O que são Medicamentos essenciais?

Medicamentos essenciais são aqueles que satisfazem às necessidades de saúde da maioria da população, a um preço que eles e a comunidade possam pagar; portanto eles deveriam estar disponíveis em todos os momentos, em quantidades adequadas e em formas farmacêuticas apropriadas.

Qual é o processo de seleção dos medicamentos essenciais?

- Eles são selecionados por sua relevância em saúde pública (***Essencialidade***), evidência de eficácia, segurança e custo comparativo. Esta escolha deve ser fortemente orientada pelo paradigma da "***Medicina baseada em evidências***".

O que é a COMARE?

A Comissão Técnica e Multidisciplinar de Atualização da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (COMARE) é uma instância colegiada, de natureza consultiva e educativa, de caráter permanente, vinculada ao Ministério da Saúde.

Qual é seu objetivo?

A COMARE tem por finalidade realizar avaliação sistemática da relação dos medicamentos e demais produtos farmacêuticos constantes da ***Relação Nacional de Medicamentos Essenciais*** (RENAME) e indicar as alterações necessárias.

Qual é impacto potential da RENAME?

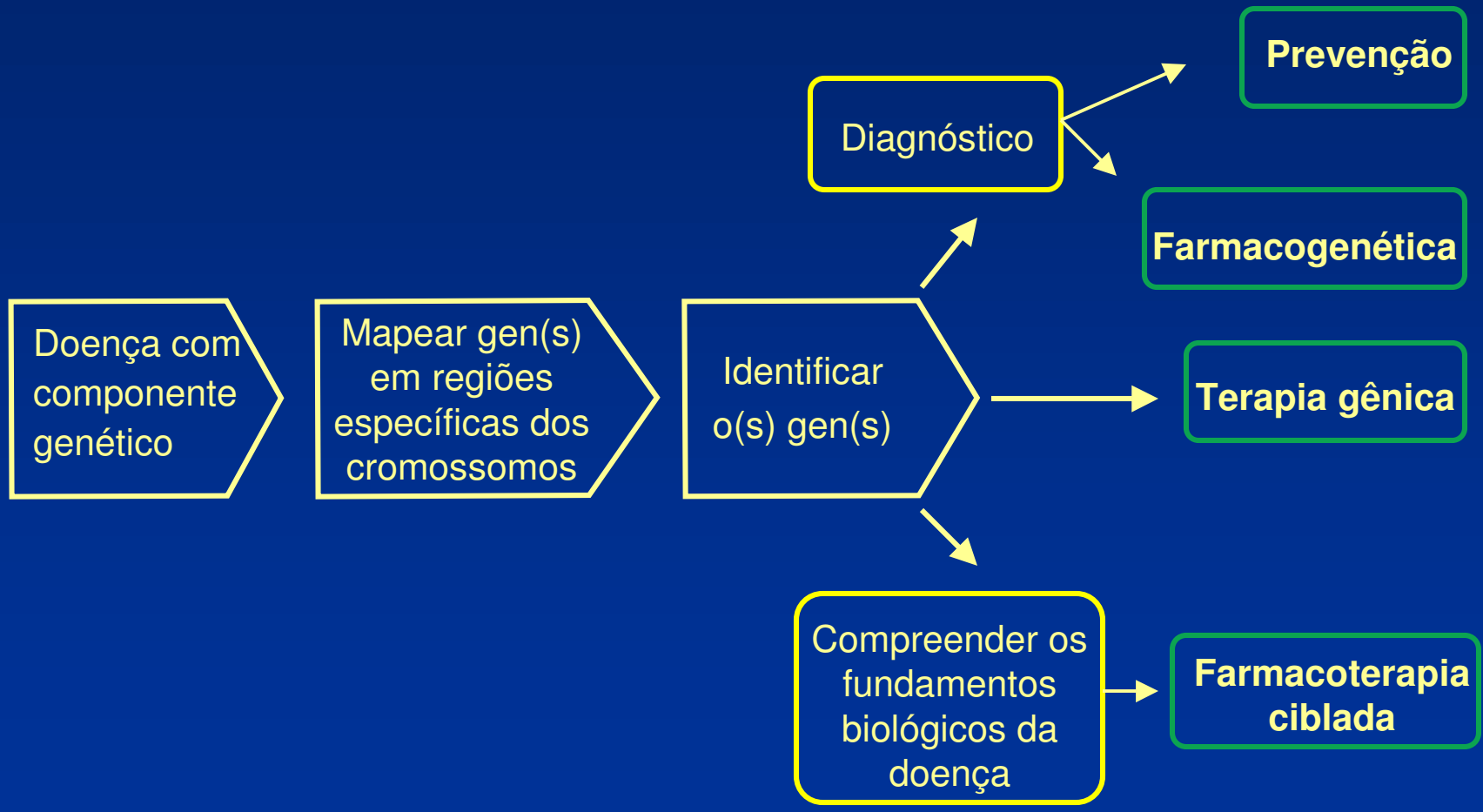
- guia para o suprimento de medicamentos no setor público, o reembolso com gastos de medicamentos pelos seguros de saúde, as doações internacionais de medicamentos e a produção local.

