



ANVISA
Agência Nacional de Vigilância Sanitária

Relatório Consulta Dirigida

**Critérios de Precificação de
Produtos de Terapia Avançada (PTA)**

**Secretaria Executiva da Câmara de Regulação do
Mercado de Medicamentos (SCMED)**

Copyright © 2024. Agência Nacional de Vigilância Sanitária.
Este documento possui caráter interno, restrito à Anvisa. Sua divulgação somente será permitida mediante consulta prévia e autorização do CTE/CMED.

COMITÊ TÉCNICO EXECUTIVO DA CMED

FERNANDA DE NEGRI
MINISTÉRIO DA SAÚDE

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Completo Econômico-Industrial da Saúde
- SECTICS

MARCOS BARBOSA PINTO
MINISTÉRIO DA FAZENDA
Secretaria de Reformas Econômicas - SRE

WADIH NEMER DAMOUS FILHO
MINISTÉRIO DA JUSTIÇA E SEGURANÇA PÚBLICA
Secretaria Nacional do Consumidor – SENACON

MIRIAM APARECIDA BELCHIOR
CASA CIVIL DA PRESIDÊNCIA DA REPÚBLICA
Secretaria Executiva

UALLACE MOREIRA LIMA
MINISTÉRIO DO DESENVOLVIMENTO, INDÚSTRIA, COMÉRCIO E SERVIÇO
Secretaria de Desenvolvimento Industrial, Inovação, Comércio e Serviços - SDIC

SECRETARIA EXECUTIVA DA CMED

DANIELA MARRECO CERQUEIRA
Secretária-Executiva

KELLY LUCY GUIMARÃES GOMES
Secretária-Executiva Substituta

Sumário

Este documento possui caráter interno, restrito à Anvisa. Sua divulgação somente será permitida mediante consulta prévia e autorização do CTE/CMED.2

Introdução5

Dados Gerais6

Contribuições7

2. Você tem conhecimento sobre a forma atual de precificação de Produtos de Terapias Avançadas?9

3. Na sua percepção, a inexistência de normativa da CMED para tratar de precificação de Produtos de Terapias Avançadas pode ser considerada um problema?10

4. Na sua percepção, é necessário e possível desenvolver uma metodologia para precificar PTA?11

5. Na sua percepção, o modelo de precificação de PTA deve considerar o desempenho da terapia, com preço vinculado aos resultados de efetividade?12

6. A definição de preço provisório é aplicável para PTA?13

7. Na sua opinião, existe algum modelo internacional de precificação de PTA que seria aplicável no Brasil?15

8. Na sua opinião, o referenciamento externo de preços é aplicável para PTA?16

9. Na sua opinião, fatores como incentivo ao desenvolvimento, inovação e produção devem ser considerados para a precificação de PTA?17

9.1 Na sua opinião, a precificação de PTA deve ser diferenciada no caso de desenvolvimento e produção local?18

10. Na sua opinião, quais são os principais obstáculos regulatórios ou financeiros enfrentados na aquisição ou fornecimento de PTA?18

11. Na sua opinião, a norma que vier a ser editada sobre precificação de PTA deverá ser submetida a avaliações periódicas com monitoramento por indicadores?19

12. Na sua opinião, quando da elaboração do instrumento regulatório, deverá ser previsto prazo para que sejam promovidas adequações, adaptações ou revisões da norma?20

Introdução

A Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) define as diretrizes e os procedimentos relativos à regulação econômica do mercado de medicamentos, bem como monitora o setor. Essas competências estão previstas na Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003, especialmente no artigo 6º. No escopo de sua atuação, cabe à CMED definir os critérios para a fixação dos preços dos produtos novos e das novas apresentações de medicamentos, conforme o artigo 7º da mesma lei. O estabelecimento de critérios claros para a definição de preços deve considerar o acesso e as necessidades terapêuticas da população brasileira, promovendo a assistência farmacêutica por meio de mecanismos que estimulem a oferta de medicamentos e a competitividade do setor.

Em maio de 2021, a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) publicou a Resolução de Diretoria Colegiada - RDC nº 505, de 27 de maio de 2021, que dispõe sobre o registro de produtos de terapia avançada (PTA). Essa norma busca garantir o acesso da população brasileira a essas tecnologias inovadoras, que representam importantes promessas terapêuticas para situações clínicas complexas, muitas vezes sem alternativas disponíveis. No entanto, a complexidade dos produtos de terapias avançadas envolve desafios regulatórios relacionados à segurança, eficácia e qualidade, além de riscos e incertezas clínicas, com impacto nos custos para os sistemas público e privado de saúde.

Do ponto de vista da regulação econômica, há um descompasso entre a norma de precificação vigente, publicada há mais de 20 anos, e a regulamentação do registro de PTAs. Isso faz com que esses produtos sejam categorizados como casos omissos, nos termos da Resolução CMED nº 2, de 5 de março de 2004. Como as categorias de medicamentos previstas nessa norma não contemplam as tecnologias registradas como PTAs, torna-se necessário estabelecer critérios específicos para sua precificação, visando maior transparência, segurança jurídica e alinhamento normativo às melhores práticas regulatórias.

Nesse contexto, o Comitê Técnico Executivo da CMED realizou uma consulta dirigida para coletar dados, informações, opiniões e sugestões sobre critérios de precificação aplicáveis a produtos de terapia avançada, com o objetivo de subsidiar a análise de impacto regulatório e eventual proposição de uma normativa específica.

Com o objetivo de ampliar a transparência e incentivar uma participação qualificada e o

diálogo regulatório, a Secretaria-Executiva da CMED adotou uma abordagem ativa na comunicação da consulta dirigida, promovendo ações para engajar diferentes públicos e ampliar a visibilidade do tema. Entre as iniciativas desenvolvidas, destacam-se:

- **Publicação do Edital de Chamamento nº 1, de 6 de fevereiro de 2025**, em Diário Oficial da União (DOU), estabelecendo as diretrizes para a participação e garantindo ampla divulgação da consulta;
- **Criação de uma página específica no site da CMED**, reunindo informações detalhadas sobre o tema e facilitando o acesso aos interessados; e
- **Divulgação estratégica por meio de duas notas no Portal da Anvisa**, ampliando o alcance da consulta dirigida e reforçando a importância do tema para o setor regulado e demais *stakeholders*.

