) e planos de saúde, em alguns casos, os autores se valem de mais de uma ação solicitando o mesmo medicamento”*⁷. E, para melhor desenvolvimento do que fora proposto, foi inaugurada uma sala de perícias unicamente para as demandas com medicamentos para doenças raras.

Outra observação bastante interessante diz respeito à desistência da ação, por parte dos autores, quando a perícia é designada. No momento de confrontar o perito sobre a imprescindibilidade do medicamento que lhe foi indicado, com a mediação do juízo, muitos autores acabam desistindo de continuar movimentando o processo. Tal fato pode ser um forte indicativo de que, em algumas situações, há o uso da via judicial para o cometimento de desvios e para a busca de benefícios ilícitos.

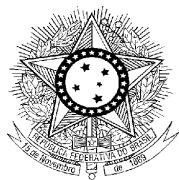
Como visto, o presente tema apresenta alta relevância social, tendo em vista não só o montante de recursos envolvidos nas ações judiciais, mas, principalmente, em face do discurso jurídico e das interpretações que passam a compor a conformação jurisprudencial dos contornos do direito à saúde. Certamente, esse é um assunto que precisa ser objeto de acompanhamento contínuo da CSSF para um maior aprofundamento do assunto.

4. PESQUISA E DESENVOLVIMENTO – A IMPORTÂNCIA ESTRATÉGICA DOS MEDICAMENTOS

4.1. Introdução

De uma forma geral, 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. Com efeito, o

⁷ <http://portal.trf1.jus.br/sjdf/comunicacao-social/imprensa/noticias/projeto-de-juizes-da-justica-federal-do-df-sobre-doencas-raras-tem-o-seu-primeiro-levantamento.htm>



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

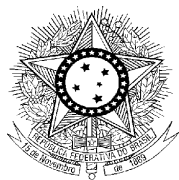
ser humano faz uso desses produtos desde o momento em que nasce, durante toda a sua vida, até o momento de sua morte. Na atualidade é impossível imaginar a atuação de um médico sem a utilização do arsenal terapêutico que existe.

Apesar do grande número de fármacos existentes e disponíveis ao ser humano, ainda convivemos com grande número de doenças que permanecem sem um tratamento curativo definitivo, como ocorre com as doenças crônicas e muitas doenças graves e raras. Controla-se os efeitos maléficos da doença, como na hipertensão, na diabetes, na depressão, na epilepsia, na artrite reumatoide, entre outras, mas a remissão completa não é obtida.

Além da falta de medicamentos por questões logísticas, operacionais, gerenciais e de falta de dinheiro, existe uma outra lacuna que impede que alguns pacientes tenham concretizado seu direito à saúde. Esse é o caso de pacientes com doenças graves e raras, quando não se tem acesso à terapia por causa da inexistência dela. Muitas patologias ainda continuam sem o conhecimento científico suficiente e adequado sobre sua etiopatogenia, a ponto de permitir novas pesquisas que evoluam para o desenvolvimento de terapias e fármacos com eficiência sobre a causa principal da moléstia.

Essa falta de acesso reflete, em última análise, em impossibilidade de garantir-se o direito à saúde. Por mais que o Estado desenvolva programas ou ações direcionados a esses pacientes, essa garantia torna-se absolutamente inconsistente diante da impossibilidade de fornecimento de uma terapia eficaz. O máximo que a medicina faz, em uma série de patologias, é tratar apenas seus sintomas, como ocorre com várias doenças consideradas raras.

Esse contexto revela a importância que circunda os **objetivos 5, 6, 7 e 8** do Plano de Trabalho, acerca da pesquisa e desenvolvimento de medicamentos, tema que foi objeto de Audiência Pública realizada no dia 08 de novembro de 2016. Com efeito, 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



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

lucratividade dos laboratórios. O mercado farmacêutico nacional é abastecido por indústrias que elaboram meras cópias de substâncias que não têm mais patente. Há uma extrema dependência nacional de tudo aquilo que é inventado em países desenvolvidos. Esse e outros aspectos serão abordados a seguir.

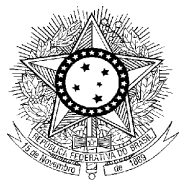
4.2. A pesquisa de medicamentos no Brasil

Sabemos que o Brasil não é um país que produz frutos e inovações na área de novos fármacos, área na qual não possui qualquer destaque. Isso chama mais atenção ainda se considerarmos a quantidade de substâncias inexploradas que estão presentes na riquíssima flora nacional, assim como na fauna. Pode-se imaginar, diante da quantidade de plantas e outros seres vivos ainda desconhecidos por falta de estudos, o potencial para a descoberta de substâncias revolucionárias e benéficas para o combate às doenças.

Audiência Pública realizada na CSSF no dia 08/11/2016 reuniu pesquisadores brasileiros renomados com o intuito de tentar identificar quais os obstáculos principais para que nosso país seja tão incipiente na descoberta de fármacos inovadores, enfim, ter uma ideia mais geral sobre a atual situação da pesquisa científica envolvendo fármacos no Brasil. Entendo oportuno enaltecer as participações do Prof. Fernando de Queiroz Cunha (FMRP/USP), Prof. Jorge Kalil (Diretor do Instituto Butantan), Prof. José Fernando Perez (Diretor Presidente da Recepta) e do Dr. Salmo Raskin (Professor Doutor da Pontifícia Universidade Católica do Paraná) que trouxeram informações e dados valiosíssimos para a análise do presente tema, os quais ajudaram a entender melhor a atual situação do setor de pesquisa e desenvolvimento de medicamentos no Brasil.

Diante das importantes observações feitas na citada audiência, considero de bom alvitre que as mais relevantes sejam a seguir destacadas para compor o presente Relatório, ainda que em apertada síntese:

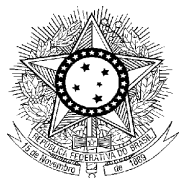
- ✓ Existe significativo número de cientistas no Brasil. A base acadêmica brasileira atualmente pode ser comparada com países com boa tradição em pesquisa científica;
- ✓ Há, em consequência, relevante produção científica, principalmente de artigos e revisões. Mas essa produção



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

científica e base acadêmica não geram inovações práticas no setor de desenvolvimento e produtor, assim como não é direcionada para a descoberta de conhecimento;

