



**Pedido às Autoridades Nacionais da UE Competentes pela Fixação de Preços e pelo Reembolso para apoiarem:**

- 1. A constituição de uma mesa de negociação de preços com um grupo de Estados-membros**
- 2. A ampliação dos pilotos de diálogo inicial entre as entidades financiadoras e as empresas que desenvolvem medicamentos**

Dirigimo-nos a V. Ex.<sup>a</sup>, em representação da **EURORDIS** <sup>(1)</sup> (**Associação Europeia para as Doenças Raras**) e do **EPF** <sup>(2)</sup> (**Fórum Europeu de Doentes**), com o intuito de dirigir a V. atenção para a necessidade de se estabelecerem novos mecanismos que melhorem o acesso aos medicamentos por parte dos doentes na Europa e que, ao mesmo tempo, respondam aos futuros desafios relativos à sustentabilidade dos sistemas de saúde <sup>(3)</sup>.

A reunião de diferentes partes interessadas com vista a debaterem com o grupo de trabalho dedicado à «Melhoria do acesso aos medicamentos órfãos por parte dos Doentes na Europa» em linha com os procedimentos do Fórum Farmacêutico da UE <sup>(4)</sup> e, posteriormente, com o Grupo Europeu de Alto Nível sobre Responsabilidade Empresarial no âmbito dos Produtos Farmacêuticos, especificamente dentro do grupo de trabalho dedicado ao «Mecanismo de acesso coordenado aos medicamentos órfãos (MO)» <sup>(5)</sup> – o chamado processo MoCA – tem ajudado a estabelecer nos últimos anos uma nova cultura de diálogo. Este processo tem gerado expectativas quanto à real melhoria do acesso aos MO.

**Os medicamentos órfãos apresentam semelhanças com as terapias génicas e as terapias celulares (MTA), a pediatria, os medicamentos de precisão e os medicamentos altamente inovadores e altamente dispendiosos.** Estes medicamentos que, na sua maioria, se destinam a populações pequenas, são constituídos sobretudo por especialidades médicas fornecidas em âmbito hospitalar e, por conseguinte, administradas por médicos especialistas que lidam com situações complexas. As práticas médicas estão progressivamente a convergir por toda a Europa, pelo que os dados gerados, tanto por estudos clínicos como pelos estudos efetuados durante as fases pós-

<sup>(1)</sup> [www.eurordis.org/pt-pt](http://www.eurordis.org/pt-pt)

<sup>(2)</sup> <http://www.eu-patient.eu/>

<sup>(3)</sup> [Shining a light in the black box of orphan drug pricing](#) Picavet E, Morel T, Cassiman D, Simoens S. *Orphanet J Rare Dis.* 2014 Abr 27;9:62. doi: 10.1186/1750-1172-9-62.

[Market watch: Are orphan drug companies the pick of the pharmaceutical industry?](#) Morel T, Popa C, Simoens S. *Nat Rev Drug Discov.* 2014 Jan;13(1):10. doi: 10.1038/nrd4205. Não há resumo disponível.

[Reconciling uncertainty of costs and outcomes with the need for access to orphan medicinal products: a comparative study of managed entry agreements across seven European countries.](#) Morel T, Arickx F, Befrits G, Siviero P, van der Meijden C, Xoxi E, Simoens S. *Orphanet J Rare Dis.* 2013 Dez 24;8:198.

[Cost-effectiveness assessment of orphan drugs: a scientific and political conundrum.](#) Simoens S, Picavet E, Dooms M, Cassiman D, Morel T. *Appl Health Econ Health Policy.* 2013 Fev;11(1):1-3. doi: 10.1007/s40258-012-0004-y. Não há resumo disponível.

<sup>(4)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/pharmaforum\\_final\\_conclusions\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/pharmaforum_final_conclusions_en.pdf)

<sup>(5)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/orphans\\_report\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/files/docs/orphans_report_en.pdf)

**comercialização, são recolhidos por esses mesmos especialistas nos respetivos centros hospitalares.**

Num contexto de avanços científicos rápidos, de melhoria do diálogo e de plataformas emergentes de debate entre os profissionais de saúde, os doentes, os responsáveis pela tomada de decisões, a indústria e, progressivamente, as entidades da EMA ou de Avaliação das Tecnologias da Saúde (HTA), assim como as entidades financiadoras, gostaríamos de apelar às Autoridades Competentes Nacionais para apoiarem as duas propostas abaixo descritas.