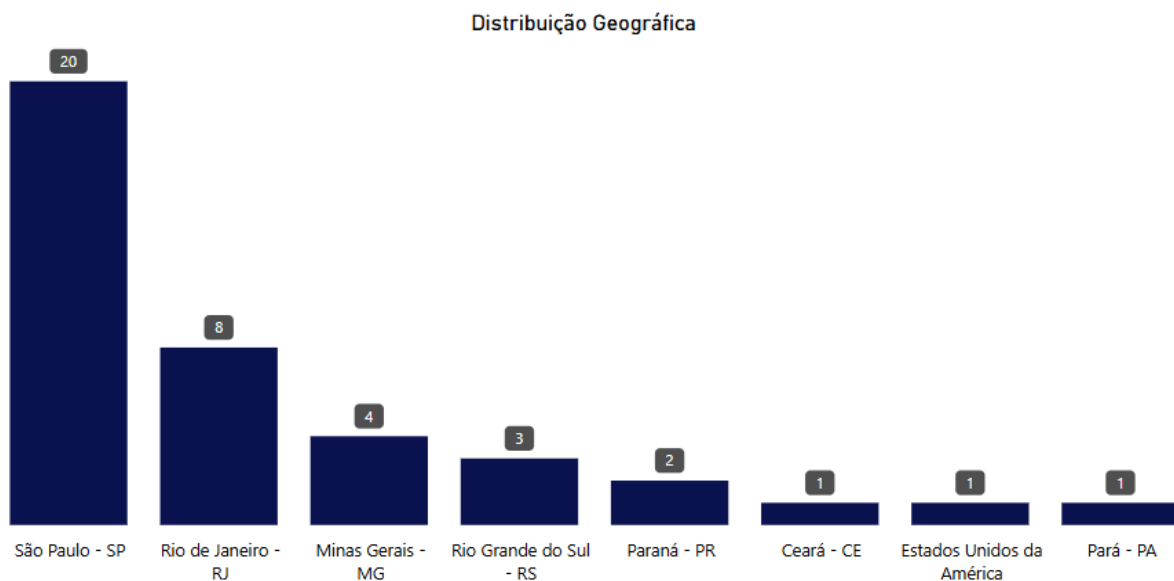
A consulta dirigida esteve aberta de 10 de fevereiro a 28 de março de 2025 e recebeu 40 formulários completos com contribuições de diversos segmentos, incluindo representantes da indústria farmacêutica, associações do setor, especialistas em saúde e instituições de pesquisa.

Este relatório apresenta a sistematização das contribuições recebidas, destacando os principais pontos levantados pelos participantes e suas possíveis implicações em uma eventual regulamentação da precificação de produtos de terapia avançada.

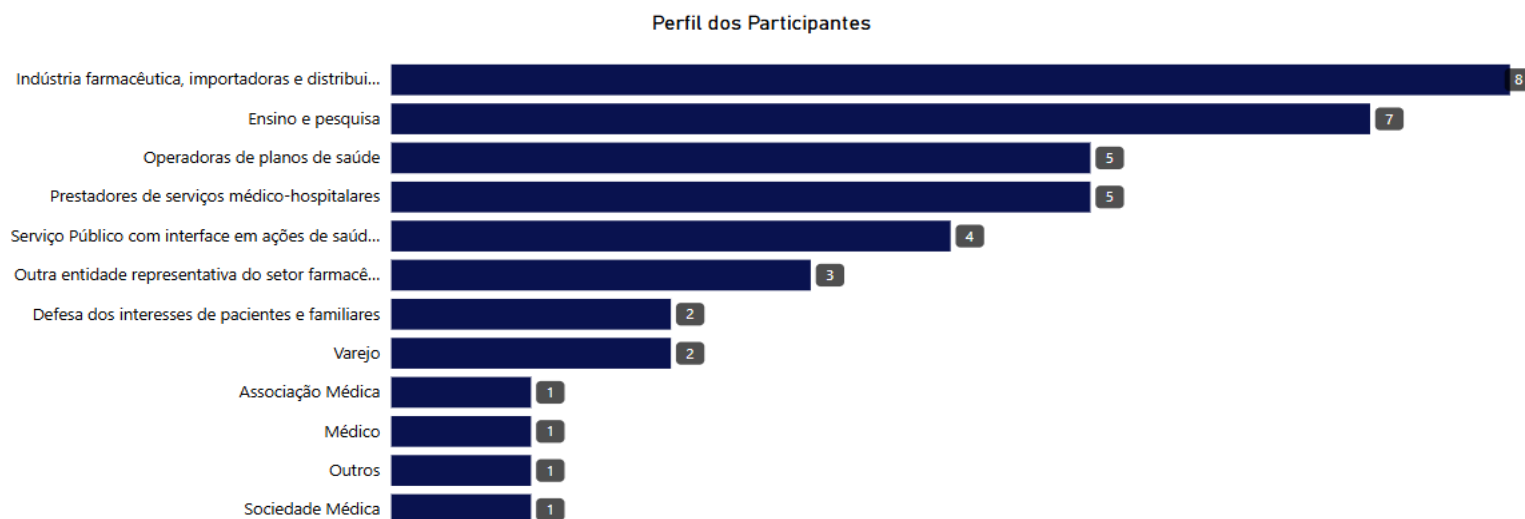
Dados Gerais

Durante o período em que ficou disponível para contribuições, foram recebidos 40 formulários completos.

A metade das contribuições foi enviada por representantes que residem no estado de São Paulo. É importante destacar que uma das contribuições é originária de representante residente nos Estados Unidos da América.



No que se refere ao perfil dos contribuintes, observa-se predominância dos representantes da indústria farmacêutica, importadoras e distribuidoras de medicamentos e dos representantes das instituições de ensino e pesquisa.



Contribuições

As contribuições recebidas foram organizadas e analisadas em conformidade com as perguntas dispostas no formulário.

Nos próximos itens, serão apresentados os principais temas abordados nas manifestações

recebidas, destacando pontos de convergência e divergência entre os participantes, bem como sugestões e preocupações levantadas em relação à potencial elaboração de regulamentação para definir critérios de precificação desses produtos.

1. O que você considera (conceitua ou caracteriza) como PTA? Existem tipos de PTA além dos definidos pela Anvisa (produtos de terapias celulares avançadas, produtos de terapias gênicas, e produtos de engenharia tecidual)?