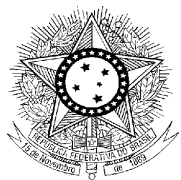
- ✓ O mercado brasileiro de medicamentos possui alta relevância, sendo o sexto maior do mundo, ficando atrás apenas de Estados Unidos, Japão, China, Alemanha e França;
- ✓ As principais indústrias farmacêuticas possuem unidades no território brasileiro. Porém, as pesquisas por elas patrocinadas não ocorrem no país, geralmente são desenvolvidas no exterior;
- ✓ A descoberta de novos fármacos depende totalmente da ciência. Forte base de conhecimento científico, direcionada para desenvolvimento e inovação, é pressuposto básico para novos medicamentos;
- ✓ As indústrias brasileiras, em especial às pertencentes do setor farmacêutico, não dedicam recursos (financeiros, humanos, tecnológicos) no desenvolvimento de centros de pesquisas, como fazem os laboratórios de outros países, a exemplo dos Estados Unidos;
- ✓ Os altos custos envolvidos na pesquisa e desenvolvimento de um novo fármaco, que pode chegar a US\$ 2,6 bilhões (computando-se as tentativas frustradas), dificultam as iniciativas em países em desenvolvimento;
- ✓ O setor de P&D 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 (drogas big blockbuster), visto que isso potencializa os lucros dos laboratórios;
- ✓ No Brasil, os pesquisadores, muitos com doutorado e pós-doutorado, se concentram nas Universidades (quase 70%), onde o conhecimento científico fica acumulado, e somente 20% dos pesquisadores são absorvidos pelo setor empresarial;
- ✓ Em países tradicionalmente inovadores, os pesquisadores altamente especializados se concentram no setor produtivo, na



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

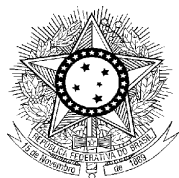
área de desenvolvimento. Nos Estados Unidos, por exemplo, quase 80% dos pesquisadores estão no setor empresarial, e um pouco mais de 10% deles no ensino superior;

- ✓ Por outro lado, no Brasil, o setor produtivo não busca parceria junto à Academia para utilização do conhecimento científico no intuito de gerar desenvolvimento e inovação;
- ✓ Para ocorrer o desenvolvimento tecnológico é necessário que o saber científico seja adaptado e ampliado por pesquisas tecnológicas feitas nos laboratórios das indústrias – importância da pesquisa industrial inovadora;
- ✓ Pesquisa, desenvolvimento e inovação dependem de altos investimentos em diversos setores. Enquanto a Suíça gasta mais de 3,5% de seu PIB em P&D, o Brasil gasta somente um pouco mais de 1%;
- ✓ Também depende da quantidade de pesquisadores. O Japão possui em torno de 5500 pesquisadores para cada um milhão de habitantes. O Brasil, aproximadamente, 600 pesquisadores/milhão de habitantes;
- ✓ Enquanto no Japão existem cerca de 118 patentes/milhão por habitantes, o Brasil possui apenas 0,31. É uma extrema diferença que demonstra porque os japoneses são inovadores e os brasileiros não;
- ✓ O Brasil é o 15º país do mundo em número de artigos científicos publicados em revistas internacionais, com um total de 212.243, enquanto os EUA, 1º colocado, possuem 3.049.662. Mas essa produção acadêmica não se reflete em inovação, já que o país ocupa a 64ª posição no ranking mundial de inovação, com 36,33 pontos (a Suíça, 1ª colocada possui 66,6);
- ✓ Até novembro de 2016, existiam 229.270 estudos clínicos registrados nos Estados Unidos;
- ✓ 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;



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

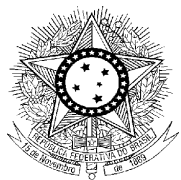
- ✓ O custo de um novo medicamento, até ser lançado no mercado, é estimado em US\$ 897 milhões (2003), ou US\$ 2,6 bilhões atualmente;
- ✓ Para cada grupo de 10.000 substâncias analisadas no início da pesquisa básica somente uma chega ao mercado (média mundial). Metade das substâncias que iniciam estudos chega aos testes pré-clínicos, mas somente 5 delas passam a ser elegíveis para os testes clínicos, porém 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 OMC; 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.
- ✓ Para melhorar ou facilitar a inovação deveria existir suporte contínuo para pesquisa médica básica; valorização do pesquisador e renovação dos quadros; proteção às patentes e agilidade na concessão; ambiente regulatório efetivo, eficiente e previsível; ambiente de negócios transparente – público x privado; mercado baseado em competição e livre escolha; e, pesquisa nas empresas;
- ✓ Um outro grave problema, no caso do Brasil, é que os laboratórios só fazem cópias e não destinam recursos em projetos “arriscados”, evitando gastar com pesquisas. Por isso, a maioria dos cientistas brasileiros está no setor público, nas universidades. Muitos poucos cientistas conseguem ocupação



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

na indústria. Diferentemente dos Estados Unidos, como mencionado acima;

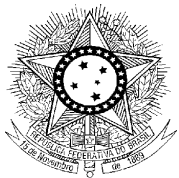
- ✓ O câncer merece uma atenção especial no que tange à pesquisa e desenvolvimento de fármacos. Além de ser uma doença muito grave, com alto índice de mortalidade, tem mostrado forte tendência em aumentar sua incidência por diversos fatores, por exemplo, o aumento na expectativa de vida da população;
- ✓ No ano de 2016, estima-se em 596 mil novos casos da doença no Brasil, o que demonstra o grande desafio que se apresenta ao SUS. Em 2015, aproximadamente 400 mil pacientes com câncer foram atendidos pelo Sistema Único de Saúde, 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 a incidência;
- ✓ As drogas mais modernas contra o câncer são as imunoterápicas, que possuem custo muito mais alto em comparação com as quimioterápicas; um ciclo de tratamento imunoterápico possui um custo de US\$ 130 mil;
- ✓ Estima-se que na próxima década 50% dos tratamentos com pacientes de câncer envolverão imunoterapias, como agentes únicos ou em combinação. No Brasil, poderia chegar a R\$ 5 bilhões por ano;
- ✓ As doenças são consideradas raras, no Brasil, quando há menos de 65 pacientes por 100 mil habitantes. Nos EUA, se atingirem menos de 200 mil pessoas do total da população;
- ✓ O Brasil não dispõe de dados epidemiológicos confiáveis em relação às doenças raras. Acredita-se que 75% delas afetam crianças; 30% dos pacientes morrem antes de completarem 5 anos de idade; 80% têm etiologia genética;
- ✓ As doenças raras constituem a segunda causa de mortalidade



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

infantil no Brasil há 20 anos;

