

**Papel dos agentes envolvidos
(stakeholders) para o fortalecimento da regulação
de
medicamentos no Brasil na construção de um
futuro melhor**

Vera Lúcia Edais Pepe
vera.pepe@fiocruz.gov.br



Secretaria Nacional de Vigilância Sanitária

Luiz Felipe Moreira Lima - Secretário de Vigilância Sanitária, 1985-1987

Luis Carlos Wanderley Lima

Ricardo Oliva

Suely Rozenfeld -Portaria 27 e 28/1986 - “antidistônicos”



Agência Nacional de Vigilância Sanitária

Gonçalo Vecina Neto - diretor presidente

Luiz Felipe Moreira Lima 1999-2001

Luis Carlos Wanderley Lima

Ricardo Oliva



I Conferência Nacional de Vigilância Sanitária

Efetivar o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária: proteger e promover a saúde, construindo cidadania.

I Conferência Nacional de Vigilância Sanitária

Relatório Final

Brasília, 26 a 30 de novembro de 2001



GT Vigilância Sanitária

[Início](#) » [Comissões, GT's, Comitês e Fóruns](#) » GT Vigilância Sanitária

APRESENTAÇÃO

HISTÓRICO

COMPOSIÇÃO

DOCUMENTOS

NOTÍCIAS

PUBLICAÇÕES

O GTVISA nasceu em 2001, tendo no movimento de organização da 1ª Conferência Nacional de Vigilância Sanitária um forte propulsor de sua mobilização. Desde então, a cada dois anos, altera sua coordenação, que funciona como um colegiado, cuja composição busca o equilíbrio na distribuição da representação, contemplando equitativamente os profissionais que atuam nos espaços acadêmicos e os nos serviços de vigilância sanitária, e considerando também.



GT VIGILÂNCIA
SANITÁRIA



▲ Oficinas

- Oficina de Trabalho "Formação Especializada em Vigilância Sanitária" São Paulo/SP – 2000.
- Oficina de Trabalho "Competências Profissionais na Área de Vigilância Sanitária" – Natal/RN – 2001

[Relatório](#)

[Termo de Referência](#)

- Oficina de Trabalho "Subsídios para Consolidação do Sistema Nacional de Vigilância Sanitária"

[Relatório](#)

- Oficina de Vigilância Sanitária para a XII Conferência Nacional de Saúde

[Relatório](#)

- Oficina "Formação de Recursos Humanos para a Vigilância Sanitária" – Salvador/BA – 2000

[Relatório](#)

[Termo de Referência](#)

- Oficina de Trabalho "O Profissional de Nível Médio em Vigilância Sanitária: Trabalho e Formação" – Rio de Janeiro/RJ – 2001

[Relatório](#)

[Termo de Referência](#)

Oficina de Trabalho "Materiais Didáticos e Formação em Vigilância Sanitária: Representação da Interação das Profissões" – Salvador/BA – 2000





2003 - VISA
como prática
de saúde
coletiva



2006 - VISA
como prática
de avaliação
em saúde



Elaboração do 1º Roteiro da VISA do estado RJ: maternidades



Governo do Estado do Rio de Janeiro
Secretaria de Estado de Saúde
Centro de Vigilância Sanitária

FARMACOVIGILÂNCIA

Órgão Oficial do Programa de Farmacovigilância do Centro de Vigilância Sanitária da Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro

Editorial

Programa de Farmacovigilância vai monitorar eventos adversos associados a medicamentos

Monitorar os eventos adversos associados a medicamentos no âmbito do Estado do Rio de Janeiro, prioritariamente, através do sistema de notificação espontânea e, complementarmente, através de métodos epidemiológicos, integrando o Programa Nacional de Farmacovigilância, coordenado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

Este é o principal objetivo do Programa Estadual de Farmacovigilância – implementado pelo Centro de Vigilância Sanitária (CVS) da Secretaria de Estado de Saúde (SES) do Governo do Estado do Rio de Janeiro – com vistas a prevenir riscos e danos, somando esforços com as políticas de promoção e proteção à saúde da população.



O que é Farmacovigilância

Farmacovigilância, segundo definição da Organização Mundial de Saúde (OMS), compreende a ciência e as atividades relacionadas à detecção, avaliação, compreensão dos efeitos adversos ou outros problemas relacionados a medicamentos. Ela se constitui numa estratégia essencial para a promoção do uso racional de medicamentos e traz impacto direto nas políticas de prevenção de danos, através da disseminação de informação isenta aos profissionais de saúde, órgãos reguladores e usuários.

