



GRUPO PARLAMENTAR

## PROJETO DE RESOLUÇÃO Nº 1115/XIV/2ª

Pela disponibilização atempada do tratamento mais adequado aos doentes com Fibrose Quística

### EXPOSIÇÃO DE MOTIVOS

A Fibrose Quística (FQ) é uma doença autossómica, recessiva, que resulta da mutação de um gene localizado no cromossoma 7, que codifica a síntese da proteína transmembranar, a Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator (CFTR) com funções de canal de cloreto. Assume-se que o defeito reside na alteração da secreção pelo epitélio respiratório de iões cloreto, acrescido do aumento da absorção do sódio a nível do lúmen das vias aéreas e aumento da concentração de cloro no suor. O resultado é a desidratação das secreções e o aumento da sua viscosidade, favorecendo a obstrução dos canais das glândulas exócrinas. Estão descritas cerca de 2000 variantes genéticas associadas a esta doença, sendo a mutação F508 a mais frequente. Em Portugal a incidência estimada desta doença é de 1/7000 nascimentos versus 1/2500 nascimentos ocorridos nos restantes países europeus.

A doença da FQ é incurável e afeta, atualmente, cerca de 400 portugueses. O tempo de vida dos doentes depende dos tratamentos que lhes forem administrados, os quais servem para minorar os efeitos da doença, ajudando-os a ter uma melhor qualidade de vida.

As manifestações da doença ocorrem com um espectro de apresentações clínicas muito variado tais como: doença pulmonar crónica (infecções pulmonares recorrentes com destruição do parênquima pulmonar), insuficiência pancreática exócrinas, diabetes mellitus entre outras. Apesar das manifestações clínicas



GRUPO PARLAMENTAR

ocorrerem em diversos órgãos, as alterações pulmonares são responsáveis por 90% da morbimortalidade ocorrida na FQ e é a doença pulmonar que determina o prognóstico e a sobrevida do doente.

A sobrevivência e a qualidade de vida dos doentes com FQ melhoraram substancialmente nos últimos anos, estimando-se que a sobrevida média é de 30,7 anos de acordo com a norma da DGS – Diagnóstico da Fibrose Quística em Idade Pediátrica e no Adulto. Estes ganhos são resultado de um diagnóstico precoce e devido ao aparecimento de novos fármacos. Nos últimos cinco anos surgiram diversas terapêuticas moduladoras, as quais permitem a possibilidade de alterar o curso e a história natural da doença.

Os primeiros medicamentos surgiram em 2015, mas, lamentavelmente, o processo de aprovação em Portugal, para muito deles, está pendente até hoje (Kalydeco e Orkambi – aguardavam autorização do INFARMED desde 2016, autorizado em fevereiro de 2021; Symkevi aguarda autorização desde 2019).

Só para quem tem a doença em estado muito avançado e grave é que existem autorizações de utilização especial. Mesmo com estas autorizações, os medicamentos são muito mais caros do que seriam se os mesmos estivessem aprovados.

Além disso, o que se pretende é que tais medicamentos sejam acessíveis também a quem tem a doença diagnosticada, mas ainda em estado inicial, permitindo assim travar a sua evolução e melhorar a qualidade de vida dos doentes.

Em 2019 surgiu um novo medicamento, o Kaftrio, que consiste numa associação tripla (75 mg ivacaftor, 59 mg tezacaftor, 100 mg elexacaftor) com ganhos na capacidade respiratória e diminuição dos internamentos.

Por isso, devido às evidentes vantagens, o Kaftrio foi já aprovado por diversas entidades competentes, designadamente a Food and Drug Administration e a European Medicines Agency, estando aprovado em vários países europeus. Ao contrário, em Portugal, o processo de aprovação deste fármaco inovador ainda não foi concluído, estando, assim, os doentes portugueses em desigualdade perante outros cidadãos europeus, o que é totalmente injustificado.



GRUPO PARLAMENTAR

É urgente que os doentes com FQ em Portugal acedam aos medicamentos de que necessitam. Se há situação onde a palavra “urgência” tem sentido, é em casos como estes, onde o tempo é determinante para os doentes que se deparam com uma morte mais próxima, a cada dia que passa. Além disso, o sofrimento destes doentes, maioritariamente jovens, é de tal forma violento para os próprios e para as suas famílias que um dia a mais sem acesso a estes medicamentos, significa aumentar o sofrimento de forma incalculável e injustificável.

E se o custo no investimento é a chave do problema da falta de aprovação em Portugal, atente-se nos custos que o país tem com estes doentes, com os internamentos constantes e recorrentes, com os transplantes a que têm de ser submetidos, com os tratamentos de fisioterapia.

O mais importante é que estes medicamentos salvam vidas e evitam a deterioração física destes doentes e a deterioração alargada das suas famílias.

Assim, vem o Grupo Parlamentar do Partido Social Democrata, nos termos da Constituição e do Regimento da Assembleia da República, recomendar ao Governo que:

Adote as diligências necessárias para que o INFARMED conclua, celeremente, os processos de aprovação dos medicamentos para o tratamento da doença Fibrose Quística, que estão pendentes no INFARMED.

Palácio de São Bento, 18 de março de 2021,

Os Deputados do Grupo Parlamentar do PSD,