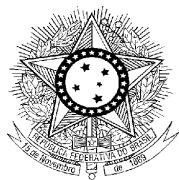
- ✓ As doenças raras geralmente são crônicas, graves e degenerativas. Na maioria dos casos, sujeita o paciente a alto risco de vida. Possuem alta variabilidade sintomatológica, tanto de doença para doença, quanto de paciente para paciente. Muitas delas são incapacitantes e não possuem um tratamento específico, mas tão somente apenas para mitigar os sintomas e melhorar o bem-estar do paciente;
- ✓ Há muito pouco conhecimento científico e médico das doenças raras, em especial, sobre sua etiopatogenia. Além de dificultar o desenvolvimento de fármacos específicos e eficientes, o pouco, ou nenhum conhecimento influencia na dificuldade de se diagnosticar, correta e tempestivamente, a doença. Muitos casos nem chegam a obter o diagnóstico;
- ✓ A indústria farmacêutica, de um modo geral, não demonstra interesse em pesquisar as doenças raras. Além da previsão de não retorno do investimento, o 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;
- ✓ A doença rara se repete na família (é transmitida dos genitores para a prole);
- ✓ Como os tratamentos para doenças raras são igualmente raros (quando existem), também são muito onerosos. Por isso, respondem por grande parte das ações judiciais envolvendo a saúde e o acesso aos medicamentos;
- ✓ Muitos países, como Canadá, Estados Unidos, Austrália e membros da União Europeia, dispõem de programas destinados ao acesso assistencial a drogas experimentais para pacientes com doenças raras e graves. No Brasil, tais possibilidades envolvem o uso compassivo, o acesso expandido, o estudo de extensão e o fornecimento pós-estudo, regulamentados pela Resolução RDC nº 38, de 12 de agosto de 2013;



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

- ✓ O uso compassivo permite o acesso ao fármaco experimental, na fase II, por doentes não selecionados para participação nos estudos clínicos, quando não há alternativa terapêutica. Mas isso depende do patrocinador, que deve solicitar à Anvisa a sua anuência;
- ✓ O acesso expandido permite o uso de fármaco experimental para um grande número de pacientes, sem serem caracterizados previamente. Mas os estudos clínicos de fase 3 já devem ter produzidos dados suficientes para a Anvisa dar anuência. Nesse caso, também é o patrocinador do estudo quem possui a atribuição de solicitar e fundamentar o pedido; e
- ✓ O estudo de extensão visa ampliar o fornecimento de fármaco experimental que seja objeto de pedido de registro, até que este seja finalizado. Geralmente consiste na continuação de uma pesquisa já existente, para ampliar o período de uso da droga pelo mesmo grupo de pessoas que já vinha utilizando o fármaco;
- ✓ No Brasil, os laboratórios ficam obrigados a continuar o fornecimento do medicamento de forma gratuita, mesmo após os estudos finalizados, para as pessoas que participaram do estudo, enquanto houver benefício, a critério médico. Essa obrigação é um grande óbice no caso de drogas órfãs. Se o número de doentes é muito baixo, espera-se que muitos participem dos estudos, para que seja obtida a relevância estatística exigida pela metodologia científica. Ou seja, o potencial comprador do produto possivelmente terá participado do estudo e terá direito a recebê-lo gratuitamente, o que diminui o mercado potencial do produto e aumenta o desinteresse do laboratório em desenvolvê-lo. O Conselho Nacional de Saúde (Resolução nº 466/12) também prevê o acesso gratuito por participantes dos estudos;

O conjunto de dados, informações, indicadores e observações feitas na



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

referida audiência pública foi suficiente para mostrar aos membros da Subcomissão o atual contexto nacional da pesquisa e desenvolvimento de fármacos. Pode-se concluir que, atualmente, cresce ainda mais a importância da pesquisa e desenvolvimento de novos fármacos, que são os principais ingredientes, os princípios ativos dos medicamentos, os componentes mais relevantes das apresentações farmacêuticas.

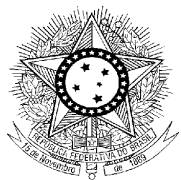
A produção de conhecimento na área da farmacologia depende muito do saber adquirido sobre a doença, seus mecanismos de ação, da forma como ocorre a alteração fisiológica/metabólica ou orgânica, como se transmite e quais os aspectos que podem servir de prioridade para a intervenção terapêutica, em especial a farmacológica. Por isso, temas e técnicas de outras ciências como, por exemplo, a fisiologia, bioquímica, biologia celular e molecular, microbiologia, imunologia, genética, anatomia, patologia, entre outras habilidades da ciência da saúde são essenciais para a farmacologia.

Dessa forma, no desenvolvimento de novas terapias, que inclui os fármacos, uma ampla variedade de conhecimentos precisam estar presentes como facilitadores para o encontro de substâncias inovadoras e, assim, aumentar suas chances de sucesso. Por isso, o pleno conhecimento dos mecanismos existentes na instalação e desenvolvimento de determinada patologia ou condição orgânica, passa a constituir aspecto essencial e inicial. Quando a ciência detém tal nível de conhecimento, fica menos complexo de detectar as possibilidades da intervenção terapêutica bem-sucedida.

Tais observações são úteis para demonstrar que a discussão acerca do desenvolvimento de fármacos para doenças raras e graves é bastante complexa. Sendo a doença rara, há poucos indivíduos aptos a produzir dados e informações suficientes e com rigor científico adequado. Muitas barreiras bioéticas limitam a atuação de pesquisadores, além de entraves burocráticos.

Ademais, a raridade da condição também influencia na baixa probabilidade de determinado paciente chegar a merecer os cuidados de um profissional com conhecimento suficiente sobre sua doença. Conduzir estudos, então, torna-se mais difícil ainda.

Essas conjecturas presentes no senso comum, ou pelo menos muitas delas, foram externadas com a fosfoetanolamina sintética. A falta de



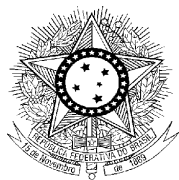
**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS**

medicamentos, ou de outras alternativas terapêuticas, que é comumente enfrentada por pacientes com doenças graves e raras, leva muitas pessoas a tentarem qualquer saída, a realizarem verdadeiros experimentos com seu próprio organismo. Assistimos um retorno forçado ao empirismo que antecedeu a metodologia científica atual. A tentativa de proteger a vida fala mais forte quando a condição orgânica a que determinada patologia leva produz um quadro clínico de alta gravidade, que atenta contra a vida. Muitas doenças raras também são graves.

O desenvolvimento de novos fármacos para condições orgânicas comuns, de alta incidência, já constitui um enorme desafio para os pesquisadores e para os laboratórios farmacêuticos. E tal desafio ganha contornos dramáticos quando estamos falando em doenças graves e raras. Nem sempre é fácil transformar o conhecimento e os achados científicos existentes em uma estratégia terapêutica eficiente. Quando esse conhecimento é ínfimo, essa transformação torna-se quase impossível.