O Boletim de Farmacovigilância

Você está recebendo a primeira edição do "Boletim de Farmacovigilância". Nesta primeira edição, além de um texto sobre os riscos da Terapia de Reposição Hormonal para mulheres na menopausa, você está recebendo um exemplar do "Formulário de Notificação de Evento Adverso com Medicamento", instrumento de coleta de informações da Unidade de Farmacovigilância do Estado do Rio de Janeiro (Unifarj), que também pode ser acessado em www.saude.rj.gov.br/ceovisa/etm/.

Você encontrará no verso do formulário todas as informações necessárias para realizar uma notificação. Guarde o formulário, mostre-o a seus colegas de trabalho e tire qualquer dúvida na Unifarj: Rua Maricá, 128/3º andar – Centro – Rio de Janeiro (RJ) CEP 20031-142. Telefone: (21) 2199-9246 ou unifarj.cov@saude.rj.gov.br

A Unidade de Farmacovigilância

A Unidade de Farmacovigilância do Estado do Rio de Janeiro (Unifarj) – instalada no interior da estrutura do CVS/SES/RJ – será a responsável pelo recebimento, avaliação e encaminhamento para medidas cabíveis das notificações suspeitas de reações adversas, interações medicamentosas, falhas terapêuticas e queixas técnicas sobre medicamentos.

Maria de Lourdes de Oliveira Moura
Diretora Geral do CVS/SES/RJ

Suzely Rosenfeld
Pesquisadora do DEMQS/Ensp/Fiocruz

Direção de Maria de Lourdes de Oliveira Moura no
Centro de Vigilância Sanitária da SES-RJ de 1998 a
2006.

Proteção da Saúde como dever
constitucional

Segurança: eventos adversos

Acesso aos medicamentos

Desabastecimento

**Proteção à saúde no Brasil:
o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária**

Health protection in Brazil:
the National Sanitary Surveillance System

Marismary Horsth De Seta ¹
Catia Veronica dos Santos Oliveira ¹
Vera Lúcia Edais Pepe ¹

Seta, M. H. D., Oliveira, C. V. dos S., & Pepe, V. L. E.. (2017). Proteção à saúde no Brasil: o Sistema Nacional de Vigilância Sanitária. *Ciência & Saúde Coletiva*, 22(10), 3225–3234. <https://doi.org/10.1590/1413-812320172210.16672017>

Desafio: Articulação e Fortalecimento do SNVS

COMMENT

Precision medicine and the changing role of regulatory agencies

Alasdair Breckenridge, Hans-Georg Eichler and Jonathan P. Jarow

The growth of precision medicine presents challenges for the regulators of medicines, related to aspects that include the basis of evidence generation, patient involvement in the regulatory process, cost of new medicines and the need for new regulatory models. It also raises questions about the tolerance of risk, especially with early interventions for life-threatening diseases.

A key role of agencies that regulate medicines is to decide whether scientific and manufacturing data submitted by the sponsors of a therapeutic product are valid and, if so, whether the clinical benefits of the product outweigh its risks in the intended population. Historically, such benefit–risk assessments and marketing authorization decisions have been population based rather than individual based — in contrast to the decisions made by physicians, who aim to treat each patient as an individual, albeit often informed by the same evidence generated in

guide the choice of antibiotic to be used in treatment. Today, forms of cancer and rare diseases (such as cystic fibrosis) are at the forefront of considerable efforts to extend the precision medicine approach. Interestingly, in a growing number of instances, ‘precision’ may apply to multiple targets being addressed simultaneously or sequentially, such as BRAF and MEK1/2, or programmed cell death protein 1 (PD1) and cytotoxic T lymphocyte-associated protein 4 (CTLA4), in the treatment of melanoma.

Breckenridge A, Eichler HG, Jarow JP. Precision medicine and the changing role of regulatory agencies. *Nat Rev Drug Discov.* 2016 Dec;15(12):805-806. doi: 10.1038/nrd.2016.206. Epub 2016 Oct 14. PMID: 27739512