As contribuições recebidas sobre a conceituação destacam que os PTAs são medicamentos inovadores baseados em células, genes ou tecidos humanos modificados, destinados ao tratamento de doenças complexas como câncer, doenças raras e condições incapacitantes.

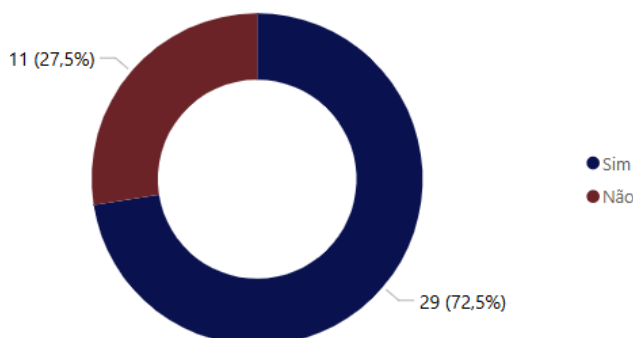
A maioria das contribuições reforça que a definição estabelecida pela Anvisa na RDC nº 505/2021, que classifica os PTAs em três categorias principais, é adequada e suficiente para o cenário regulatório atual. A Anvisa define os PTAs como: (1) Produtos de Terapia Celular Avançada, que envolvem células humanas manipuladas para desempenhar funções terapêuticas; (2) Produtos de Terapia Gênica, que utilizam material genético para editar ou regular genes defeituosos; e (3) Produtos de Engenharia Tecidual, que combinam células e biomateriais para regenerar tecidos. Muitos participantes destacaram exemplos concretos como as terapias CAR-T para câncer e o medicamento Zolgensma para atrofia muscular espinhal.

Algumas contribuições sugerem que, embora a classificação tripartite da Anvisa seja adequada, existem abordagens emergentes que podem desafiar as categorias tradicionais. Foram mencionadas as terapias combinadas (que integram PTAs com dispositivos médicos), terapias baseadas em RNA (como mRNA e RNA de interferência), terapias epigenéticas e até mesmo a medicina nuclear radioisotópica como possíveis candidatas à ampliação do conceito de PTAs no futuro.

Diversas contribuições enfatizaram a importância de manter a harmonização entre a CMED e a Anvisa nas definições, evitando inconsistências regulatórias. No entanto, também foi sugerido que a rápida evolução biotecnológica pode exigir revisões periódicas dessas definições para acomodar novas tecnologias como CRISPR e terapias com RNA não codificante.

As contribuições recebidas indicam um consenso sobre a necessidade de manter um equilíbrio entre a estabilidade regulatória e a flexibilidade para incorporar inovações, garantindo assim o acesso dos pacientes a tratamentos avançados enquanto se preserva a segurança e a sustentabilidade do sistema de saúde brasileiro.

2. Você tem conhecimento sobre a forma atual de precificação de Produtos de Terapias Avançadas?



A maioria dos contribuintes afirma ter conhecimento sobre a forma atual de precificação de PTAs.

Foi relatado que a precificação de PTA no Brasil está estabelecido na Resolução CMED nº 2/2004, que classifica os medicamentos em seis categorias distintas para definição de preço, sendo que os PTA, devido às suas especificidades, são sistematicamente enquadrados como "caso omissos". Isso ocorre porque esses produtos não atendem aos critérios convencionais exigidos para outras categorias, como a exigência de patente e estudo clínico de fase III com comparador ativo.

No caso dos medicamentos de terapia avançada, a precificação segue inicialmente um modelo baseado em referenciamento internacional, considerando uma lista de nove países, incluindo obrigatoriamente o país fabricante. O preço definitivo só é estabelecido após a comercialização em pelo menos três desses países, sendo adotado o menor valor encontrado. Até que isso ocorra, o preço definido é provisório. Essa abordagem reflete a tentativa de alinhar a política nacional às melhores práticas internacionais.

A indústria farmacêutica frequentemente incorpora na precificação desses medicamentos os custos de desenvolvimento tecnológico e pesquisa e desenvolvimento (P&D), aplicando um *markup* desejado. No entanto, devido à falta de uma regulamentação específica para os PTA, as metodologias utilizadas acabam sendo adaptadas dos modelos de precificação de medicamentos tradicionais.

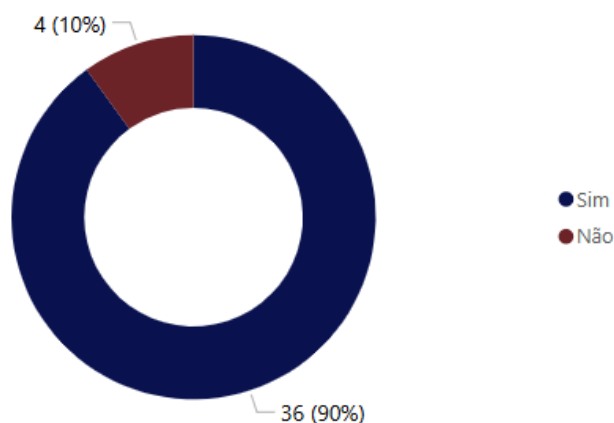
O Comitê Técnico-Executivo (CTE) da CMED é responsável por analisar os casos omissos, resultando em um processo de precificação que pode ser mais demorado e menos transparente. Isso tem levado à judicialização de alguns processos e às críticas de diversos *stakeholders*, devido à falta de critérios objetivos bem definidos.

A ausência de um modelo específico para esses produtos também pode gerar distorções de mercado. Esse cenário levanta preocupações sobre a necessidade de revisão do modelo regulatório, considerando as especificidades das terapias avançadas e buscando maior previsibilidade e eficiência na regulação desses produtos.

Portanto, de acordo com as contribuições apresentadas, é essencial que se discuta a elaboração de normas específicas para a precificação de PTA, contemplando critérios que considerem as peculiaridades desses tratamentos, garantindo maior transparência e celeridade

ao processo, além de evitar impactos negativos no acesso a essas terapias inovadoras.

3. Na sua percepção, a inexistência de normativa da CMED para tratar de precificação de Produtos de Terapias Avançadas pode ser considerada um problema?



A maioria das contribuições aborda que a inexistência de uma normativa específica da CMED para a precificação de PTAs representa um problema significativo, gerando insegurança jurídica, distorções de mercado e barreiras ao acesso a tratamentos inovadores. Atualmente, a falta de critérios claros leva a decisões subjetivas, com o enquadramento dos produtos como "casos omissos", o que prolonga processos e cria inconsistências.

