



**DOENÇAS  
RARAS**

Daiichi Sankyo

Tratando a humanidade,  
1 caso por vez.

**Registro e  
precificação de  
medicamentos  
para doenças  
raras**

# Registro e precificação de medicamentos para doenças raras

No Brasil, todo o processo de registro e precificação de medicamentos está sob regulamentação do Ministério da Saúde.

A Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) estabelece a regulamentação para ensaios clínicos, certificação de boas práticas de fabricação e registro de novos medicamentos.<sup>1</sup>

Já a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) estabelece limites para preços de medicamentos, adota regras que estimulam a concorrência no setor, monitora a comercialização e aplica penalidades quando suas regras são descumpridas.<sup>2</sup>

## REGISTRO

O registro é um requisito obrigatório no Brasil para garantir a qualidade, a segurança e a eficácia do medicamento. Entre os requisitos para o registro, os requerentes devem apresentar o plano de desenvolvimento clínico.<sup>3</sup>

No caso específico das doenças raras, ou seja, aquelas que afetam até 65 a cada 100 mil pessoas, a Anvisa aprimorou o processo para o registro de medicamentos com a publicação da Resolução da Diretoria Colegiada (RDC) nº 205/2017, elaborada com o objetivo de estabelecer procedimentos especiais para o registro de novos medicamentos para essas doenças.<sup>4</sup> Além de tornar a análise mais rápida, essa resolução também previu critérios diferenciados em relação aos procedimentos de registro convencionais, sem comprometer a

segurança, a eficácia e a qualidade da análise.<sup>4</sup> Dessa forma, evidências menos robustas são permitidas para medicamentos destinados a tratar, diagnosticar ou prevenir uma doença rara.<sup>3</sup>

Geralmente, os prazos para análise dos pedidos de registro pela Anvisa são de 365 dias para análises normais e de 120 dias para análises prioritárias.<sup>3</sup>

Geralmente, o registro é válido por 10 anos, exceto para medicamentos com aprovação condicional, como pode ocorrer com a aprovação prioritária de medicamentos para doenças raras.<sup>3</sup>

## PREÇO

No Brasil, os medicamentos só podem ser comercializados após obter o registro da Anvisa e o registro de preço na CMED.

Após a publicação do registro de um medicamento pela Anvisa, o Laboratório Farmacêutico responsável pelo produto deve enviar à CMED um relatório informando o preço pelo qual pretende comercializá-lo. A CMED avalia a solicitação, conforme regras definidas na Resolução CMED nº 02/2004, e em seguida publica o valor máximo que poderá ser praticado. Esse primeiro preço aprovado é denominado de preço de entrada.<sup>5,6</sup> (**Tabela 1**)

Os medicamentos registrados terão prazo de até 365 dias para serem comercializados, contados a partir da data de publicação do registro.<sup>2</sup>

**Tabela 1.** Critérios para estabelecimento do preço de entrada

Classificação	Categoria	Característica do medicamento	Cálculo do preço
Produtos novos	I	Molécula que seja objeto de patente no país e apresente as seguintes características: 1) Maior eficácia em comparação aos medicamentos de mesma indicação. 2) Mesma eficácia e diminuição dos efeitos adversos; 3) Mesma eficácia e redução do custo de tratamento.	O preço não pode ser superior ao menor preço praticado para o mesmo produto nos seguintes países: Austrália, Canadá, Espanha, EUA, França, Grécia, Itália, Nova Zelândia, Portugal e o país de origem do produto.
	II	Produtos novos que não se enquadrem na categoria I	Análise de custo-minimização, tendo como base as opções terapêuticas disponíveis no Brasil. O preço não pode ser superior ao menor preço internacional (países supracitados).
Novas apresentações	III	Nova apresentação de medicamento já comercializado pela empresa na mesma forma farmacêutica.	O preço não pode ser superior à média aritmética dos preços das apresentações com a mesma forma farmacêutica já comercializada pela própria empresa.
	IV	Nova apresentação de medicamento em uma das situações: 1) Medicamento novo na lista dos comercializados pela empresa, exceto se for categoria V; 2) Medicamento comercializado pela empresa em nova forma farmacêutica.	O preço não pode ultrapassar o preço médio das apresentações com o mesmo princípio ativo disponível no mercado, na mesma forma farmacêutica, ponderado pelo faturamento de cada apresentação.
	V	Nova forma farmacêutica no país ou nova associação de princípios ativos já existentes no país	No caso de uma nova associação de monofármacos, o preço da associação não pode ser superior à soma dos preços dos monofármacos.
	VI	Medicamentos genéricos	O preço não pode ser superior a 65% do preço do medicamento de referência correspondente.

Adaptada de: Oliveira NSC, Araújo OS. 2021.<sup>5</sup> Resolução CMED N° 2, de 5 de março de 2004.<sup>6</sup>

## ETAPAS PARA APROVAÇÃO DO MEDICAMENTO PARA DOENÇAS RARAS

Confira abaixo o procedimento para a concessão de registro de medicamentos para doenças raras:



**Referências:** 1. Brasil. Ministério da Saúde. Resolução-RDC n° 205 de 28 de dezembro de 2017. Disponível em: [http://antigo.anvisa.gov.br/documents/10181/3113140/%282%29RDC\\_205\\_2017\\_COMP.pdf/d2aaca4e-13cf-4bb3-b5fe-8314893aa973](http://antigo.anvisa.gov.br/documents/10181/3113140/%282%29RDC_205_2017_COMP.pdf/d2aaca4e-13cf-4bb3-b5fe-8314893aa973). Acesso em: 27 jul. 2023. 2. Brasil. Ministério da Saúde. Resolução-RDC n° 293 de 15 de julho de 2019. Altera a Resolução da Diretoria Colegiada-RDC n° 205, de 28 de dezembro de 2017. Disponível em: [https://www.poderesaude.com.br/novosite/images/OFICIAL\\_17.07.19.pdf](https://www.poderesaude.com.br/novosite/images/OFICIAL_17.07.19.pdf). Acesso em: 23 jul. 2023. 3. Ivama-Brummell AM, Pingret-Kipman D, Louly PG, Andrade RR. Medicines regulation, pricing and reimbursement in Brazil. Rev Bras Farm Hosp Saude. 2022;131:0769. 4. Brasil. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária – Anvisa. Doenças raras: saiba mais sobre o registro de medicamentos. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/noticias-anvisa/2022/doencas-raras-saiba-mais-sobre-o-registro-de-medicamentos>. Acesso em: 27 jul. 2023. 5. Oliveira NSC, Araújo OS. Regulação de preços de medicamentos: o que gestores em saúde precisam saber antes de comprar. 2021. Disponível em: <https://educapes.capes.gov.br/bitstream/capes/598275/2/Cartilha%20informativa%20regula%C3%A7%C3%A3o%20de%20pre%C3%A7os%20de%20medicamentos.pdf>. Acesso em: 2 ago. 2023. 6. Brasil. Câmara de regulação do mercado de medicamentos. Conselho de ministros. Resolução CMED N° 2, de 5 de março de 2004. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/acesso-a-informacao/banco-de-precos/legislacao/resolucao-cmed-no-2-de-5-de-marco-de-2004.pdf>. Acesso em: 2 ago. 2023.