1

**Geração
de
Evidências**

2

**Inclusão
dos
Pacientes
na
decisão**

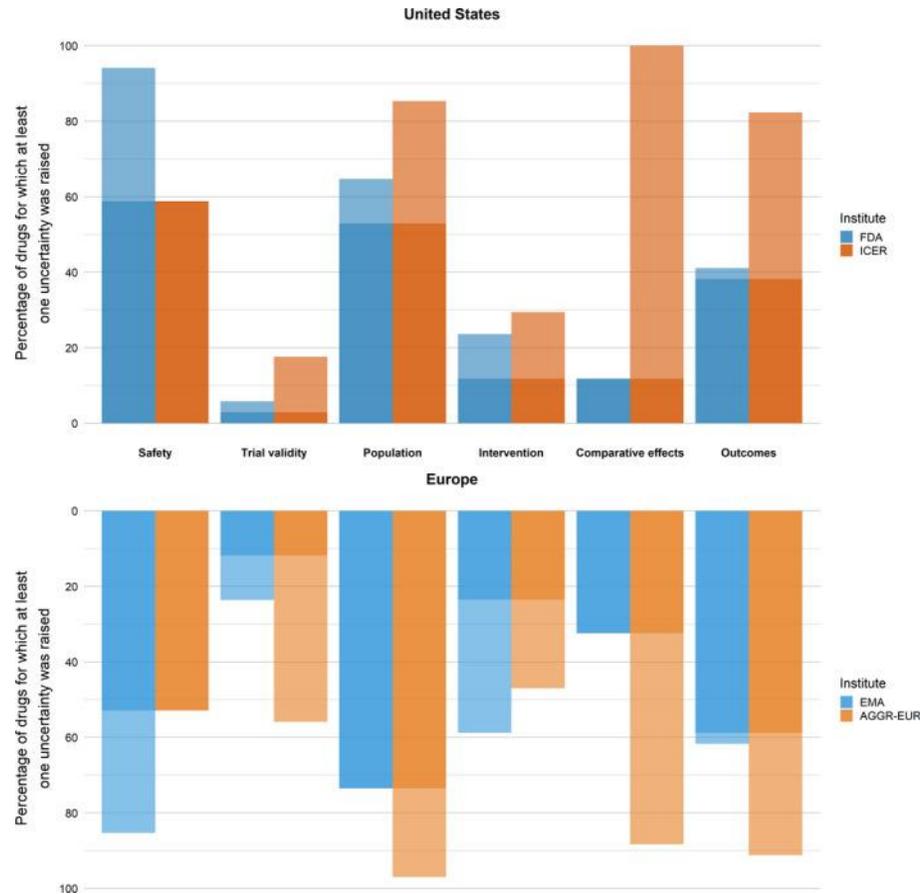
3

**Custo
dos
medicamentos**

Desafios:

Articulação com as demais demais agências reguladoras
(atuação global com o olhar local)
Regulação considerando os usuários
Fortalecimento da Precificação dos Medicamentos

Incertezas sobre evidências nos medicamentos registrados (regulação e HTA/ FDA e EMA)



- (1) 33 medicamentos em 34 indicações terapêuticas
- (2) Cerca de 50% oncológicos ou imunossupressores
- (3) Cerca de 50% teve aprovação acelerada no FDA
- (4) Identificadas 1.121 incertezas, media de 7.4 por medicamento

Vreman et al 2021

This Issue Views **29,009** | Citations **0** | Altmetric **1858**

Original Investigation

April 7, 2024

Clinical Benefit and Regulatory Outcomes of Cancer Drugs Receiving Accelerated Approval

Ian T. T. Liu, MD, JD, MPH, MS¹; Aaron S. Kesselheim, MD, JD, MPH¹; Edward R. Scheffer Cliff, MBBS, MPH¹

» [Author Affiliations](#)

JAMA. 2024;331(17):1471-1479. doi:10.1001/jama.2024.2396

- ❖ Coorte de medicamentos cancer com registro acelerado entre 2013 to 2017
- ❖ 41% (19/46) sem melhora de sobrevida global ou da qualidade de vida após 5 anos de follow-up
- ❖ Resultados indisponíveis para 15% (7/46).

Table 2 Initial decisions on cohort marketing applications by the US Food and Drug Administration (FDA) and the European Medicines Agency (EMA)

		Initial EMA outcome, N = 107		
		Approved (98)	Not approved (3)	Withdrawn (6)
Initial FDA outcome, N = 107	Approved (91)	90	1	0
	Not approved (14)	8	2	4
	Withdrawn (2)	0	0	2

Shaded cells indicate concordant outcomes.