Estas propostas procuram fomentar a cooperação através do estabelecimento de um diálogo estruturado entre as Autoridades Nacionais Competentes pela Fixação de Preços e pelo Reembolso de produtos farmacêuticos e as outras partes interessadas. O objetivo fundamental é não só o de reforçar o modo de funcionamento do Mercado Interno, mas também o de assegurar que os sistemas nacionais obtêm um bom equilíbrio entre contenção de custos, inovação farmacêutica e acesso dos doentes aos medicamento <sup>(6)</sup>.

## **1. O estabelecimento de uma «tabela para negociação de preços» com um grupo de Estados-membros voluntários:**

As crescentes oportunidades de investigação, que se traduzem em novos tratamentos para doentes com necessidades médicas não atendidas, representam **uma enorme perspetiva em termos de resultados de saúde pública**. Estão a chegar ao mercado uma série de terapias inovadoras para colmatar as necessidades médicas não atendidas.

O impacto que têm sobre os orçamentos de saúde é ainda passível de ser «absorvido» pelos sistemas de saúde nacionais, mas estas terapias estão cada vez mais a criar **novos desafios, tanto em termos do seu preço elevado por doente como do seu elevado impacto sobre o orçamento de saúde, gerando assim desigualdades em termos de acesso na Europa**. Estima-se que na União Europeia aproximadamente 30% dos doentes não tenham acesso aos MO de que necessitam <sup>(7)</sup>.

Os problemas associados à sua sustentabilidade estão a tornar-se prementes. É necessário instituir um novo modelo para que a sociedade seja capaz de custear e fornecer acesso a tratamentos que gerarão importantes benefícios médicos e resultados em saúde para os doentes.

***É por este motivo que vimos apelar às Autoridades Competentes Nacionais que criem uma mesa de negociação de preços com base na avaliação do valor, no volume e na geração de provas pós-comercialização. Esta «mesa de negociações» permitiria o reforço da colaboração europeia entre a indústria e as entidades financiadoras para resolver problemas de sustentabilidade, o que teria como resultado a melhoria do acesso dos doentes aos medicamentos e melhorias ao nível dos resultados em saúde. Esta mesa podia ser primeiramente constituída por um grupo de «Estados-membros interessados» e integrar progressivamente mais países, com base numa inclusão produto a produto.***

Este novo modelo que se pretende estabelecer é particularmente relevante no domínio das doenças raras, por dois motivos principais:

<sup>(6)</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/competitiveness/pricing-reimbursement/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/enterprise/sectors/healthcare/competitiveness/pricing-reimbursement/index_en.htm)

<sup>(7)</sup> <http://www.eurordis.org/pt-pt/content/novo-inquerito-da-eurordis-acerca-do-acesso-aos-medicamentos-orfaos-na-europa>

- O modelo terá de enfrentar desafios específicos em populações pequenas, que é o caso dos MO, dos medicamentos para uso pediátrico e dos medicamentos de precisão;
- No momento da primeira autorização de introdução no mercado (condicional), há um elevado grau de incerteza, que apresenta novos desafios às entidades financiadoras.

Um primeiro grupo de Estados-membros, que forma uma «coligação de países interessados», manifestou disponibilidade para se envolver num processo de colaboração alargada que envolva os doentes, a indústria, as entidades financiadoras, as autoridades nacionais e os órgãos responsáveis pela HTA. Segundo sabemos, este grupo nuclear pioneiro poderia ser formado por cinco Estados-membros (Bélgica, como iniciadora do processo em 2010, Países Baixos, Áustria, Itália e Portugal). Em seguida, com base numa inclusão produto a produto, todos os Estados-membros da UE poderiam ser convidados a participar na «mesa de negociação de preços»; assim, o número de países participantes na negociação variaria de produto para produto, mas existiria sempre um grupo nuclear de países presente em todas as negociações, afinando-se progressivamente os procedimentos e criando-se uma cultura e uma confiança partilhada.