Um exemplo citado nas contribuições foi o caso do Zolgensma, cujo longo processo de precificação — com múltiplas revisões e judicialização — resultou em gastos de quase R\$ 1 bilhão pelo SUS, evidenciando a urgência de regras mais transparentes e eficientes.

Também foi relatado que, além da morosidade, a referência a preços internacionais, como os dos EUA, ignora as diferenças econômicas e a realidade do sistema de saúde brasileiro, muitas vezes inflando artificialmente os valores. Isso ocorre porque muitos países fecham acordos confidenciais de descontos, tornando os preços públicos divulgados irreais para comparação. Outro problema é a incorporação automática de PTAs no SUS e na saúde suplementar sem uma avaliação robusta de custo-efetividade, como ocorreu com o trastuzumabe, que chegou a custar 250% a mais no setor privado em comparação com referências internacionais, sobrecarregando o sistema, segundo as contribuições recebidas.

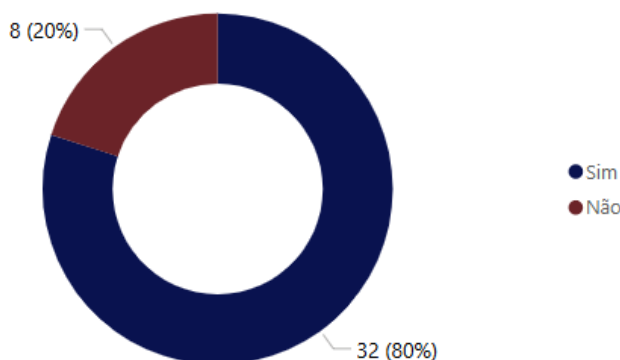
Na cadeia de fornecimento, foi argumentado que as farmácias de varejo enfrentam dificuldades para aplicar o Preço Máximo de Vendas ao Governo (PMVG) devido à falta de regulamentação que obrigue indústrias e distribuidoras a repassarem descontos. Além disso, a Lei Geral de Proteção de Dados (LGPD) impede a solicitação de informações que diferenciem compras públicas e privadas, expondo as farmácias a multas e inviabilizando a precificação adequada.

Para resolver esses desafios, é essencial desenvolver critérios específicos para PTAs, considerando sua complexidade e custos elevados. Isso inclui a criação de modelos que contemplem a produção personalizada (como terapias celulares), avaliações contínuas de eficácia (em vez de revisões a cada dez anos) e incentivos à produção nacional, reduzindo a dependência de importações. Sugere-se, ainda, a adoção de um "preço-piso regulado" baseado

em custos locais e mecanismos de compartilhamento de risco, como pagamento por resultados, para equilibrar sustentabilidade financeira e acesso.

Em suma, os participantes afirmaram a falta de normatização para PTAs desincentiva a inovação, aumenta custos e limita o acesso a terapias que podem salvar vidas e que sem isso, o país continuará enfrentando judicialização, gastos descontrolados e atrasos na disponibilização de tratamentos essenciais para os pacientes.

4. Na sua percepção, é necessário e possível desenvolver uma metodologia para precificar PTA?



As contribuições recebidas apresentam um amplo espectro de perspectivas, destacando tanto a complexidade do tema quanto a urgência em se estabelecer critérios transparentes e adequados a essas terapias inovadoras.

A maioria dos participantes reconhece que os modelos tradicionais de precificação não são suficientes para PTAs, dada sua natureza singular – incluindo altos custos de desenvolvimento, produção personalizada entre outros. Diversas contribuições enfatizam a necessidade de metodologias flexíveis que considerem não apenas os custos diretos, mas também o valor terapêutico agregado, como melhoria na qualidade de vida, redução de hospitalizações e impacto socioeconômico.

Entre as sugestões apresentadas, destacam-se modelos como precificação baseada em valor (VBHC), que avalia benefícios clínicos e econômicos ao longo do tempo; pagamento por performance, vinculando o preço a resultados observados no paciente; e modelos híbridos, que combinam elementos de custo, eficácia e risco compartilhado. Algumas contribuições também propõem preços dinâmicos, ajustáveis conforme a demanda e novas evidências clínicas, garantindo sustentabilidade financeira sem comprometer o acesso.

Um ponto recorrente nas contribuições é a necessidade de harmonização entre os órgãos, principalmente Anvisa e CMED, para evitar inconsistências nos critérios de avaliação. Foi sugerido, por exemplo, a aceitação de diferentes tipos de evidências (como dados do mundo real e estudos observacionais) e a flexibilização de desfechos aceitáveis em análises de eficácia. Além disso, muitos participantes defendem a revisão periódica dos preços, permitindo ajustes conforme novas informações sobre efetividade e custo-efetividade sejam disponibilizadas.

Algumas contribuições trazem exemplos internacionais, como os modelos de paridade de poder de compra e acordos de compartilhamento de risco, adaptados a realidades econômicas

diversas. Essas experiências são vistas como referências úteis, desde que contextualizadas para o sistema de saúde brasileiro, considerando as particularidades do SUS e da saúde suplementar.

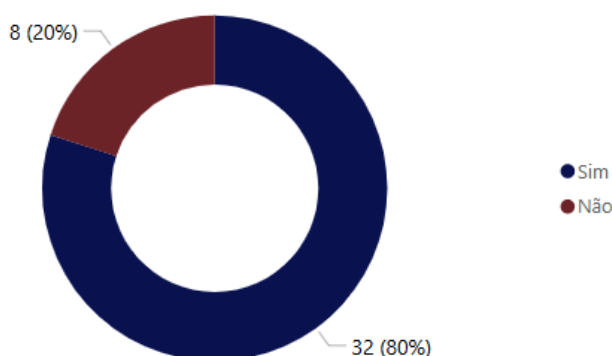
Por outro lado, um grupo menor de participantes argumenta que a Resolução CMED 2/2004 já oferece bases suficientes para a precificação de PTAs, desde que atualizada para incorporar novos tipos de evidência e desfechos clínicos. Essas contribuições alertam para o risco de se criar regras excessivamente específicas, que poderiam engessar o mercado e desincentivar a inovação.

As contribuições refletem um consenso sobre a necessidade de maior transparência, previsibilidade e equilíbrio entre inovação, acesso e sustentabilidade. Embora haja divergências sobre a melhor abordagem metodológica, fica clara a demanda por um marco regulatório que:

- Incorpore avaliações dinâmicas de tecnologia em saúde;
- Promova a equidade no acesso a terapias avançadas;
- Garanta segurança jurídica para indústria e gestores públicos.

