

24. Necessidade médica não atendida (*unmet medical need*)

François Noël, setembro 2021

(Revisado pela Dra. Claudia Garcia Serpa Osorio de Castro, ENSP-FIOCRUZ)

Em projeto de [descoberta e desenvolvimento de fármacos](#) uma das estratégias clássicas é focar em áreas de alta necessidade médica não atendida (Vennemann e cols., 2019). Apesar de aparentemente autoexplicativo, este termo precisa ser definido de forma objetiva e pragmática, já que a classificação de um fármaco nesta condição pode trazer benefícios mercadológicos e até regulatórios para a indústria farmacêutica.

Do ponto de vista regulatório, uma necessidade médica não atendida é definida como sendo “*uma condição cujo tratamento ou diagnóstico não é tratado de forma adequada pela terapia disponível*” (FDA, 2014; EMA, 2006). A FDA fornece alguma explicação adicional ao indicar que este termo inclui uma necessidade imediata de uma **população definida** (para tratar uma **condição grave** sem tratamento ou com tratamento limitado), ou uma **necessidade de longo prazo para a sociedade**, como no caso de resistência a fármacos antibacterianos (FDA, 2014). Mesmo assim, faltam critérios objetivos, sobretudo quantitativos, para delimitar o que seria um tratamento “adequado”. Apesar desta carência, este termo é muito usado formalmente e informalmente por diferentes agentes do setor de saúde, quer seja a indústria farmacêutica (tanto na fase inicial de planejamento de novos projetos de descoberta de fármacos como na avaliação de portfólio), as agências reguladoras ou os organismos de saúde públicos e privados, sem haver clareza quanto à definição em uso (Vennemann e cols., 2019).

Ao tentar achar uma definição comum e pesquisar a percepção que as diferentes partes interessadas tinham sobre o tema, Vreman e cols. (2019) reportaram 16 definições diferentes para o termo “necessidade médica não atendida”. Em função do levantamento realizado, os autores consideram que os seguintes três elementos deveriam ser considerados na hora de definir (e “classificar”) uma necessidade médica não atendida: 1. Disponibilidade de tratamentos alternativos; 2. Gravidade da doença; e 3. População acometida pela doença.

O maior desafio parece residir na quantificação e na aplicação deste conceito dentro da estrutura de valor mais ampla que cada parte interessada tem em função da sua área de atuação (Vreman e cols., 2019). Nota-se que a mesma falta de consenso ocorre na literatura científica em áreas como oncologia, por exemplo, havendo apelo para padronização desta terminologia (Lu e col., 2017).

De forma mais objetiva, Scavone e cols. (2019) apresentam uma série de enfermidades que podem, eventual e contextualmente, apresentar necessidades não atendidas, classificadas por área. Como exemplo, os autores citam: asma, doença

pulmonar obstrutiva crônica, retinopatia diabética, resistência a multifármacos, tuberculose, osteoporose, doença de Alzheimer, Parkinson.

Toda esta discussão terminológica é importante já que o fato de atender uma necessidade médica não atendida tornou-se um critério de eleição para poder usufruir de acesso preferencial a financiamento público, incentivos financeiros na fase de reembolso ou vantagens regulatórias (Zhang e cols., 2021). No caso da FDA, quatro programas “acelerados” visam facilitar e agilizar o desenvolvimento e a revisão de novos medicamentos que se propõem atender a uma necessidade médica não atendida no tratamento de uma condição grave: “*fast track designation, breakthrough therapy designation, accelerated approval, and priority review designation*” (FDA, 2014). No Brasil, a [RDC 204](#) estabelece um procedimento de análise mais rápida (até 120 dias) para registro de medicamentos enquadrados como prioritários, que pertencem a uma das seis categorias definidas no artigo 3 da RDC, sem haver menção explícita do termo “necessidade médica não atendida”:

- (a) medicamento utilizado para doença negligenciada, emergente ou re-emergente, para emergências em saúde pública ou condições graves debilitantes, nas situações em que não houver alternativa terapêutica disponível ou quando apresentar uma melhora significativa de segurança, eficácia ou adesão ao tratamento;
- (b) medicamento novo, nova forma farmacêutica, nova indicação terapêutica ou nova concentração destinados à população pediátrica;
- (c) vacinas ou soros hiperimunes a serem incorporados no Programa Nacional de Imunização do Ministério da Saúde;
- (d) medicamento inovador ou novo, para insumo farmacêutico ativo fabricado no País;
- (e) as três (3) primeiras petições de medicamento genérico inédito para cada insumo farmacêutico ativo ou associação e forma farmacêutica, de grupos econômicos distintos;
- (f) medicamento integrante da lista de produtos estratégicos, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS que seja objeto de Parceria de Desenvolvimento Produtivo (PDP), mediante a submissão inicial completa de todos os documentos e estudos previstos na regulamentação vigente.