De acordo com as reuniões individuais realizadas entre a EURORDIS e vários diretores executivos e líderes, uma grande parte da indústria parece estar bastante mais interessada numa estratégia europeia para o mercado do que numa abordagem nacional dispersa, especialmente no campo dos medicamentos órfãos. O incentivo principal no âmbito do Regulamento europeu relativo aos Medicamentos Órfãos é a exclusividade de mercado durante 10 ou 12 anos, mas **a Comissão Europeia não providenciam mecanismo para que se possa ter um acesso real ao mercado da UE**. A maioria das negociações de preços e reembolsos nacionais para produtos órfãos está a realizar-se muito depois dos 180 dias sugeridos na Proposta de Diretiva relativa à transparência das medidas que regulamentam os preços dos medicamentos para uso humano <sup>(8)</sup>.

**Uma plataforma de colaboração europeia para a negociação dos preços e para a introdução no mercado aceleraria o acesso ao mercado e o acesso dos doentes, o que resultaria na antecipação da obtenção de receitas e do retorno do investimento para os fabricantes, na geração de um certo volume, no reforço do efeito de lançamento e na redução dos encargos administrativos e das etapas de negociação – em troca de um determinado nível de redução de preço.** Além disso, permitiria uma recolha e uma reavaliação mais rápidas e mais robustas dos dados pós-comercialização.

Esta abordagem só pode ser concretizada se houver ampla aceitação por todas as partes envolvidas dos dois princípios seguintes:

- 1) **As discussões de preços baseiam-se numa avaliação do valor – sobretudo para os produtos em áreas com populações pequenas e altas incertezas – e estão vinculadas à geração de provas pós-comercialização;**
- 2) **Há a necessidade de que todas as partes envolvidas aceitem que esses preços possam vir a flutuar ao longo do tempo, o que significa que os preços podem aumentar ou diminuir após a primeira definição de um preço.**

## **2. Fomentar o diálogo inicial entre as entidades financiadoras e a indústria**

---

<sup>(8)</sup> <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/PT/TXT/PDF/?uri=CELEX:52012PC0084&from=PT>

## **a. Através da implementação dos diálogos-piloto no âmbito do MoCA:**

Há mais de cinco anos que o do Grupo de Trabalho (GT) sobre um Mecanismo de Acesso Coordenado aos MO, estabelecido como parte do processo de Responsabilidade Empresarial no âmbito dos Produtos Farmacêuticos e lançado sob a **Presidência Belga do Conselho Europeu em 2010**, reuniu as partes interessadas mais relevantes, incluindo, pela primeira vez, os organismos responsáveis pela HTA e as entidades financiadoras. O GT tem-se reunido regularmente para refletir e desenvolver propostas de forma a criar uma colaboração voluntária ao nível europeu que melhore o acesso das pessoas com doenças raras aos MO. Há dois anos, **em abril de 2013, o relatório final do Grupo de Trabalho sobre o MoCA foi publicado, tendo concluído que o reforço da coordenação e da colaboração conduziram à melhoria do acesso dos doentes aos MO**. O relatório também identificou que a definição do valor (acrescentado) de um novo MO constitui um aspeto importante para a melhoria do acesso.

Para alcançar este objetivo, o grupo MoCA propôs um **Quadro Europeu de Valor Transparente** como base para a colaboração entre os diferentes Estados-membros e outras partes interessadas no sentido de obter uma **avaliação comum do valor** dos medicamentos órfãos, tendo em conta que esse valor pode evoluir ao longo do tempo consoante as provas geradas ao longo do ciclo de vida de um medicamento.

Desde o início, **o processo do MoCA foi concebido como um processo de «Diálogo Inicial», com base na colaboração voluntária, no aumento da confiança e do entendimento mútuo, sujeito ao quadro legislativo existente e sem qualquer compromisso vinculativo para as partes envolvidas**. Este diálogo inicial e esta cooperação reforçada ajudariam a responder aos desafios inerentes à provisão de tratamentos a pequenas populações, em áreas de elevadas necessidades médicas não atendidas, grandes incertezas e preços altos.