Evidências de eficácia, efetividade e segurança pouco robustas
Diferenças na avaliação de eficácia

Table 3 Marketing applications with initial discordant outcomes

Drug	Indication summary	Initial European Medicines Agency (EMA) outcome	Initial US Food and Drug Administration (FDA) outcome
177 Lu-Dota0-Tyr3-octreotate	Gastroentero-pancreatic neuroendocrine tumors (GEP-NETs)	Approved	Not approved
Corifollitropin alfa	Controlled Ovarian Stimulation (COS) or the development of multiple follicles in women participating in an Assisted Reproductive Technology (ART) program	Approved	Not approved
Cangrelor	Reduction of thrombotic cardiovascular events (MI, stent thrombosis) in patients undergoing percutaneous coronary intervention (PCI)	Approved	Not approved
Daclatasvir	Chronic hepatitis C (CHC) infection	Approved	Not approved
Empagliflozin	Improvement of glycemic control in Type 2 diabetes mellitus	Approved	Not approved
Etelcalcetide	Treatment of secondary hyperparathyroidism (SHPT) in patients with chronic kidney disease on haemodialysis	Approved	Not approved
Safinamide mesylate	Fluctuating Parkinson's Disease	Approved	Not approved
Sarilumab	Moderate-severe rheumatoid arthritis	Approved	Not approved
Ixazomib	Multiple myeloma	Not approved	Approved

Table 4 Final outcomes for resubmitted (FDA) and reexamined (EMA) marketing applications

	Drug	Indication summary	Final Outcome ^a	
			EMA	FDA
Applications reexamined by EMA only ^b	Ataluren	Duchenne's Muscular Dystrophy	Approved	Not approved
	Ixazomib	Multiple myeloma	Approved	Approved
	Serelaxin	Symptoms of acute heart failure	Not approved	Not approved
Applications resubmitted to FDA only ^c	177 Lu-Dota0-Tyr3-octreotate	Gastroentero-pan-creatic neuroendocrine tumors	Approved	Approved
	Cangrelor	Reduction of thrombotic cardiovascular events (MI, stent thrombosis) in patients undergoing percutaneous coronary intervention (PCI)	Approved	Approved
	Daclatasvir	Chronic hepatitis C (CHC) infection	Approved	Approved
	Empagliflozin	Improvement of glycemic control in Type 2 diabetes mellitus	Approved	Approved
	Etelcalcetide	Treatment of secondary hyperparathyroidism (SHPT) in patients with chronic kidney disease on haemodialysis	Approved	Approved
	Safinamide mesylate	Fluctuating Parkinson's Disease	Approved	Approved
	Sarilumab	Moderate-severe rheumatoid arthritis	Approved	Approved
	Drisapersen	Duchenne's Muscular Dystrophy	Withdrawn	Withdrawn

EMA, European Medicines Agency; FDA, US Food and Drug Administration; MI, myocardial infarction.

^bIf an application was *not* resubmitted/reexamined by an agency, the initial outcome was also considered to be the final outcome. ^cThe three applications reexamined by the EMA were either initially approved by the FDA and therefore were not resubmitted to the FDA (ixazomib) or initially rejected by the FDA and not resubmitted (ataluren and serelaxin). ^dThe applications resubmitted to the FDA were all initially approved by the EMA, with one exception, and therefore were not reexamined by the EMA.



EMA confirms recommendation for non-renewal of authorisation of Duchenne muscular dystrophy medicine Translarna

26 January 2024

Following re-examination, EMA's human medicines committee (CHMP) has confirmed its initial recommendation to not renew the conditional marketing authorisation for Translarna (ataluren).

News Human Medicines

2024

Publicado em 06/06/2022 11h35 | Atualizado em 17/05/2024 14h06

Compartilhe: f X in @

1. Orçamento anual - 2024

Ação	Título	Dotação Inicial	Dotação Suplementar	Dotação Cancelada e Remanejada	Dotação Atualizada
8758	Aperfeiçoamento, Avaliação e Desenvolvimento de Ações e Serviços Especializados em Oncologia - INCA	430.726.560,00	0	0	0
125H	Construção do Complexo Integrado do Instituto Nacional de Câncer - INCA	186.742.361,00	0	0	0
4572	Capacitação de Servidores Públicos Federais em Processo de Qualificação e Requalificação	80.000,00	0	0	0
212B	Benefícios Obrigatórios aos Servidores Civis, Empregados, Militares e seus Dependentes	125.000,00	0	0	0
TOTAL		617.673.921,00	0	0	0

*Dotação estimada com base no montante de recursos previstos mediante descentralização do crédito orçamentário por parte da unidade responsável pela ação

Kashok et al, 2020. [A Comparison of EMA and FDA Decisions for New Drug Marketing Applications 2014–2016: Concordance, Discordance, and Why \(wiley.com\)](https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/jcmm.12444)

Diferentes efeitos da regulação nos
sistemas de saúde
Brasil: acesso e judicialização

NICE's evaluations of medicines authorized by EMA with conditional marketing authorization or under exceptional circumstances

Pilar Pinilla-Dominguez¹ , Huseyin Naci², Leeza Osipenko² and Elias Mossialos²

¹Scientific Advice, National Institute for Health and Care Excellence (NICE), London, UK and ²LSE Health, Department of Health Policy, London School of Economics and Political Science, London, UK

Objectives. To investigate the impact of the uncertainty stemming from products with European conditional marketing authorization (CMA) or authorization in exceptional circumstances (AEC) on the National Institute for Health and Care Excellence's (NICE) recommendations.