Dentro do planejamento de novo projeto de descoberta e desenvolvimento de fármaco, há de se preocupar com o mais recente conceito de “futura necessidade médica não atendida”, ou seja, a necessidade médica não atendida quando o novo produto chegar ao mercado (Venneman e cols., 2019). De fato, entre o momento da decisão estratégica inicial em elaborar o projeto de um novo fármaco até sua chegada ao mercado, pode haver evolução do padrão de atendimento (*‘standard of care’*), por exemplo, em função da disponibilidade de produto de empresa concorrente recém-aprovado para esta doença. Assim, a nova necessidade médica não atendida e a extensão em que ela poderá ser atendida pelo novo produto impactam

significativamente o seu valor tanto para o paciente quanto para a empresa farmacêutica envolvida.

Para finalizar, é importante salientar a diferença entre os conceitos de necessidade médica não atendida e de essencialidade. O conceito de essencialidade, que norteou o estabelecimento de uma lista de medicamentos essenciais pela OMS em 1977, é uma ferramenta útil para os gestores da política de saúde de um país (Laing e cols., 2003). Segundo a primeira definição da OMS, medicamentos essenciais cobrem os três níveis de complexidade, sendo “de extrema importância, básicos, indispensáveis e necessários para saúde e necessidade da população” e para os quais critérios de segurança, qualidade, eficácia e custo total foram definidos (Laing e cols., 2003). Esta lista da OMS influencia e norteia a lista que cada país pode estabelecer em função das suas características. O Brasil possui, desde 1964, uma lista de medicamentos ditos essenciais (RElação NAcional de MEdicamentos essenciais; RENAME). Nota-se que esta lista deixou o critério de essencialidade ao longo do tempo e hoje é uma lista de financiamento do SUS (Osorio-de-Castro e cols., 2017). Por outro lado, já que a identificação de uma necessidade médica específica como "não atendida" tem como objetivo incentivar a inovação nessa área, é óbvio que deveria haver entendimento por parte dos governos e das agências reguladoras no sentido de incluir a essencialidade como propriedade chave das necessidades médicas não atendidas.

Referências

Laing R, Waning B, Gray A, Ford N, t Hoen E. 25 years of the WHO essential medicines lists: progress and challenges. *Lancet* 361(9370):1723-1729, 2003.

Lu E, Shatzel J, Shin F, Prasad V. What constitutes an “unmet medical need” in oncology? An empirical evaluation of author usage in the biomedical literature. *Semin. Oncol.* 44(1):8–12, 2017.

Osorio-de-Castro CGS, Azeredo TB, Pepe VLE, Lopes LC, Yamauti S, Godman B, Gustafsson LL. Policy change and the National Essential Medicines List development process in Brazil between 2000 and 2014: has the Essential Medicine concept been abandoned? *Basic Clin. Pharmacol. Toxicol.* 1:1-11, 2017.

Scavone C, di Mauro G, Mascolo A, Berrino L, Rossi F, Capuano A. The New Paradigms in Clinical Research: From Early Access Programs to the Novel Therapeutic Approaches for Unmet Medical Needs. *Front. Pharmacol.* 10:111, 2019.

Vennemann M, Ruland V, Kruse JP, Harloff C, Trübel H, Gielen-Haertwig H. Future unmet medical need as a guiding principle for pharmaceutical R&D. *Drug Discov. Today* 24(9):1924-1929, 2019.

Vreman R. A., Heikkinen I., Schuurman A., Sapede C., Garcia J. L., Hedberg N., et al. Unmet Medical Need: An Introduction to Definitions and Stakeholder perceptions. *Value Health* 22(11):1275–1282, 2019.

Zhang K, Kumar G, Skedgel C. Towards a new understanding of the unmet medical need. *Appl. Health Econ. Health Policy*, 2021.