A construção dessa metodologia exigirá diálogo contínuo entre governo, setor produtivo e sociedade civil, com atenção especial às lições aprendidas em outros países e às especificidades do sistema de saúde brasileiro.

5. Na sua percepção, o modelo de precificação de PTA deve considerar o desempenho da terapia, com preço vinculado aos resultados de efetividade?



As contribuições recebidas sobre a possibilidade de vincular o preço de PTAs aos resultados de efetividade revelam posicionamentos diversos, porém complementares. A maioria dos participantes reconhece o mérito da abordagem baseada em valor, mas com ressalvas importantes sobre sua implementação prática.

Diversas contribuições defendem modelos inovadores de precificação, como o pagamento por performance e acordos de risco compartilhado, onde o valor pago estaria atrelado aos benefícios clínicos efetivamente observados. Esses modelos exigiriam um acompanhamento rigoroso dos pacientes após o tratamento, com revisões periódicas dos preços baseadas em dados do mundo real. Muitos sugerem a criação de sistemas de monitoramento

contínuo e a aceitação de diferentes tipos de evidência, incluindo estudos de fase II e análises comparativas indiretas, especialmente para terapias com dados limitados no momento do lançamento.

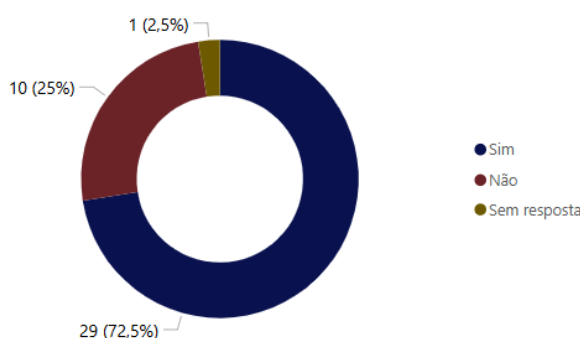
No entanto, importantes desafios são apontados. O tempo necessário para obter dados robustos de efetividade - que pode chegar a 15 anos no caso de algumas terapias - contrasta com a necessidade imediata de estabelecer preços para comercialização. Além disso, a complexidade técnica de definir métricas objetivas de desempenho e a divisão de competências entre agências regulatórias criam obstáculos práticos significativos.

Entre as propostas concretas, destacam-se: a adoção de preços provisórios iniciais sujeitos à revisão, a criação de repositórios centrais para coleta de dados pós-comercialização, e modelos híbridos que combinem elementos de custo de produção com avaliação de benefícios clínicos. Algumas contribuições sugerem ainda a utilização de indicadores intermediários de efetividade quando os desfechos finais demoram muitos anos para serem mensurados.

Por outro lado, parte dos participantes argumenta que a precificação deve basear-se principalmente nos dados disponíveis no momento do lançamento, considerando os altos custos de desenvolvimento e produção característicos dessas terapias. Há preocupações sobre a insegurança jurídica que modelos muito complexos poderiam criar para as empresas desenvolvedoras.

O consenso emergente aponta para a necessidade de maior flexibilidade nos critérios de avaliação, sistemas robustos de farmacovigilância e monitoramento pós-mercado, e um alinhamento mais estreito entre as diferentes instâncias regulatórias. A solução ideal parece residir em modelos adaptativos que equilibrem a inovação terapêutica com a sustentabilidade do sistema de saúde, garantindo acesso aos pacientes sem desincentivar o desenvolvimento de novas terapias.

6. A definição de preço provisório é aplicável para PTA?



Houve consenso quanto à necessidade desse mecanismo, embora com diferentes perspectivas sobre sua implementação. A maioria dos participantes concorda que a natureza inovadora e complexa dessas terapias, frequentemente aprovadas com base em dados preliminares, justifica a adoção de preços iniciais sujeitos à revisão.

Diversos fatores foram apontados como determinantes para a provisoriedade do preço:

a incerteza quanto aos resultados de efetividade a longo prazo, o tamanho reduzido das populações estudadas, a ausência de desfechos clínicos definitivos e a qualidade das evidências disponíveis no momento do registro. Muitas contribuições destacam que os preços provisórios deveriam ser reavaliados periodicamente (entre 2 e 5 anos), com base em dados do mundo real que confirmem ou ajustem os benefícios inicialmente projetados.

Surgiram duas principais abordagens para implementação: alguns defendem a manutenção do atual sistema da Resolução CMED nº 2/2004, vinculando a provisoriedade à ausência de preços em três países de referência; outros propõem critérios específicos para PTAs, considerando as incertezas científicas inerentes a essas terapias. Modelos inovadores foram sugeridos, incluindo mecanismos de compartilhamento de risco, pagamento por resultados e ajustes progressivos conforme novas indicações terapêuticas são aprovadas.

As contribuições também expõem preocupação com a sustentabilidade do sistema, sugerindo que os preços provisórios deveriam ser reavaliados considerando tanto o impacto clínico quanto o econômico, com possibilidade de ajustes para cima ou para baixo. A harmonização entre Anvisa e CMED e a criação de sistemas robustos de monitoramento pós-comercialização emergem como elementos-chave para o sucesso dessa abordagem.

Referente ao que motivaria tornar o preço definitivo, o elemento central destacado pelas diversas partes interessadas é a comprovação robusta da efetividade clínica, que deve incluir não apenas dados de eficácia, mas também métricas concretas de melhoria na qualidade de vida dos pacientes e aumento de sobrevida, preferencialmente com acompanhamento mínimo de cinco anos em populações significativas.

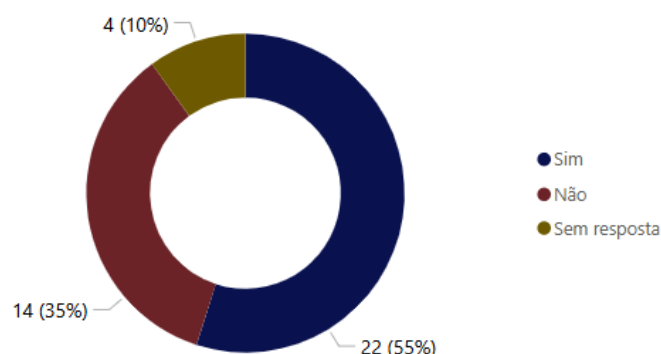
Um segundo pilar importante é a estabilização das evidências científicas, que envolve a superação das incertezas iniciais através de estudos de mundo real no contexto brasileiro, confirmação do perfil de segurança em longo prazo e demonstração de que os benefícios prometidos se mantêm sem a emergência de efeitos adversos limitantes.