Methods. Products which received CMA/AEC by European Medicines Agency (EMA) up to 1 December 2016 were identified and matched with corresponding NICE decisions issued by August 2017, the status of which was then traced to August 2019. We assessed whether the conversion of CMA to full marketing authorization triggered a review of a NICE decision. The odds of a recommendation carrying a commercial arrangement for products with and without CMA/AEC were calculated.

Results. Fifty-four products were granted CMA/AEC by EMA. NICE conducted thirty evaluations of products with CMA/AEC. Twelve products were recommended by NICE by August 2017 and fourteen by August 2019. All recommendations had an associated commercial arrangement. The odds of carrying a commercial arrangement were higher for products with CMA/AEC compared to those with full authorization. Conversions from conditional to full authorization among products not recommended by NICE did not trigger an appraisal review.

Conclusions. Uncertainty, stemming from the lack of robust clinical data of products authorized with CMA/AEC, has a substantial impact on HTA recommendations, frequently requiring risk mitigation mechanisms such as commercial and data collection arrangements. Further analyses should be conducted to assess whether the benefits of early access strategies outweigh the risks for patients and the healthcare system.

Commentary

BMJ Global Health

Ultraexpensive gene therapies, industry interests and the right to health: the case of onasemnogene abeparvovec in Brazil

Adriana Mitsue Ivama-Brummell ^{1,2}, Anita K Wagner,³ Vera Lúcia Edais Pepe,⁴ Huseyin Naci²

Diferentes estratégias de (não) comercialização

Rev Saude Pública. 2020;54:22

Artigo Original

RSP

Revista de
Saúde Pública

<http://www.rsp.fsp.usp.br/>

O caso do eculizumabe: judicialização e compras pelo Ministério da Saúde

Rosângela Caetano¹ , Paulo Henrique Almeida Rodrigues¹ , Marilena C Villela Corrêa^{II} , Pedro Villardi^{III} , Claudia Garcia Serpa Osorio-de-Castro^{III} 

^I Universidade do Estado do Rio de Janeiro. Instituto de Medicina Social. Departamento de Política, Planejamento e Administração em Saúde. Rio de Janeiro, RJ, Brasil

^{II} Universidade do Estado do Rio de Janeiro. Instituto de Medicina Social. Departamento de Políticas e Instituições de Saúde. Rio de Janeiro, RJ, Brasil

^{III} Fundação Oswaldo Cruz, Escola Nacional de Saúde Pública Sergio Arouca. Departamento de Política de Medicamentos e Assistência Farmacêutica. Rio de Janeiro, RJ, Brasil

Drug Safety

<https://doi.org/10.1007/s40264-023-01386-1>

LEADING ARTICLE



The Critical Intersect of Regulations, Health Technology Assessment, and Drug Safety Assessments

Wen-Wen Yang^{1,2}  · Yi-Chen Juan³  · Grace Hui-Min Wu^{2,4}  · Raoh-Fang Pwu^{1,2,5} 

Accepted: 22 November 2023

© The Author(s), under exclusive licence to Springer Nature Switzerland AG 2023

Abstract

[The Critical Intersect of Regulations, Health Technology Assessment, and Drug Safety Assessments - PubMed \(nih.gov\)](#)

Key Points

Key features and functional roles of the regulation and health technology assessment (HTA) in the lifecycle of health technologies are compared.

The use of real-world data and real-world evidence provides opportunities to mitigate uncertainties related to the effectiveness and safety of health technologies stemming from accelerated approval and early access.

Early dialogue and collaboration between regulators and HTA agencies to align data requirements can enhance the efficiency and effectiveness of data collection and analysis.

Desafios:

Articulação especialmente com órgão de ATS (CONITEC e ANS) e com o MS (DJUD/SE, SAES) para geração de evidências pós comercialização

Obrigada

THANK YOU

GRACIAS
ARIGATO
SHUKURIA

TASHAKKUR ATU
SUKSAMA
EKHMET

GRAZIE
MEHRBANI
PALDES

BOLZIN
MERCİ

DANKSCHEEN
YACHANYELAY
TINGKI
BIYAI
SHUKRIA
JUSPAXAR
GOZAMASHITA
E'CHARISTO
KOMAP-SUMIDA
MAAKI