TERAPIAS DO FUTURO ?

- Terapia gênica

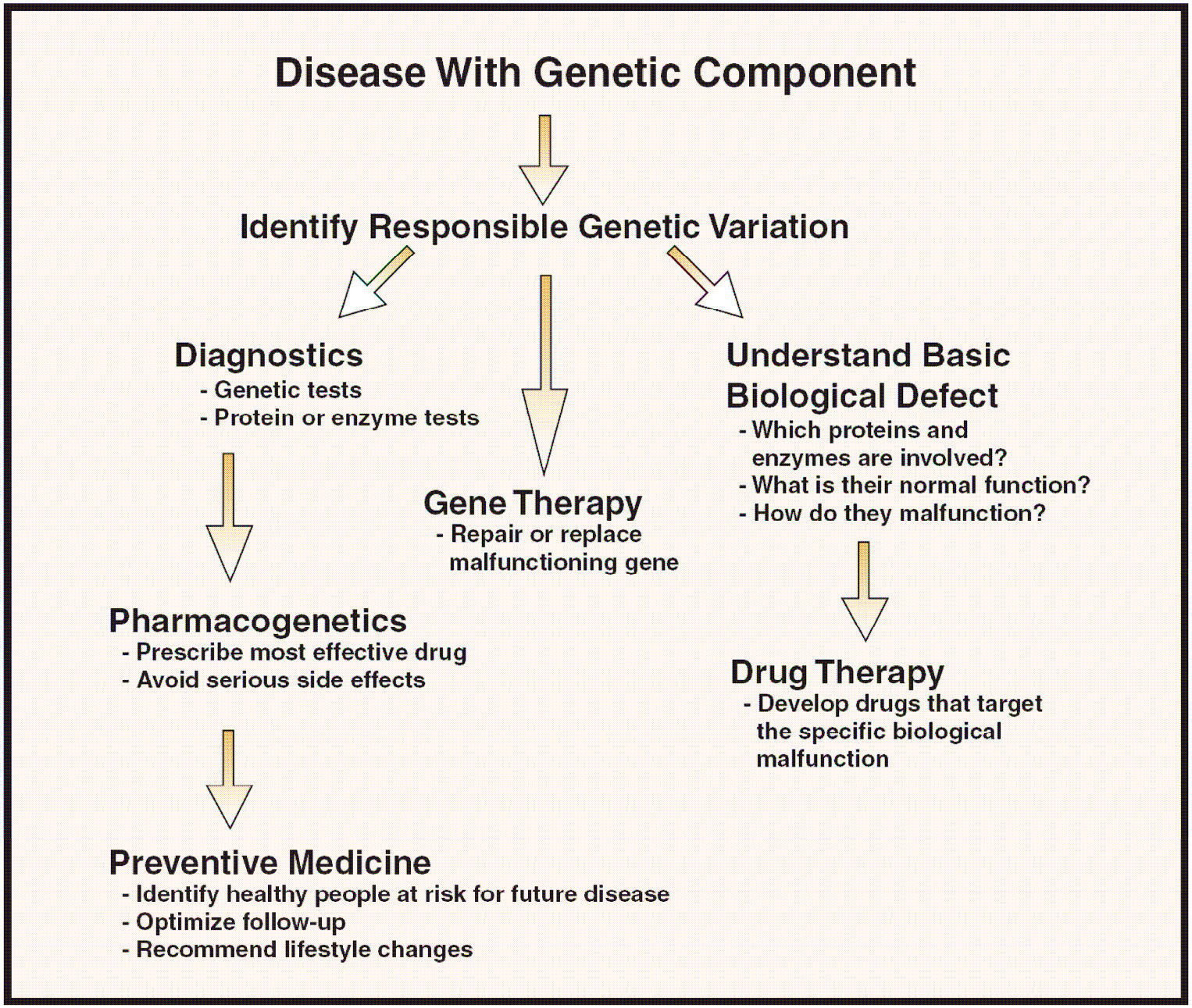
- Terapia celular (células tronco)