Atualmente, todas as partes interessadas que participaram no processo do MoCA sentem **que é agora altura de implementar totalmente uma nova série de exercícios-piloto mais estruturados e mais sustentados, a fim de gerar resultados concretos e de aprender com essas experiências**. Atualmente, existe já alguma maturidade e concordância acerca dos principais conceitos em torno do MoCA; o processo precisa agora de ser mais apoiado e consubstanciado por exercícios-piloto concretos.

***Nesse sentido, instamos as Autoridades Competentes Nacionais a fornecer um apoio mais amplo aos projetos-piloto sobre o MoCA que têm de se realizar no âmbito do MEDEV (Grupo de Avaliação de Medicamentos), tal como inicialmente previsto, de uma forma aberta e flexível.***

## **b. Através da participação de representantes das entidades financiadoras no Aconselhamento Científico Paralelo da EMA e das HTA, bem como no Diálogo Científico Inicial Europeu da EUnetHTA:**

Os projetos-piloto de Aconselhamento Científico Paralelo da EMA e da HTA começaram em 2010 e são agora uma prática de rotina, tendo-se já realizado cerca de 55 projetos-piloto. Estes tornaram-se prática comum <sup>(9)</sup> com um grande apoio por parte da EMA, da Comissão, de todas as entidades

<sup>(9)</sup> [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/Report/2014/05/WC500166228.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Report/2014/05/WC500166228.pdf)

responsáveis pela HTA e da indústria em geral, tendo sido capazes de ultrapassar o ceticismo, a resistência e a cautela iniciais. O próximo passo será constituir um Aconselhamento Científico Paralelo EMA-EUnetHTA, ou seja, entre as instituições europeias.

A HAS (Haute Autorité de Santé, França), em representação da EUnetHTA, lidera desde 2014 o projeto sobre Diálogo Científico Inicial Europeu (*Scientific European Early Dialogue*, SEED)<sup>10</sup>, tendo realizado mais de 20 projetos-piloto num ano. São poucos os projetos-piloto adicionais realizados diretamente pela EUnetHTA. A próxima ação conjunta da EUnetHTA, que se inicia em 2016, tem como plano manter um número elevado de SEED<sup>(11)</sup> todos os meses com as empresas que desenvolvem produtos médicos.

Um dos limites e uma oportunidade perdida é a ausência, até ao momento, de entidades financiadoras nestes dois inovadores e bem-sucedidos processos de diálogo inicial com as empresas que desenvolvem produtos médicos.

***É neste sentido que apelamos às Autoridades Competentes Nacionais que se envolvam neste Aconselhamento Científico Paralelo EMA – HTA paralelo e no Diálogo Científico Inicial Europeu da EUnetHTA. A representação de entidades financiadoras pode fazer-se através do MEDEV ou do grupo nuclear que forma a mesa de negociação.***

Globalmente, todas as partes ganharão com o diálogo inicial entre as entidades financiadoras e as empresas que desenvolvem produtos médicos. Por si só, esta participação permite que as entidades financiadoras realizem uma apreciação do horizonte em termos de produtos em desenvolvimento. As entidades financiadoras irão obter um melhor conhecimento da doença ou do problema médico, do produto, da indicação terapêutica pretendida e da estratégia da empresa, sobretudo em relação ao seu plano de desenvolvimento clínico e à sua estratégia regulamentar. As entidades financiadoras terão a possibilidade de expressar as suas dúvidas, preocupações e expectativas logo desde o início, por exemplo, no que respeita ao nível aceitável de incertezas, a necessidade de um registo, o estudo sobre viver com a doença, a estimativa de poupança de custos hospitalares, etc. Já as empresas que desenvolvem produtos médicos irão adquirir uma vantagem antecipada em termos do que devem fazer para responder às preocupações das entidades financiadoras e construir soluções no âmbito da investigação clínica para agilizar o desenvolvimento e otimizar a afetação dos recursos.