Do ponto de vista econômico, destaca-se a necessidade de avaliação do impacto real no sistema de saúde, considerando não apenas o custo direto do tratamento, mas também potenciais economias em outros serviços de saúde e o equilíbrio entre acesso amplo e sustentabilidade financeira. A maturidade tecnológica também emerge como fator relevante, incluindo a estabilização dos processos produtivos e a consolidação da terapia no mercado global.

As contribuições também abordam a necessidade de dados robustos – que naturalmente exigem tempo para serem gerados – e a demanda por previsibilidade nos modelos de precificação. Enquanto alguns defendem critérios objetivos baseados em referências internacionais, outros argumentam que fatores clínicos e econômicos deveriam ter maior peso, com mecanismos de revisão periódica mesmo após a definição do preço como definitivo, garantindo assim um equilíbrio dinâmico entre inovação, acesso e sustentabilidade.

Por fim, há reconhecimento de que o modelo ideal deve equilibrar o acesso precoce a terapias inovadoras com a proteção dos sistemas de saúde contra custos excessivos por tecnologias que possam não cumprir as expectativas iniciais, mantendo, ao mesmo tempo, atratividade para a indústria farmacêutica.

7. Na sua opinião, existe algum modelo internacional de precificação de PTA que seria aplicável no Brasil?



Os contribuintes apontaram que o modelo brasileiro para precificação de PTAs pode se basear em experiências internacionais, considerando as especificidades do mercado e do sistema de saúde. Foram propostos os seguintes modelos:

Pagamento Baseado em Desempenho (Pay-for-Performance - P4P): esse modelo condiciona o pagamento à eficácia clínica da terapia. Se o tratamento for eficaz, o pagamento é realizado integralmente; caso contrário, há reembolsos ou ajustes. Exemplos incluem o Zolgensma nos EUA e na Europa e o Kymriah em países como França, Itália e Alemanha. Foi sugerido que esse modelo seja aplicado no SUS e em planos de saúde, mas exigiria um sistema de monitoramento clínico rigoroso.

Pagamento Parcelado (Annuity Payment Model): em vez de um pagamento único, os custos são divididos ao longo dos anos. Se os benefícios da terapia persistirem, os pagamentos continuam e, em caso de falha, podem ser suspensos. No Reino Unido e na Itália, o Luxturna adotou essa abordagem. De acordo com as contribuições, no Brasil, essa estratégia ajudaria a evitar impactos financeiros imediatos e exigiria contratos entre governo, indústria e operadoras.

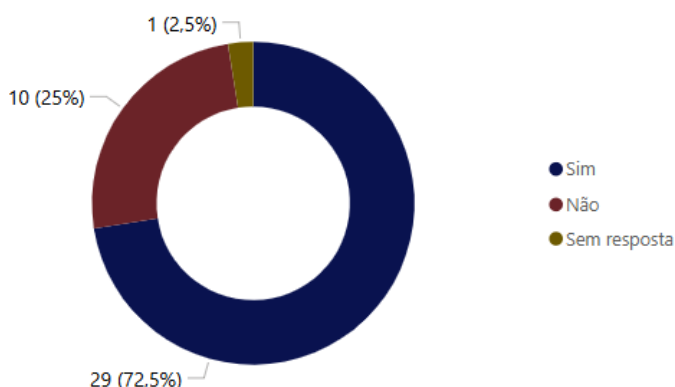
Precificação Baseada em Valor (Value-Based Pricing - VBP): o preço do medicamento é definido com base no impacto clínico, redução de custos e melhoria da qualidade de vida do paciente. Modelos como o do NHS utilizam o ICER (Custo-Efetividade Incremental) para decisões de incorporação. A Itália adota um sistema de pagamento escalonado e condicionado a resultados clínicos, além de um fundo específico para cobrir custos iniciais.

Também foram apresentadas soluções adotadas em outros países. A Austrália utiliza acordos especiais de compartilhamento de risco, vinculados à coleta de mais evidências. Na Alemanha, terapias recebem preços livres no primeiro ano, seguidos de negociação com seguradoras, com recentes reformas reduzindo esse período para seis meses.

Para facilitar o acesso antecipado, alguns países concedem autorização condicional baseada em dados iniciais, desde que evidências adicionais sejam fornecidas. Esse aspecto é essencial, pois terapias gênicas são tratamentos únicos, e a avaliação do seu valor terapêutico pode ser incerta no momento do lançamento.

Em síntese, as contribuições afirmam que a precificação de PTA no Brasil deve considerar modelos baseados em desempenho, parcelamento e valor, adaptando estratégias bem-sucedidas de países como Austrália, Alemanha, Reino Unido e Itália.

8. Na sua opinião, o referenciamento externo de preços é aplicável para PTA?



As contribuições sobre critérios para precificação de PTAs destacam a necessidade de um modelo adequado à realidade brasileira. Alguns defendem que os formatos de avaliação devem ser desenvolvidos no próprio ambiente regulatório do país, considerando sua capacidade de pagamento e PIB per capita. Há, ainda, questionamentos sobre a adequação do referenciamento externo, pois esses medicamentos são desenvolvidos em países de alta renda, onde a entrada ocorre primeiro e os modelos de análise econômica variam, como nos EUA, que não exige custo-efetividade para aprovação.

Alternativas propostas incluem que seja considerado o valor terapêutico e benefício clínico, impacto orçamentário, volume de pacientes, escalabilidade e evidências pós-comercialização. Também é sugerido um alinhamento com políticas de inovação, priorizando incentivos à produção nacional e parcerias entre indústria e academia para reduzir custos.

Outros critérios mencionados incluem melhora na adesão ao tratamento, maior comodidade e perfil de segurança aprimorado, como menor frequência de doses e redução de eventos adversos. Além disso, destaca-se a necessidade de acesso sustentável e viabilidade econômica, levando em conta a realidade socioeconômica e o sistema de saúde do país.

Houve consenso sobre a importância de um modelo flexível, que permita ajustes conforme inovações incrementais e características específicas das terapias, garantindo equilíbrio entre inovação e acesso.