GENÉTICA E MEDICINA



JAMA 285: 540-544, 2000

Application of Genetic Research to Medicine



TESTES GENÉTICOS COMUNS

Common Genetic Tests

Disorder	Type of Test	Age Performed or Indication	Approximate # Tests Performed / Prevalence
PKU (Phenylketonuria)	Newborn Screening	Mandated by law in 50 U.S. states	~4 million/year (birthrate in U.S.) / 1:16,250
Biotinidase	Newborn Screening	Mandated in 1/3 of U. S. states	~1–1.5 million/year / 1:105,000
CF (Cystic Fibrosis)	Carrier Screening	Professional guidelines suggest testing for pregnant women (and then partners)	Increasing to million(s)/year / 1:3,300
	Diagnostic Testing	Infancy to childhood after symptoms and routine testing	~ 100–200 new cases per year
Aneuploidy (Down Syndrome)	Prenatal Testing	High risk pregnancies, including maternal age of 35 plus years. Amniocentesis at 15–18 weeks. CVS at 10–12 weeks	~ 0.5 million / 1:504
Fragile X Syndrome	Diagnostic Test	Childhood to adulthood to confirm cause of mental retardation	Proportion tested unknown / ~20, 000 – 30, 000 affected individuals
BRCA1 and BRCA2 (Breast Cancer Genes)	Predispositional Testing	Adolescence through adulthood to determine if genetic predisposition is high in women with positive family history	20–30 labs perform testing. / ~50,000 carry BRCA1 or 2
Hemochromatosis	Diagnostic Test or Newborn Testing	Adolescence or adulthood to confirm symptoms of iron overloading; newborns / children tested if a family member is diagnosed	~12 labs perform testing /1:400

TERAPIA GÊNICA

- Primeiro sucesso (1990): criança com SCID ("*Severe Combined Immuno Deficiency*"), incapaz de produzir Adenosina deaminase < defeito em um gen

- Primeiro fármaco de natureza ác. Nucléico (2003): FORMIVIRSEN (Vitravene®, ISIS): oligonucletotídeo antisense para inibir um virus (*cytomegalovirus retinitis*)

(Nature/ Drug Discovery 2: 833-837, 2003)

ENGENHARIA GENÉTICA E PRODUÇÃO DE BIOFÁRMACOS

- Técnicas

Produção de uma proteína por:

- *leveduras*
- *células humanas em cultura*
- *ovelhas transgênicas (leite)*

- Primeira: insulina humana (1982)

