



Curitiba e Rio de Janeiro, 06 de fevereiro de 2023.

Exma. Sra. Ministra da Saúde
Dra. Nisia Trindade Lima

Assunto: Acesso a Medicamentos Essenciais para Fibrose Cística

Nós da **ABRAM - Associação Brasileira de Assistência à Mucoviscidose**, e do **GTPI – Grupo de Trabalho sobre Propriedade Intelectual**, organizações sem fins lucrativos que lutam para implementação de um tratamento adequado aos pacientes de fibrose cística brasileiros e para diminuição dos impactos negativos das patentes sobre políticas públicas de saúde, em conjunto com as outras organizações abaixo assinadas, pedimos uma ação urgente do Governo Federal brasileiro, que garanta a todas as crianças e jovens com fibrose cística o direito de respirar sem sofrimento.

O ano de 2023 pode ser um marco na vida de todos os pacientes de fibrose cística brasileiros, caso o Governo faça uso de flexibilidades de saúde pública para tornar o tratamento acessível de forma universal e sustentável no Sistema Único de Saúde (SUS).

A fibrose cística, conhecida também como mucoviscidose, é uma **doença rara, genética, grave, progressiva, letal e ainda sem cura**, caracterizada por mutações no gene CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator), responsável pela regulação de cloreto e do bicarbonato entre os meios intracelular e extracelular das células das glândulas mucosas. A expressão defeituosa dessa proteína provoca a disfunção de vários órgãos, como pâncreas, intestino e pulmões, em razão da desidratação e aumento da viscosidade das secreções.

É uma das doenças de rastreamento obrigatório pelo teste de triagem neonatal, através da dosagem do tripsinogênio imunorreativo. **No Brasil é a doença genética grave mais comum da infância.**



A fibrose cística apresenta um índice de mortalidade bastante elevado. O Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) agrega uma base de dados proveniente da atuação de profissionais de saúde de mais de 50 Centros de Referência do SUS distribuídos pelo país, e abrange dados de tratamento e evolução da doença, um projeto do Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística (GBEFC). [Os dados de 2020 indicam 6.112 pacientes registrados na plataforma, 74% deles menores de 18 anos.](#) A mediana de idade dos pacientes (vivos) não muda de forma significativa desde 2009, **aproximadamente metade dos pacientes morre antes dos 18 anos.**

No âmbito do SUS, o Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da fibrose cística, atualizado em 2022, aborda prevalentemente o tratamento para as manifestações pulmonares e a insuficiência pancreática, ou seja, foca no controle das *consequências* da doença. Exatamente porque o rol é pouco abrangente no trato de uma doença de acometimento multissistêmico, diversos Termos de Ajustamento de Condutas e Ações Cíveis Públicas culminaram com o oferecimento de um rol mais extenso de medicações.

A partir de 2012 foi desenvolvida uma nova geração de medicamentos, **drogas moduladoras da função da CFTR (orkambi, kalydeco, symdeco e trikafta)**, destinadas ao tratamento de longo prazo. São as únicas que fazem a proteína CFTR funcionar, tratando o defeito básico da FC. Como sua utilização corrige o transporte de cloreto na membrana celular, interrompe-se o ciclo de obstrução / inflamação / infecção que leva à deterioração pulmonar progressiva e ao óbito dos pacientes. Cada um atua a partir de mutações específicas, discriminadas nos respectivos registros.

Todas as quatro estão registradas na Anvisa. O ivacaftor (Kalydeco), que alcança aproximadamente 60 pacientes elegíveis no Brasil, foi incorporado ao SUS em dezembro de 2019 e está previsto no PCDT. Infelizmente **o alto preço do tratamento anual impossibilitou a incorporação** do lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) e do ivacaftor/tezacaftor (Symdeco) no SUS (respectivamente, R\$ 604.711,90 e R\$ 617.519,14).

O ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor (trikafta) foi aprovado pela Anvisa no primeiro semestre de 2022 e, em janeiro de 2023, a farmacêutica Vertex, empresa que comercializa todos estes medicamentos e combinações, submeteu o medicamento para avaliação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec).



O preço inicialmente proposto para o tratamento anual é de R\$ 888.174,43 (valor de 13 caixas da medicação, PMVG sem impostos).

A combinação **ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor (trikafta)** é mais eficaz e abrange o maior número de pacientes brasileiro. De acordo com o REBRAFC, poderia ser indicado para aproximadamente 2.800 pacientes brasileiros. **Oferecer esse tratamento de forma universal no SUS custaria, portanto, cerca de R\$ 2,3 bilhões por ano.**

Essencial mencionar que o resultado das mutações dos pacientes consta no REBRAFC, ou seja, é possível saber a totalidade dos pacientes a ser beneficiada por cada corretor/modulador da CFTR, não havendo risco de dispêndio de recursos com pacientes não elegíveis. A Sociedade Brasileira de Pediatria, a [Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia](#) e o [Grupo Brasileiro de Estudos em Fibrose Cística](#) indicaram a prescrição do trikafta.

Em muitos países do mundo, como Estados Unidos e Reino Unido, **os preços cobrados pela Vertex pelos moduladores da proteína CFTR foram considerados excessivos e desproporcionais**, justificados apenas pelo [uso abusivo de uma posição de monopólio](#) por parte da empresa. O Instituto de Análises Clínicas e Econômicas (ICER), por exemplo, [elaborou um relatório em 2020](#) indicando que para chegar num patamar aceitável, o preço cobrado nos EUA deveria cair pelo menos 73%. Além disso, um estudo recente, publicado em 2022, intitulado [“Preços atuais versus custos mínimos de produção para moduladores de CFTR”](#), revelou que os custos de produção (com lucro) do trikafta são estimados em US\$ 5.676 por ano, cerca de 90% menos do que os preços praticados nos EUA.