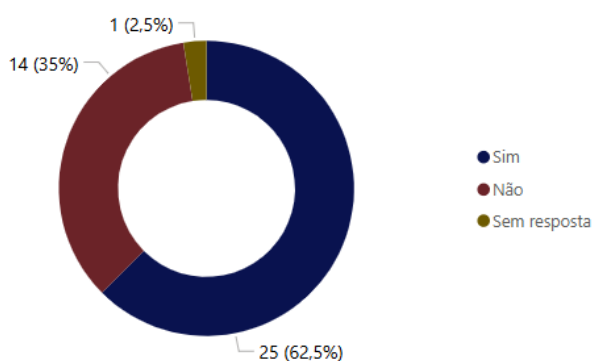
No que se refere à cesta de países a ser utilizada, muitos participantes defendem a manutenção dos países já utilizados pela CMED na Resolução nº 2/2004, enquanto outros sugerem atualizações considerando fatores econômicos, sociais e regulatórios.

Há propostas para incluir países como Reino Unido, França, Alemanha, Itália, Espanha, Canadá e Austrália, que possuem sistemas consolidados de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) e precificação. Alguns defendem que a escolha dos países deve considerar a capacidade de pagamento e condições econômicas similares ao Brasil, além de evitar distorções concorrenciais. Há também sugestões para excluir países com incentivos fiscais e subsídios públicos que

poderiam influenciar os preços.

Além disso, destacam-se modelos alternativos como revisão periódica de preços, compartilhamento de risco e precificação baseada em desfechos clínicos. Alguns alertam que o referenciamento externo não deve ser critério único e absoluto, devendo ser complementado por estudos aprofundados e políticas públicas locais. Outros apontam que países em desenvolvimento, como México, Argentina, Índia e África do Sul, poderiam ser considerados devido a contextos econômicos mais próximos ao brasileiro. Assim, há um consenso sobre a necessidade de um modelo equilibrado e adaptável às particularidades das PTAs.

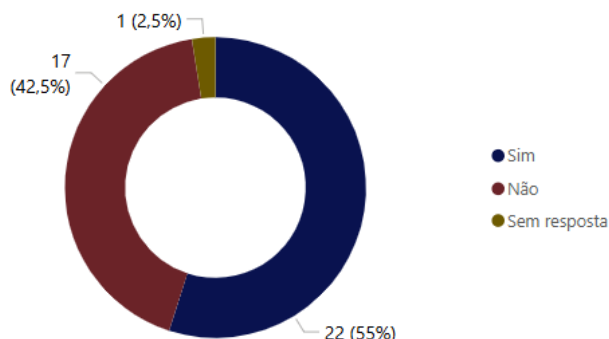
9. Na sua opinião, fatores como incentivo ao desenvolvimento, inovação e produção devem ser considerados para a precificação de PTA?



Critérios como transferência de tecnologia, financiamento público e parcerias público-privadas são apontados como elementos essenciais para definir preços diferenciados. Foi apontado que produtos desenvolvidos com recursos estatais ou conduzidos em instituições nacionais poderiam ter um custo mais acessível para pacientes e para o sistema de saúde. Além disso, experiências internacionais, como na Índia, mostram que incentivos à produção local podem impulsionar a competitividade da indústria nacional.

A transparência nos investimentos em pesquisa e desenvolvimento também é crucial para embasar decisões de precificação. A Estratégia Fiocruz para Terapias Avançadas é um exemplo de como a transferência de tecnologia pode reduzir custos e ampliar o acesso. Assim, uma abordagem que combine incentivos regulatórios, apoio governamental e mecanismos de precificação justos pode fortalecer o setor nacional e garantir maior disponibilidade dessas terapias no Brasil.

9.1 Na sua opinião, a precificação de PTA deve ser diferenciada no caso de desenvolvimento e produção local?



Nos termos das contribuições recebidas, a precificação diferenciada para PTAs desenvolvidos e produzidos no Brasil deve considerar múltiplos fatores, equilibrando incentivo à inovação nacional e viabilidade econômica.

Um dos principais argumentos apresentados é que o desenvolvimento e produção nacionais reduz custos logísticos, permite domínio tecnológico e formação de profissionais especializados. Dessa forma, cria-se um ambiente sustentável para inovação, tornando as terapias mais acessíveis.

10. Na sua opinião, quais são os principais obstáculos regulatórios ou financeiros enfrentados na aquisição ou fornecimento de PTA?

Os contribuintes destacaram que os principais obstáculos regulatórios e financeiros na aquisição ou fornecimento de PTA no Brasil são diversos e envolvem desde questões normativas até desafios econômicos e logísticos.

No âmbito regulatório, a legislação vigente nem sempre acompanha a velocidade da inovação tecnológica, exigindo adaptações constantes e avaliações caso a caso. A falta de regulamentação específica para precificação e reembolso, bem como a ausência de mecanismos ágeis de interação entre reguladores e desenvolvedores, gera insegurança jurídica e pode retardar a introdução dessas terapias no mercado. Além disso, a categorização dos PTA dentro das normas da CMED ainda não está bem definida, o que impacta diretamente a precificação e pode dificultar a viabilidade desses tratamentos no país.

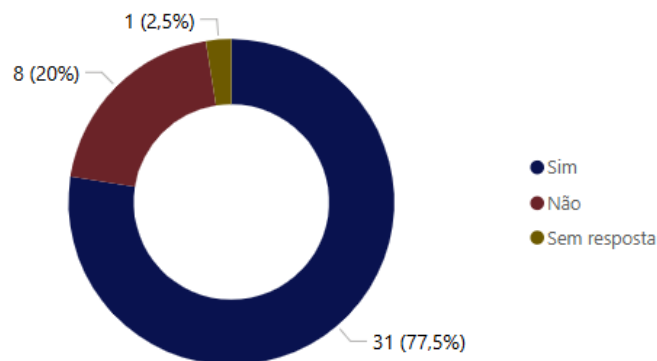
No aspecto financeiro, um dos principais desafios é o alto custo dessas terapias, que muitas vezes ultrapassa milhões de reais por tratamento. Foi relatado que a precificação adotada pela CMED não considera plenamente os custos de desenvolvimento, a personalização das terapias e os benefícios clínicos de longo prazo, o que pode desestimular a entrada de novas tecnologias. Além disso, o modelo de reembolso no Brasil apresenta dificuldades, pois envolve múltiplas instâncias decisórias, como o MS, ANS, operadoras de planos de saúde e hospitais. A falta de integração entre a avaliação sanitária, a precificação e a incorporação dessas tecnologias nos protocolos assistenciais também criam barreiras para sua adoção no sistema de saúde.