TIPS 18: 218, 1997

Biomoléculas: novos fármacos

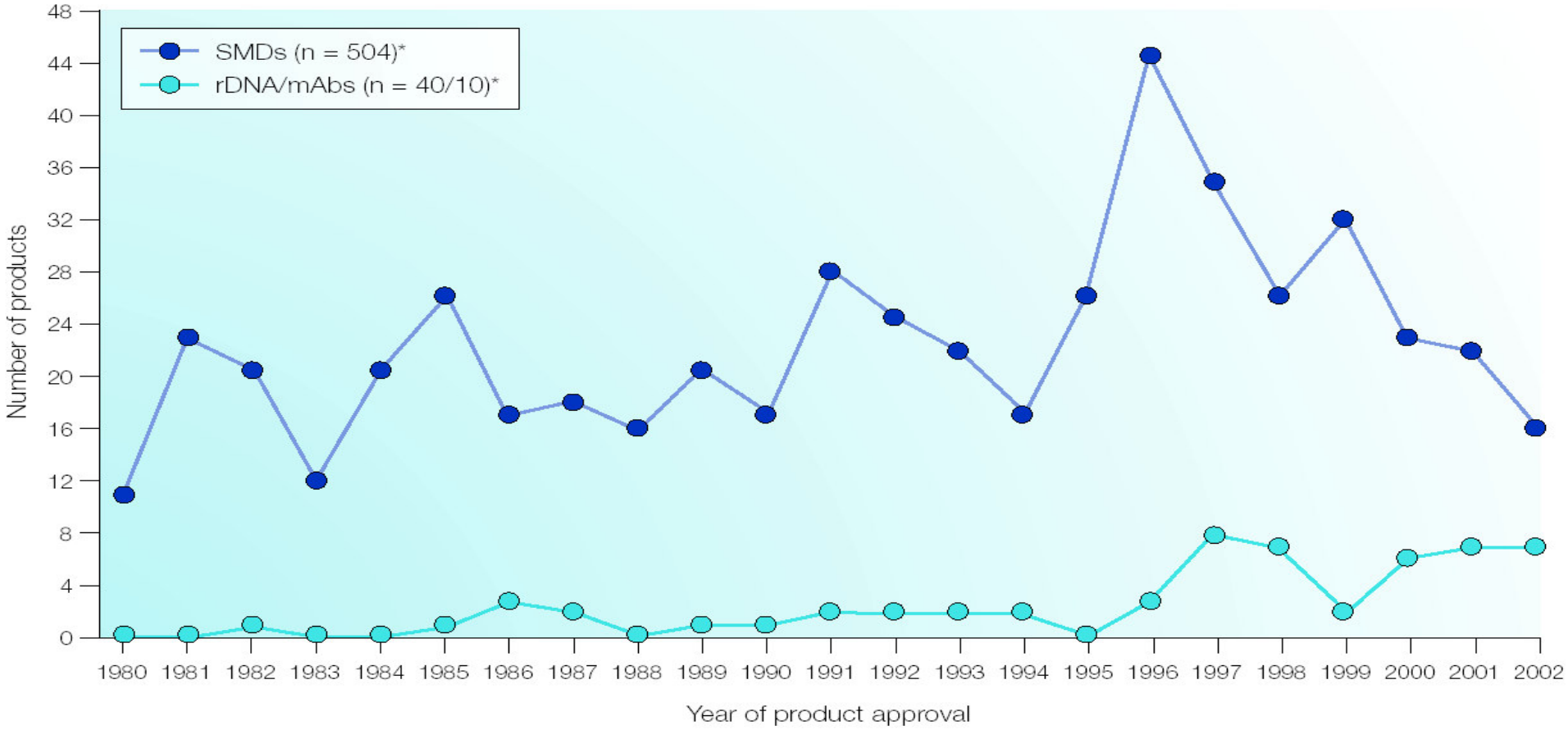


Figure 1 | **Number of small-molecule drugs, recombinant proteins and monoclonal antibody therapeutics approved in the United States during 1980–2001.** *Total number of each product type approved during 1980–2001. mAb, monoclonal antibody; rDNA, recombinant protein; SMD, small-molecule drug.

Nature Rev. Drug Disc 2: 695, 2003

BIOFÁRMACOS

TABLE 2

Best-selling biotechnology therapeutic proteins 2002–2004

Product Trade (Generic) name	Company	Sales figures for 2002 (US$ billion)	Sales figures for 2003 (US$ billion)	Sales figures for 2004 (US$ billion)
Epogen, Procrit, Eprex, Epogin, NeoRecormon and Aranesp (α- and β-erythropoietin)	Amgen, J&J, Roche, Kirin and Sankyo	8.60	10.30	11.80
PEG Intron, Pegasys, Avonex, Rebif and Betaseron (α- and β-interferon)	Schering Plough, Roche, Biogen IDEC, Serono, Schering AG and Chiron	5.60	5.20	6.80
Novulin, Humalin and Humalog (human insulin)	Novo Nordisk and Eli-Lilly	4.20	4.60	5.60
Neupogen and Neulasta (G-CSF)	Amgen, Roche and Schering	1.50	2.70	3.00
Rituxan (Rituximab)	Roche	1.10	2.20	2.80
Enbrel (Etanercept)	Amgen and Wyeth	0.80	1.30	2.60
Remicade (Infliximab)	J&J	1.30	1.70	2.10
Saizen, Humatrope, Protopin and Neutropin (human growth hormone)	Serono, Biogen IDEC, Roche, Novo Nordisk, Akzo Nobel and Eli-Lilly	1.20	1.60	1.80
Herceptin (Trastuzumab)	Roche	0.80	1.00	1.80
Synagis (Palivizumab)	MedImmune	0.67	0.85	0.95

In 2004, 197 marketed biotechnology products generated US$55 billion. There are 100 biotechnology products in advanced stages of development and waiting for regulatory approvals and 800 are in clinical trials. The Table lists the top ten products that account for 69% of global biotechnology product sales.

DDT 10: 739, 2005

ENGENHARIA GENÉTICA E DESCOBERTA DE FÁRMACOS

- Os 100 fármacos mais vendidos modulam 43 alvos moleculares (50% total)
- Para 34 destes 43 alvos foram criados camundongos K.O.
- Destes 34, 29 resultaram em informações sobre função de gen e utilidade farmacêutica e permitiram, na maioria dos casos, estabelecer uma correlação entre fenótipo e efeito terapêutico do fármaco.

Técnica	Vantagens	Desvantagens	Pesquisa
KO	Anulação da expressão de 1 gen	Cara e laboriosa	Função de receptor
Transgénico	Mais fácil	Superexpressão de 1 gen	Receptores ativos constitutivamente
Knock-down antisense	Mais barata Qualquer espécie	Diminuição da expressão Técnica Delivery	

TIPS 18: 218, 1997