Na Argentina, a medicação trixacar, comercializada pela Gador, com previsão de estudo de bioequivalência para 2023, é vendida pelo preço anual de R\$260.000,00, ou seja, bem inferior ao preço proposto pela Vertex no processo recentemente iniciado na Conitec.

Por isso, considerando que:

- Milhares de brasileiros e brasileiras, especialmente crianças, estão com a vida ameaçada pelos agravos da Fibrose Cística;
- As tentativas de obter o medicamento trikafta pelas vias judiciais têm tido resultados limitados, situação que tende a piorar caso o medicamento seja rejeitado pela Conitec devido ao seu alto preço;

- O preço injustificadamente alto dos medicamentos representa a principal barreira para que o SUS consiga incorporá-los de forma universal e sustentável;
- As patentes dos medicamentos ora em exame no Brasil criam condições de exclusividade para a empresa Vertex na comercialização destes medicamentos e sustentam suas decisões arbitrárias a respeito do preço;
- Existem versões comercializadas na Argentina com previsão de estudo de bioequivalência para 2023, que permitirá a concorrência como estratégia de redução de preços;
- O Brasil dispõe de legislação que permite o licenciamento compulsório de patentes em prol do interesse público, inclusive com atualizações legislativas recentes que permitem o uso mais efetivo desta medida de saúde pública;
- A nova gestão do Ministério da Saúde tem um compromisso declarado com o fortalecimento do SUS e seus programas de acesso a tratamentos e visa resgatar o protagonismo internacional do Brasil na defesa do direito à saúde;

Pedimos:

1. Que o MINISTÉRIO DA SAÚDE declare o ivacaftor (Kalydeco), lumacaftor/ivacaftor (Orkambi), ivacaftor/tezacaftor (Symdeko) e elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta) de interesse público, tendo em vista o licenciamento compulsório das patentes e pedidos de patente associadas a estes medicamentos e a viabilização de novas opções de abastecimento nacional para acabar de uma vez por todas com a angústia e o sofrimento de todas as pessoas afetadas por essa doença fatal.
2. Que o MINISTERIO DA SAUDE explore a possibilidade de realizar projetos autônomos e/ou parcerias, de forma transparente e com garantias de preços acessíveis, que permitam a produção local destes medicamentos no médio prazo.

Acreditamos que esta solicitação está alinhada com as diretrizes e princípios que pautam essa nova gestão do Ministério da Saúde, em especial o compromisso com a defesa da vida e com a garantia de dignidade, equidade e justiça, conforme expressado no discurso de posse da Exma. Ministra.



Ressaltamos ainda a importância do trabalho colaborativo entre Estado e Sociedade Civil, também destacado nesse discurso de posse. De modo que **gostaríamos de solicitar uma audiência** com a Exma. Ministra, para que possamos apresentar em maior detalhe nossas demandas e porque é necessária a adoção urgente de todas as medidas legais existentes para tornar essas terapias disponíveis e acessíveis para todos e todas que dela possam fazer uso, garantindo assim uma melhor qualidade e expectativa de vida para as crianças, adolescentes e adultos que convivem cotidianamente com a dificuldade de respirar.

Sérgio Sampaio, Presidente da ABRAM - Associação Brasileira de Assistência à Mucoviscidose

Felipe Carvalho Borges da Fonseca, Coordenador do GTPI – Grupo de Trabalho sobre Propriedade Intelectual

Apoiam esta solicitação as organizações abaixo firmantes:

Instituto Brasileiro de Defesa do Consumidor (IDEC)

Sociedade Brasileira de Bioética (SBB)

Fórum Internacional da Rede Unida

Centro Brasileiro de Estudos de Saúde (CEBES)

Associação Brasileira Interdisciplinar de AIDS (ABIA)

Federação Nacional dos Farmacêuticos (FENAFAR)

Universidades Aliadas por Medicamentos Essenciais (UAEM)

Grupo de Incentivo à Vida (GIV)

Grupo Solidariedade é Vida

Internacional de Serviços Públicos – Interamerica (ISP)

Associação Cearense de Assistência à Mucoviscidose (ACEAM)

Associação de Fibrose Cística do Espírito Santo (AFICES)

Associação de Assistência à Mucoviscidose do Mato Grosso (AAMMT)

Associação Paranaense de Assistência à Mucoviscidose (AAMPR)

Associação Carioca de Assistência à Mucoviscidose (ACAM-RJ)

Associação de Apoio a Portadores de Mucoviscidose do Rio Grande do Sul (AMUCORS)

Associação Gaúcha de Assistência à Mucoviscidose (AGAM)



Associação Paulista de Assistência à Mucoviscidose (APAM)
Sociedade de Assistência à Fibrose Cística (FIBROCIS)
Associação Sergipana de Fibrose Cística (Inspira)
Associação Brasileira de Amparo ao Fibrocístico (ABRAFC)
Associação Mineira de Assistência à Mucoviscidose (AMAM)
Associação Paulista de Assistência à Mucoviscidose (APAM)
Associação Catarinense de Assistência ao Mucoviscidótico (ACAM-SC)
Associação Paraense Assistencial à Fibrose Cística (ASPA-FC)
Grupo de Resistência Asa Branca
Associação de Gays e Amigos de Nova Iguaçu e Mesquita (AGANIM-RJ)
Rede Nacional de Pessoas Vivendo com HIV e AIDS - Maranhão (RNP+MA)
Rede Nacional de Pessoas Vivendo com HIV e AIDS - Pernambuco (RNP+PE)
Fórum de ONGs AIDS do Maranhão
Grupo de Apoio à Prevenção da AIDS – Rio Grande do Sul
Rede Jovem Rio