Há mais de vinte anos, o saudoso professor Darcy Roberto Lima, em uma de suas obras, fez a seguinte constatação: “O ensino médico brasileiro forma médicos excelentes para o diagnóstico, sofríveis para a terapêutica e medíocres para a moderna pesquisa clínica com medicamentos. A única produção científica da maioria dos clínicos e hospitais nacionais são descrições de casos, algumas vezes incomuns ou raros, bem como artigos de revisão e atualização, sem nenhuma originalidade”. Mas, passados tantos anos, período em que muitas mudanças ocorreram na base acadêmica do País, ainda hoje o conhecimento científico aqui produzido não resulta em inovações, em descobertas, em desenvolvimento, nem em pesquisas em campos mais avançados, como a pesquisa clínica de medicamentos.

O capital exigido para o desenvolvimento de um novo medicamento pode ser apontado como o primeiro e enorme desafio. Especialmente, em um país onde as carências são sentidas em diversas áreas, onde a falta de recursos financeiros sempre é apontada como a principal razão para as falhas e ausências e para as restrições nos direitos difusos, como a saúde, gastar um volume considerável de recurso hoje para colher os frutos apenas daqui a 15 ou 20 anos.



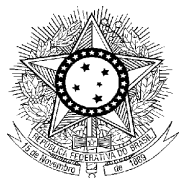
**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS**

Existem várias estimativas sobre qual o valor médio que a pesquisa e o desenvolvimento de um novo fármaco usualmente demanda, que variam muito em face de quais custos são ou não incorporados ao cálculo. Em que pesem as divergências sobre tais valores, em recente publicação (denominada “Biopharmaceutical Research and Development: The Process Behind New Medicines) a Pharmaceutical Research and Manufacturers of America – PHRMA chegou à estimativa de um custo médio de US\$ 2.6 bilhões. Nesse custo foram incluídos todos os gastos realizados inclusive com as tentativas frustradas, com aqueles produtos que, ao final de todo processo, não se mostraram adequados para serem considerados medicamentos.

Estima-se que, de cada grupo de 10.000 moléculas inicialmente promissoras para se tornar um fármaco, apenas uma chegue à fase IV da pesquisa clínica e ao mercado farmacêutico. A grande maioria dos potenciais novos fármacos perde tal pretensão antes da fase clínica dos estudos. Das moléculas que conseguem chegar à fase clínica, estima-se que somente 9,6% delas terão sucesso e serão aprovadas como medicamento. Há grandes variações entre o tipo de doença e a taxa de sucesso. Esta é mais alta para as doenças hematológicas, em torno de 26%, e mais baixa na oncologia, com 5%.

Importante lembrar que ao Estado, no que tange aos medicamentos, compete atuar de modo a garantir a qualidade, a segurança, a eficácia e o fornecimento desses produtos. Atualmente, os três primeiros aspectos estão garantidos de modo satisfatório, por meio dos instrumentos de controle sanitário.

Assim, o problema está no fornecimento, aspecto para o qual o desenvolvimento de fármacos inovadores constitui um aspecto essencial. 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. 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:



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

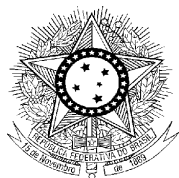
- Harmonização de processos de certificação internacional;
- Uso do poder de compra do Estado;
- Margem de preferência;
- Parcerias com universidade e institutos de pesquisa;
- Apoio financeiro de FAPs à produção;
- Existência de interesse público na internalização de tecnologias para a produção de insumos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

As observações apresentadas no presente tópico mostram que o Brasil é quase totalmente dependente de pesquisas efetuadas no exterior. Os protocolos de pesquisas com novos medicamentos realizados no País geralmente consistem em um recurso promocional de produtos cujas pesquisas principais já realizadas em grandes centros internacionais.

Como visto, verifica-se que alguns aspectos relacionados ao desenvolvimento e à pesquisa de fármacos inovadores ainda não foram adequadamente debatidos no âmbito desta Subcomissão. Seria de extrema relevância para os trabalhos a oitiva da indústria, dos laboratórios farmacêuticos, de seus pesquisadores, pois é um setor muito importante para a descoberta de novos fármacos. Tendo em vista os resultados até então obtidos e as perspectivas promissoras que a continuidade dos trabalhos apresenta, consideramos que mais este aspecto serve de fundamento para recomendar a prorrogação desta Subcomissão Especial com a consequente continuidade dos trabalhos.

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

Diante do exposto anteriormente, podemos perceber que as restrições de acesso aos medicamentos podem ser provenientes de diferentes fontes, desde escassez de recursos financeiros até a inexistência de fármacos para



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

determinadas doenças, caso em que se destacam as graves e as raras. O presente tópico trata não só das possibilidades de utilização de substâncias ainda em fase experimental por esses pacientes, mas também de aspectos relacionados com a pesquisa e o desenvolvimento de fármacos inovadores especificamente para tais condições.

5.1. Doenças graves

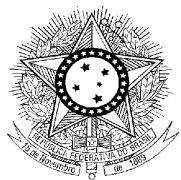
Um primeiro questionamento que se faz é o que vem a ser uma doença grave. A gravidade de uma doença é estabelecida ao se observar as manifestações clínicas dela, sua evolução e o comprometimento de funções orgânicas e metabólicas em confronto com a respectiva essencialidade delas para a manutenção da vida. Geralmente, as doenças graves apresentam etiopatogenia complexa e de difícil controle.

As neoplasias malignas podem ser apontadas como exemplos de doenças graves, sendo que algumas possuem gravidade bem maior do que outros. Aspectos como a velocidade do crescimento do tumor, a localização em áreas de suma importância para a manutenção da vida, o tipo de neoplasia, o potencial de originar metástases e a existência (ou não) de terapia com eficácia elevada contra o tumor, são de extrema relevância para o prognóstico da doença e avaliação de sua gravidade.

E foi exatamente o câncer e o uso de uma substância não reconhecida como medicamento, sem registro sanitário, podendo ser considerada como objeto de estudos, ou “em uso experimental”, que fundamentou a criação de um Grupo de Trabalho na CSSF e da presente Subcomissão, que dá continuidade à missão do referido GT.

Atualmente, o combate ao câncer, assim como ocorre com outras doenças graves, continua sendo um grande desafio ao homem. Apesar de existirem alguns medicamentos que conseguem apresentar grande eficácia contra determinados tipos de neoplasias menos agressivas, geralmente localizadas, ainda há uma grande diversidade de tumores que são combatidos com substâncias que não apresentam eficiência adequada, ou satisfatória, além das graves sequelas.