Esta abordagem é obrigatória quando se trazem produtos inovadores para o mercado no final da fase 2, com dados convincentes mas limitados e com incertezas altas, quando se prevê a aprovação condicional, ou quando se autoriza uma terapia génica ou celular que pode exigir um ambiente hospitalar de alta tecnologia disponível em poucos países, que exige, portanto, uma previsão do modelo económico e da via de acesso dos doentes.

### **3. Principais elementos que estão atualmente a ser explorados em diferentes plataformas europeias e que requerem integração num novo modelo:**

---

<sup>9)</sup> <http://www.earlydialogues.eu>

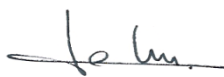
1) Há uma necessidade de reconhecer que, no domínio das terapias para populações pequenas, a geração de provas é um processo contínuo ao longo do ciclo de vida do ativo. Na verdade, os dados recolhidos em estudos clínicos, num grupo homogêneo de doentes selecionados de acordo com critérios específicos e comuns, não refletem a realidade do uso médico num contexto real. Portanto, é necessário colocar o produto no mercado (que, por definição, é restrito) mais cedo, assim que se tenha demonstrado uma eficácia satisfatória pelo menos numa população de doentes sub-alvo, passando-se depois à recolha de dados/provas num contexto real para refinar a avaliação da segurança e da eficácia, definir os grupos-alvo de doentes e a efetividade e determinar o melhor local de tratamento tendo em conta a estratégia terapêutica. Isto ajudará a definir as práticas ideias ao nível dos cuidados.

2) É importante apoiar e promover o desenvolvimento da abordagem de Vias Adaptativas dos Medicamentos aos Doentes (*Medicines Adaptive Pathways to Patients*, MAPP), em especial junto da EMA (Pareceres Científicos e Licenciamento Adaptativo) e ao nível da HTA (Diálogo Inicial, dossiê de valor nuclear adaptado e relatório europeu de avaliação comum), mas também com as entidades financiadoras. «Só os doentes podem legitimamente determinar o nível de risco e de danos que estão dispostos a aceitar em troca dos benefícios propostos. Os doentes são quem sabe melhor que compromissos entre os benefícios e os riscos/incertezas são aceitáveis»<sup>(12)</sup>. É por isso que a avaliação risco/benefício no CHMP necessita de ter em consideração a posição dos doentes num contexto de maior incerteza, o que ajudará as entidades financiadoras a tomarem decisões bem informadas.

3) Deve desenvolver-se um mecanismo com base no processo MoCA tendo em conta a tendência recente no sentido de desenvolver Vias Adaptativas dos Medicamentos aos Doentes. Neste contexto, é necessário sublinhar a **ligação entre a Mesa de negociação de preços e a geração de provas pós-comercialização: as negociações entre as entidades financiadoras e a indústria para determinar o preço, com a participação de especialistas e doentes, com base nas ferramentas de avaliação do valor de medicamentos (como os EPAR, os relatórios de HTA, o Quadro Europeu de Valor Transparente), em conjunto com um certo grau de transparência nos custos e uma estimativa do volume de doentes a tratar na Europa, têm de estar associadas à geração de provas pós-comercialização**. O preço e a geração de provas pós-comercialização devem estar estreitamente ligados, de maneira a que os preços flutuem com base em reavaliações em momentos-chave do ciclo da vida do medicamento. A fim de alinhar os requisitos pós-comercialização, esta abordagem exige uma estreita colaboração com a EMA e com o grupo de trabalho europeu para a HTA.

Aguardamos com expectativa a V. célere resposta.

Com os melhores cumprimentos,



Yann Le Cam  
Diretor Executivo  
EURORDIS – Doenças Raras Europa



Nicola Bedlington  
Diretora Executiva  
Fórum Europeu de Doentes

---

<sup>(12)</sup> [http://static.correofarmaceutico.com/docs/2015/05/05/informe\\_anual\\_2014\\_ema.pdf](http://static.correofarmaceutico.com/docs/2015/05/05/informe_anual_2014_ema.pdf)