Outro ponto crítico abordado pelos participantes foi a dependência de importação, uma

vez que grande parte das PTAs é produzida no exterior, exigindo logística complexa e onerosa, além de burocracia alfandegária que pode comprometer a viabilidade do tratamento. A concentração dos centros credenciados para administração dessas terapias no Sul e Sudeste do país agrava as desigualdades regionais, aumentando os custos com deslocamento e internação.

Diante desse cenário, é fundamental aprimorar o arcabouço regulatório e adotar soluções inovadoras de precificação e compartilhamento de risco para garantir maior previsibilidade e acesso a essas terapias no Brasil.

11. Na sua opinião, a norma que vier a ser editada sobre precificação de PTA deverá ser submetida a avaliações periódicas com monitoramento por indicadores?



As contribuições recebidas destacam a importância de estabelecer um conjunto robusto e multidimensional de indicadores para monitorar a eficácia e a sustentabilidade de uma eventual norma de precificação de PTAs. A avaliação periódica e o monitoramento contínuo são apontados como fundamentais para assegurar a transparência, a equidade e a adaptação do modelo regulatório às inovações tecnológicas e às mudanças econômicas.

No campo dos **resultados clínicos**, diversos participantes sugerem indicadores que comprovem a efetividade das PTAs frente aos tratamentos convencionais. Entre eles, destacam-se a sobrevida global, a sobrevida livre de progressão, a taxa de sucesso terapêutico, o tempo médio até a definição de cura e as medidas relatadas pelos próprios pacientes, como os PROMs (*Patient Reported Outcome Measures*). Esses indicadores ajudam a capturar o impacto real da terapia na saúde e qualidade de vida dos pacientes.

Sob a ótica da **avaliação econômica**, as sugestões incluem métricas como a razão custo-efetividade incremental (ICER), o benefício líquido incremental, os QALYs (anos de vida ajustados por qualidade) e a análise de impacto orçamentário (BIA). Também foram mencionados indicadores que apontem para economias geradas, como redução de dias de internação, diminuição do afastamento do trabalho e alívio nos gastos previdenciários, isto é, o custo por paciente tratado e os modelos de compartilhamento de risco também são considerados relevantes.

Quanto ao **acesso e cobertura**, as contribuições sugerem monitorar o número de pacientes que utilizaram a tecnologia, a disponibilidade do tratamento (no SUS ou no setor privado) e a abrangência da cobertura, especialmente em relação à população elegível. Esses

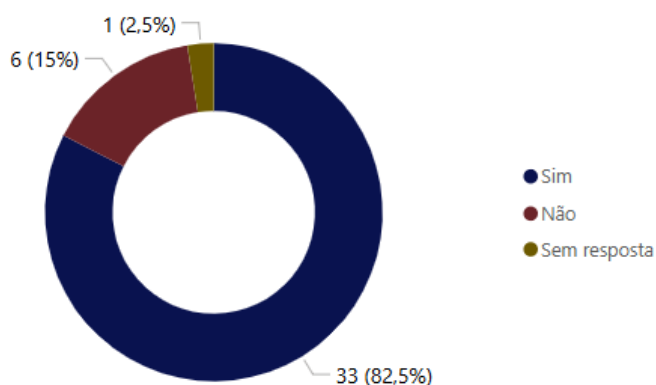
indicadores ajudam a identificar barreiras ao acesso e a orientar políticas públicas para garantir maior equidade.

No que se refere à **governança**, foi ressaltada a necessidade de se ter um modelo de precificação flexível, com revisões regulares que considerem o contexto tecnológico e econômico. A viabilidade de permanência do produto no mercado e a segurança jurídica também são aspectos a serem observados. De acordo com os contribuintes, uma regulamentação rígida, mas adaptável, é considerada essencial para garantir o fornecimento de PTAs de forma sustentável.

Adicionalmente, algumas contribuições sugerem o uso de **indicadores regulatórios e de mercado**, como os presentes na Ferramenta de Benchmarking Global da OMS, já utilizada em estudos sobre terapias avançadas na China. Esses indicadores incluem registro sanitário, vigilância, inspeções, liberação de lote, licenciamento, testes laboratoriais e panorama de ensaios clínicos. Também foram mencionados indicadores de volume de vendas, preço unitário e novas indicações terapêuticas.

Por fim, várias contribuições alertam que mudanças normativas frequentes, sem justificativa baseada em evidências, podem gerar insegurança jurídica e desincentivar a inovação. Portanto, as atualizações na norma devem ser baseadas em análise de impacto regulatório e centradas na necessidade real de adaptação do modelo.

12. Na sua opinião, quando da elaboração do instrumento regulatório, deverá ser previsto prazo para que sejam promovidas adequações, adaptações ou revisões da norma?



As contribuições recebidas indicam que o prazo ideal para revisão da norma de precificação de PTAs deve equilibrar estabilidade regulatória e capacidade de adaptação às inovações tecnológicas.

A maior parte das sugestões propõe revisões periódicas entre 12 e 24 meses, destacando a importância de avaliar os dados gerados e o desempenho dos medicamentos antes de eventuais ajustes. Algumas contribuições defendem que as revisões sejam realizadas considerando a quantidade de dados disponíveis ou com base no número de PTAs registrados no biênio. Também foram citados como gatilhos para revisão a chegada de tecnologias com mecanismos de ação distintos ou que não se enquadrem nas classificações já estabelecidas.

Alguns participantes sugerem que a norma seja pensada para ter longo prazo de validade, com qualidade técnica suficiente para evitar mudanças frequentes. Nesse sentido, uma das contribuições afirma que “norma boa é a que tem vida longa”. Também se ressaltou que revisões muito rápidas podem ser ineficazes, por não haver casos suficientes para análise.

Outras opiniões destacam a necessidade de que o modelo seja flexível e adaptável, permitindo ajustes sempre que surgirem novas tecnologias ou situações imprevistas, evitando obsolescência da norma. Foi feito um alerta quanto ao risco de pressões indevidas caso o processo seja excessivamente aberto.

Além disso, foi sugerido que a norma não tenha efeito retroativo sobre produtos já precificados.