O avanço da ciência no campo da imunoterapia tem sido apontado



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

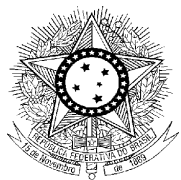
como uma nova e promissora área do desenvolvimento de medicamentos mais eficazes e específicos. Porém, há um longo caminho a ser percorrido. Os custos para o desenvolvimento de um imunoterápico são altíssimos. Obviamente, os preços finais também são os mais elevados entre todos os medicamentos.

Muitas doenças de alta gravidade são crônicas, o que significa dizer que a demanda por medicamentos é contínua. A obrigação do SUS em fornecer tais produtos passa, assim, a ser bastante duradoura, enquanto o paciente estiver vivo. Além disso, a tendência da população brasileira é de contar, cada vez mais, com pessoas idosas e com maior longevidade. O aumento da expectativa de vida, que vem ocorrendo no decorrer do tempo, tende a aumentar ainda mais o impacto dos serviços e bens de saúde no orçamento público, o que é agravado pela incorporação de tecnologias mais modernas, mas bem mais caras. Como citado acima, os custos da área da saúde avançam em percentual superior aos demais custos e às receitas.

À medida que melhora as condições de vida da população, do acesso à atenção à saúde, da alimentação, das condições sanitárias e com a presença de medicamentos mais modernos e efetivos, espera-se ainda maior aumento na longevidade de todos e, conseqüentemente, maior incidência das doenças crônicas e graves, como os cânceres.

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 um lampejo de esperança.

No Brasil, as possibilidades de acesso a um produto em fase experimental, ainda não autorizado pelo Poder Público, se resumem ao uso



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

compassivo, ao acesso expandido e ao estudo de extensão, nos termos regulamentados na RDC nº 38/2013. Em que pese a previsão normativa, na prática o que acontece é a quase inexistência desse tipo de iniciativa. Há muito pouco acesso à terapia experimental para doenças graves utilizando-se a sistemática prevista nas normas da referida RDC.

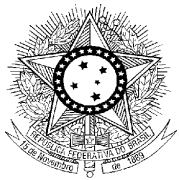
5.2. Doenças Raras

O conceito de doenças raras varia um pouco ao redor do mundo. Na Europa, para ser considerada uma doença rara, uma moléstia deve atingir um número menor de um paciente para cada duas mil pessoas. Os Estados Unidos consideram rara a doença que atinge até 200 mil pacientes em toda a população.

De acordo com a Organização Mundial de Saúde, a doença deve ser considerada rara se afetar até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos (1,3 pessoas para cada grupo de 2000 pessoas). Esse parâmetro foi seguido pelo Brasil, nos termos da Portaria GM/MS nº199, de 30/01/2014.

Sob essa denominação estão albergadas quase 8.000 doenças. Diante de tal quantidade, espera-se ampla variedade de sintomatologia, que, às vezes, confundem os profissionais no momento do diagnóstico. Como são condições bastante não usuais, que muitos profissionais desconhecem e provavelmente nunca tiveram contato antes, o diagnóstico correto e tempestivo fica bastante difícil. Assim, toda a análise produzida a seguir, que diz respeito às doenças graves, as tratam em seus aspectos gerais e similares, sem esquecer que cada doença possui sua especificidade e suas diferenças que a tornam única, com caracteres próprios e etiologia que a afasta das demais.

Outro aspecto que merece nota, diz respeito à consequência intrínseca à raridade da doença. Como são pouquíssimas pessoas que possuem o distúrbio, a probabilidade de que algum pesquisador entre em contato com esse paciente é igualmente rara. Em muitos casos os pacientes ficam anos e anos somente em busca de um diagnóstico e alguns acabam morrendo sem nem sequer ter o diagnóstico conclusivo. Isso influencia no desconhecimento acerca dessas doenças, do porquê ela surge, como ela se desenvolve, qual



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

seu mecanismo de ação, quais as alterações que provoca, entre diversos outros fatores.

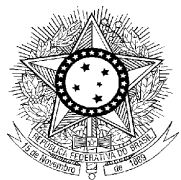
Além disso, uma mesma doença pode apresentar variados graus de manifestações clínicas e progressão, o que gera muitas dúvidas e incertezas. Pacientes diferentes podem apresentar sintomatologia igualmente diferente. São muitos aspectos não conhecidos e muitos outros que, apesar de conhecidos, não são explicados.

Frente a tais doenças, que têm demandado mais e mais pesquisas básicas e aplicadas, é que os limiares do desenvolvimento científico e tecnológico encaram os principais desafios e mostram os principais obstáculos. A carência de conhecimento científico sobre essas doenças também é um entrave para que a pesquisa acerca de possíveis terapias para tais patologias avance.

Desenvolver fármacos inovadores é uma tarefa muito complexa. Para encontrar potenciais terapias para as doenças raras, torna-se necessário que previamente se conheça o máximo possível da doença, seja identificada a anormalidade genética e biológica e se entenda a forma como a condição rara se desenvolve.

Ao reconhecer os grandes desafios ao sistema de atenção à saúde que as doenças raras podem representar, 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 GM/MS nº 199 de 30/01/2014. O objetivo delas foi o 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”.

Referida Portaria trata de modo bastante completo as ações, programas e políticas direcionadas a garantir a atenção integral aos indivíduos com doenças raras, inclusive o aconselhamento genético para aqueles que possuam o risco de desenvolvê-las, por questões hereditárias. No entanto, conforme foi ressaltado na Audiência Pública anteriormente sumariada, na prática aquilo que foi idealizado na norma o País ainda não realiza. A norma pode até ser considerada adequada, atualizada e suficiente. Porém, as ações



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

para torná-la uma realidade praticamente não existem, e as que foram idealizadas mostram-se inócuas para a solução dos problemas.

Como acontece com as doenças graves, o acesso das pessoas que possuem moléstias raras às terapias experimentais também pode ser considerado praticamente inexistente. Tendo em vista a importância do tema, faz-se necessário o acompanhamento ostensivo por parte desta Comissão.

6. CONCLUSÕES

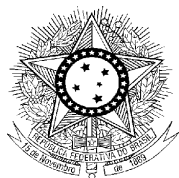
Ante todo o exposto no presente Relatório, pode-se concluir que as pesquisas científicas que envolvem fármacos inovadores e que precisam constituir a base do desenvolvimento tecnológico do setor farmacêutico é um tema de altíssima complexidade, com inúmeros aspectos a serem analisados e estudados. Existem muitos entraves no Brasil para que um ambiente propício e facilitador da inovação seja criado. Eles precisam ser identificados, analisados e removidos para que o país possa se desenvolver.

O Brasil possui base acadêmica, como demonstram o número de doutores e pós-doutores e a quantidade de artigos científicos de autoria de pesquisadores brasileiros. Dentre os obstáculos, destaca-se a falta de interesse da indústria farmacêutica em investir recursos financeiros em pesquisa e desenvolvimento de fármacos inovadores. Os laboratórios brasileiros escolheram, como caminho do seu crescimento, a não inovação.

Conseguir a ampliação dos estudos, transformar o conhecimento em inovação e facilitar o acesso universal à atenção integral à saúde deve ser um objetivo permanente do Estado, assim como de toda a sociedade e suas instituições, a exemplo, dos laboratórios farmacêuticos.

Os trabalhos desta Subcomissão, mesmo em vista das dificuldades apresentadas pelo calendário eleitoral e pela exaustiva pauta do Congresso Nacional nesse período, produziram bons frutos. Por esses motivos, os objetivos inicialmente previstos e aprovados no Plano de Trabalho não foram integralmente atingidos, com destaque aos seguintes aspectos ainda em curso:

➤ As pesquisas científicas envolvendo a fosfoetanolamina sintética, financiadas com recursos públicos federais e estaduais, ainda não foram concluídas e muitos aspectos ainda precisam ser estudados e entendidos



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

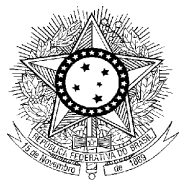
plenamente, como os ensaios clínicos de fase II, que tem previsão de término em 2017;

- 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;
- 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.

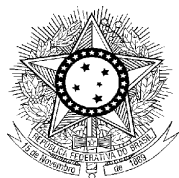
Deputado Arlindo Chinaglia
Presidente

Deputada Leandre
Relatora



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

ANEXOS



ANEXO 1

PLANO DE TRABALHO

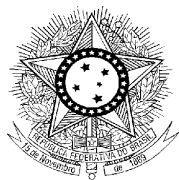
Presidente: Deputado Arlindo Chinaglia – PT/SP
Vice-Presidente: Deputada Carmen Zanotto – PPS/SC
Relatora: Deputada Leandre PV/PR
Nº de Membros: 9
Constituição: 18/05/2016
Instalação: 01/06/2016

INTRODUÇÃO

A Comissão de Seguridade Social e Família – CSSF instituiu a presente Subcomissão Especial, instalada no dia 01/06/2016 e com prazo de término dos trabalhos previsto para 01/09/2016, destinada a tratar dos diversos temas relacionados ao uso de fármacos experimentais para o tratamento de doenças graves ou raras.

De acordo com os requerimentos aprovados na CSSF, a Subcomissão Especial se destina ao acompanhamento das ações relacionadas à fosfoetanolamina e ao processo de sua judicialização. Além disso, também foi destacada a necessidade de ampliação das discussões sobre o acesso aos medicamentos e terapias experimentais, no intuito de garantir melhor proteção ao direito à saúde e acesso a medicamentos, em atenção ao princípio da integralidade da saúde. Ficou ressaltado também que as doenças raras e graves podem expor de forma mais clara as questões relacionadas com os limites à concretização de direitos e princípios jurídicos sensíveis.

Em relação à fosfoetanolamina, por ter se transformado num debate nacional e ter ocorrido sucessivas audiências públicas no Congresso Nacional, a CSSF criou um Grupo de Trabalho, em 18/11/2015, para avaliar e estudar o referido tema da forma mais aprofundada possível. Saliente-se que o citado GT apresentou muitos frutos, mas um merece destaque especial, qual seja a edição da Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016. Essa lei foi resultado de um esforço suprapartidário canalizado no âmbito da CSSF, que agregou os Deputados membros do Grupo de Trabalho e os autores de projetos então em tramitação que tratavam dessa substância.



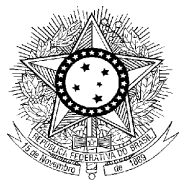
**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS**

Após meses de trabalho e realização de relevantes debates, algumas constatações foram feitas no âmbito do mencionado GT que mostraram a necessidade de ampliação das análises e de estudos mais aprofundados relacionados com o acesso aos medicamentos em situações limites, além da necessidade de acompanhar as ações ligadas ao uso da fosfoetanolamina. Este último aspecto tornou-se bastante importante em vista da judicialização do uso dessa substância. Aliás, a judicialização envolvendo o acesso aos medicamentos, de forma mais frequente que o desejável, gera custos incalculáveis e constitui outro importante aspecto a ser debatido por esta Casa. Assim, a presente Subcomissão procurará aproveitar tudo aquilo que foi produzido pelo Grupo de Trabalho.

Um dos princípios basilares do direito à saúde no Brasil é a integralidade da atenção, que engloba terapias para todas as doenças, simples, complexas, graves, raras ou comuns. No que tange à assistência farmacêutica, aspecto essencial da atenção integral à saúde, o Poder Público dispõe de diversos instrumentos direcionados a garanti-la, tais como:

- Política Nacional de Medicamentos;
- Reformulação do Sistema Nacional de Vigilância Sanitária, com destaque para a criação da Anvisa;
- Lei dos Medicamentos Genéricos;
- Política Nacional de Assistência Farmacêutica;
- Relação Nacional de Medicamentos Essenciais;
- Lei nº 12,401, de 28 de abril de 2011, que dispõe sobre a assistência terapêutica e a incorporação de tecnologia em saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS e criou a CONITEC;
- Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras.

Apesar de todos os instrumentos jurídicos voltados para garantia da assistência farmacêutica, em diversas situações o direito de acesso aos medicamentos não se concretiza de maneira isonômica e equitativa e isso é um grande desafio. Em que pesem essas políticas e ações destinadas a melhorar a assistência farmacêutica no Brasil, há muita coisa ainda a ser feita, a ser aprimorada.



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

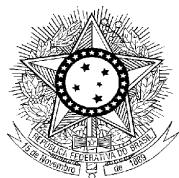
O desenvolvimento de novos medicamentos é um grande desafio ao homem, tanto do ponto de vista social, quanto científico. Isso ocorre por que se trata de processos complexos, demorados, caros e que exigem muitos conhecimentos. Cada vez mais discute-se, em vários países ao redor do mundo, novos conceitos para esse setor e que envolvem aspectos bioéticos e filosóficos. Um bom exemplo desse tipo de discussão pode ser visto nos Estados Unidos, que no ano de 2015 - após longos debates iniciados ainda na época da descoberta da AIDS desde o final dos anos 1980 - aprovou uma lei, conhecida como “o direito de tentar”, com o objetivo de garantir aos pacientes terminais acesso a produtos médicos ainda não aprovados pelas autoridades sanitárias. E é nesse contexto que esta Subcomissão Especial buscará exercer seu papel em contribuir, da melhor forma possível, para a superação dos obstáculos existentes contra a concretização do direito à assistência terapêutica integral.

OBJETIVOS E AÇÕES

Diante das considerações feitas acima, pode-se delimitar como objetivo geral desta Subcomissão Especial a ampliação dos debates de temas, direta ou indiretamente, relacionados ao desenvolvimento e acesso aos medicamentos necessários para garantir o atendimento terapêutico integral, mas com um enfoque especial para os casos de doenças graves ou raras. Além disso, o acompanhamento dos desdobramentos relacionados à fosfoetanolamina sintética, como o seguimento dos estudos patrocinados pelo Poder Público, seus resultados e conclusões, a judicialização do tema e ações possíveis também serão objetivos desta Subcomissão.

Para atingir as finalidades gerais propostas, as seguintes ações são sugeridas, sem prejuízo da adoção de outras medidas porventura deliberadas posteriormente:

- 11) Acompanhar todos os desdobramentos e providências relacionadas à fosfoetanolamina sintética, em especial os estudos financiados pelo Estado e o posicionamento do STF acerca da Lei nº 13.269, de 13 de abril de 2016.
- 12) Estudar a jurisprudência do STF acerca da garantia de acesso a



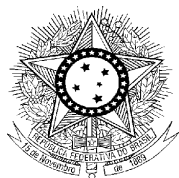
**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS**

medicamentos ainda não registrados no Brasil.

- 13) Avaliar, em seus diversos aspectos, a judicialização acerca do acesso aos medicamentos.
- 14) Obter junto à Anvisa lista dos medicamentos autorizados que não enfrentaram os testes clínicos, bem como dos medicamentos autorizados e proibidos posteriormente.
- 15) Reunir pesquisadores para discutir dificuldades e obstáculos enfrentados, os objetivos perseguidos e os resultados obtidos nas pesquisas científicas relacionadas aos medicamentos inovadores e novas vacinas.
- 16) Detectar as externalidades que influem, ou que advém do sistema de produção e comercialização dos medicamentos, não controladas de forma satisfatória pelo próprio mercado.
- 17) Explorar os temas que envolvem o desenvolvimento e o uso de fármacos em fase experimental no enfrentamento às patologias graves ou raras.
- 18) Estudar os aspectos relacionados à pesquisa científica e à descoberta de drogas inovadoras, além do desenvolvimento de novos produtos medicamentosos, os obstáculos existentes e as possíveis soluções, entre outros fatores.
- 19) Avaliar e propor soluções, ações, políticas e programas que possam superar os óbices detectados ao desenvolvimento de novas terapias e fármacos, à inovação científica, melhoria de acesso aos medicamentos e adequada assistência farmacêutica para doenças graves e raras, tendo em vista as competências, atribuições e responsabilidades do Poder Público, cominadas pela Constituição, pelas leis e legislação infraconstitucional, com a proposição de.
- 20) Oferecer à CSSF um conjunto atualizado de informações sobre medicamentos para subsidiar a atuação da Comissão e da Câmara dos Deputados.

Reuniões da Comissão

Para a consecução dos objetivos propugnados, a Subcomissão Especial deverá promover reuniões internas entre seus membros



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

e Audiências Públicas com a participação de autoridades peritas no tema em comento e instituições sociais com interesse sobre o assunto. As reuniões ocorrerão em dia a ser previamente agendado e comunicado com antecedência a todos os membros participantes.

CRONOGRAMA

Instalação: 01/06/2016

Conclusão: 01/09/2016

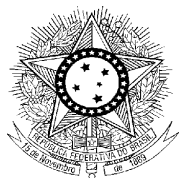
JUNHO

No mês de junho os trabalhos da Subcomissão devem se resumir a reuniões internas. Nessa fase ocorre a escolha do Presidente e do Relator da Subcomissão. Essa época também é adequada para a apreciação e aprovação dos requerimentos iniciais direcionados à definição de audiências públicas, reuniões internas com colaboradores e sobre visitas externas às instituições que possam contribuir com os debates.

JULHO e AGOSTO

As audiências públicas aprovadas deverão ser realizadas durante esse período, para permitir a conclusão do Relatório Final até o início do mês de setembro. A tabela a seguir demonstra as datas em que poderão ser agendadas as audiências e reuniões internas da Subcomissão:

Período	Atividades	Tema/assunto
04/07 a 08/07	Reunião interna	Discussão do cronograma
11/07 a 15/07	Reunião interna	Discussão e aprovação do Plano de Trabalho
18/07 a 29/07	Recesso	
01/08 a 05/08	Visita externa Reunião interna	
08/08 a 12/08	Audiência pública Reunião interna	A definir
15/08 a 19/08	Audiência pública Reunião interna	A definir
22/08 a 26/08	Apresentação do Relatório Final Reunião interna	
29/08 a 01/09	Votação do Relatório Final/prorrogação	

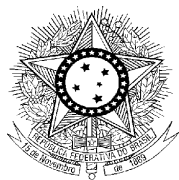


**CÂMARA DOS DEPUTADOS
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA
SUBCOMISSÃO ESPECIAL DESTINADA A TRATAR DE TEMAS RELACIONADOS AO
USO DE FÁRMACOS EXPERIMENTAIS**

ANEXO 2

Decisão: O Tribunal, por maioria e nos termos do voto do Relator, deferiu a liminar para suspender a eficácia da Lei nº 13.269/2016, até o julgamento final desta ação, vencidos, em parte, os Ministros Edson Fachin, Rosa Weber, Dias Toffoli e Gilmar Mendes, que concediam a liminar para dar interpretação conforme. Falou pela requerente Associação Médica Brasileira o Dr. Carlos Magno Michaelis Júnior. Ausente, justificadamente, o Ministro Celso de Mello. Presidiu o julgamento o Ministro Ricardo Lewandowski. Plenário, 19.05.2016.

(Certidão extraída de consulta realizada em 28 de novembro de 2016 do link: <http://www.stf.jus.br/portal/processo/verProcessoAndamento.asp?incidente=4966501>)



ANEXO 3

RE 566471

RELATOR : MIN. MARCO AURÉLIO

RECTE.(S): ESTADO DO RIO GRANDE DO NORTE

ADV.(A/S): PGE-RN - CRISTIANO FEITOSA MENDES

RECDO.(A/S): CARMELITA ANUNCIADA DE SOUZA

ADV.(A/S): ANA LÚCIA DE SOUZA SIQUEIRA E OUTRO(A/S)

**REPERCUSSÃO GERAL - COMPETÊNCIA DO PLENÁRIO -
ADMISSIBILIDADE - ASSISTÊNCIA À SAÚDE - FORNECIMENTO DE
MEDICAMENTO DE ALTO CUSTO - EXTRAORDINÁRIO DO ESTADO.**

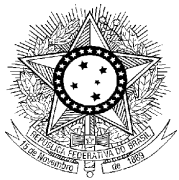
1. O Tribunal de Justiça do Estado do Rio Grande do Norte desproveu apelação assentando a obrigatoriedade de o Estado fornecer medicamento de alto custo. Este tema tem-se repetido em inúmeros processos. Diz respeito à assistência do Estado no tocante à saúde, inegavelmente de conteúdo coletivo. Em outras palavras, faz-se em jogo, ante limites orçamentários, ante a necessidade de muitos considerada relação de medicamentos, a própria eficácia da atuação estatal. Em síntese, questiona-se, no extraordinário, se situação individual pode, sob o ângulo do custo, colocar em risco o grande todo, a assistência global a tantos quantos dependem de determinado medicamento, de uso costumeiro, para prover a saúde ou minimizar sofrimento decorrente de certa doença. Aponta-se a transgressão dos artigos 2º, 5º, 6º, 196 e 198, § 1º e § 2º, da Carta Federal. Impõe-se o pronunciamento do Supremo, revelando-se o alcance do texto constitucional.

2. Admito a repercussão geral articulada em capítulo próprio no extraordinário. Submeto aos integrantes do Tribunal a matéria para deliberação a respeito.

Brasília, 24 de outubro de 2007.

Ministro MARCO AURÉLIO

Relator



RE 657718 - SAÚDE MEDICAMENTO FALTA DE REGISTRO NA AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA AUSÊNCIA DO DIREITO ASSENTADA NA ORIGEM RECURSO EXTRAORDINÁRIO REPERCUSSÃO GERAL CONFIGURAÇÃO.

1. A Assessoria prestou as seguintes informações:

Submeto a Vossa Excelência o tema debatido no Recurso Extraordinário nº 657.718/MG, para exame da oportunidade de incluir a matéria no sistema eletrônico da repercussão geral.

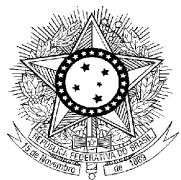
O Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais, no julgamento da Apelação Cível nº 1.0145.09.567017-3/002, entendeu que, apesar de o direito à saúde encontrar previsão nos artigos 6º e 196 da Carta da República, não se pode obrigar o Estado a fornecer medicamento sem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária ANVISA, sob pena de vir a praticar autêntico descaminho. Ressaltou a inexistência de direito absoluto e, na hipótese, ante a prevalência do interesse coletivo bem como dos princípios insertos no artigo 37 do Diploma Maior, a competência do administrador público para gerir de maneira proba e razoável os recursos disponíveis. Citou como precedente a Suspensão de Segurança nº 3.989/PI, da relatoria do Ministro Gilmar Mendes.

O acórdão impugnado encontra-se assim ementado (folha 125):

SUS FORNECIMENTO PELO ESTADO DE MEDICAMENTO IMPORTADO AUSÊNCIA DE REGISTRO NA ANVISA IMPOSSIBILIDADE. Não se recomenda o deferimento de pedido de medicamentos não aprovados na ANVISA Conclusão aprovada por maioria no 1º Curso do Fórum Permanente de Direito à Saúde, realizado no dia 9 de agosto de 2010 neste Tribunal. Se o medicamento indicado pelo médico do agravante não possui registro na ANVISA, não há como exigir que o Estado o forneça, já que proibida a sua comercialização.

Os embargos de declaração interpostos não foram providos.

No extraordinário protocolado com alegada base na alínea a do permissivo constitucional, a recorrente articula com ofensa aos artigos 1º, inciso III, 6º, 23, inciso II, 196, 198, inciso II e § 2º, e 204 da Carta Federal. Sustenta ser dever do Estado garantir o direito à saúde, mostrando-se descabida a situação em



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

que portador de doença grave não disponha do tratamento compatível. Assevera que o argumento de falta de previsão do remédio na lista do Sistema Único de Saúde não encontra guarida ante a responsabilidade do ente federativo. Ressalta ser a vedação de importação e de uso de medicamento distinta da ausência de registro na ANVISA. Afirma que a aplicação da chamada teoria da reserva do possível não exime o administrador de cumprir com as obrigações constantes no Texto de 1988. Requer, ao final, a concessão de tutela antecipada em virtude do estado de saúde precário.

No tocante à repercussão geral, anota a relevância econômica e social da questão, cuja importância requer que o Supremo examine o tema do direito fundamental à saúde quando há necessidade de fornecer-se medicamento imprescindível ao bem-estar e à vida de um cidadão.

O Estado de Minas Gerais, nas contrarrazões, defende a ausência do requisito da repercussão geral, a imprescindibilidade de análise da matéria fático-probatória e a violação indireta aos mencionados dispositivos constitucionais.

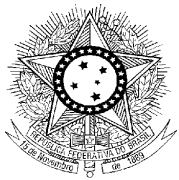
O extraordinário foi admitido na origem.

2. O recurso está subscrito por Defensora Pública. O acórdão relativo aos declaratórios veio a ser publicado no Diário da Justiça eletrônico de 8 de abril de 2011, sexta-feira (folha 164), ocorrendo a manifestação do inconformismo em 6 de maio subsequente, sexta-feira (folha 168), no prazo legal, nos termos dos artigos 128, inciso I, da Lei Complementar federal nº 80/94 e 5º, § 5º, da Lei nº 1.060/50.

O tema é da maior importância para a sociedade em geral no que, de início, cumpre ao Estado assegurar a observância do direito à saúde, procedendo à entrega do medicamento. Surge, então, o questionamento: em se tratando de remédio não registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária ANVISA há a obrigatoriedade de o Estado o custear? A resposta do Tribunal de Justiça de Minas Gerais foi em sentido negativo e ao Supremo cabe a última palavra sobre a matéria, ante os preceitos dos artigos 6º e 196 da Constituição Federal.

3. Pronuncio-me pela existência de repercussão geral.

4. À Assessoria, para acompanhar a tramitação do incidente.



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

5. Uma vez admitida a repercussão, colham o parecer da Procuradoria Geral da República.

6. Publiquem.

Brasília residência , 14 de outubro de 2011, às 12h35.

Ministro MARCO AURÉLIO

Relator