

**REQUERIMENTO** Número / ( .<sup>a</sup>)

**PERGUNTA** Número / ( .<sup>a</sup>)

Expeça - se

Publique - se

O Secretário da Mesa

Assunto:

Destinatário:

### **Exmo. Senhor Presidente da Assembleia da República**

A Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF), vulgarmente conhecida por paramiloidose ou por “doença dos pezinhos”, é uma doença rara, hereditária e de transmissão autossómica dominante, que afeta cerca de 600 famílias em Portugal. A esperança média de vida dos pacientes, sem tratamento, é de 10 a 15 anos. Calcula-se que existam apenas 10 mil doentes no mundo inteiro, sendo que, em Portugal, existirão cerca de 2000 doentes, com 100 novos casos a surgir todos os anos, alguns dos quais não atribuídos a questões hereditárias. Atualmente existem dois tipos de tratamento: o tratamento medicamentoso e o transplante do fígado.

Até 2018 a PAF tratava-se ou com transplante hepático (procedimento não aplicável a todos os doentes e com mortalidade de 5% a 15%) ou com um medicamento, o tafamidis, aprovado apenas para o tratamento da neuropatia, um dos aspetos predominantes da doença, em estadio 1.

Em julho de 2018 foram autorizados pela Agência Europeia do Medicamento novos medicamentos para esta doença que podem garantir uma melhor qualidade de vida aos doentes e que trazem mais eficácia terapêutica do que o atual medicamento existente. Os dois novos medicamentos para a PAF, foram aprovados para tratamento da neuropatia da amiloidose em estadio 1 e 2.

Esses medicamentos estarão, há largos meses, em avaliação pela Comissão de Avaliação de Tecnologias de Saúde do INFARMED, mas até agora sem decisão, pelo que os mesmos continuam sem estar disponíveis para os doentes em Portugal.

O Bloco de Esquerda sabe que têm sido feitos vários pedidos para acesso precoce a estes medicamentos, uma vez que os mesmos ainda não têm autorização de introdução em Portugal por parte do Infarmed. No entanto, a esmagadora maioria dos pedidos de acesso não têm sido autorizados, encontrando-se pendentes.

Tanto quanto sabemos, foram aprovados apenas 2 programas de acesso precoce a estes dois novos medicamentos (um programa para cada um dos medicamentos), ambos apenas para casos em estadio 2 da doença, mas a esmagadora maioria dos casos estão pendentes, muitos outros aguardam a introdução do medicamento. Em maio passado, só a CFT do CHUP tinha 14 pedidos de autorização para tratamento com os novos fármacos, havendo muitos outros doentes identificados como elegíveis para estes tratamentos.

De facto, segundo carta da Comissão de Farmácia do Centro Hospitalar e Universitário do Porto (CHUP), a mesma contava já “um número de doentes candidatos (...) superior a 50. Temos neste momento 14 pedidos pendentes”. De referir que os doentes candidatos (os 50) foram identificados pela responsável pela Unidade Corino de Andrade do CHUP.

A mesma Comissão de Farmácia, em resposta à Associação Portuguesa de Paramiloidose, diz que “estes novos medicamentos têm indicações alargadas para o tratamento da neuropatia associada à doença e poderão dar resposta a necessidades terapêuticas não resolvidas, nomeadamente em doentes não candidatos ao tafamidis (neuropatia em fase 2 e a doentes não respondedores ao tafamidis) com eventual impacto na evolução dos doentes e valor terapêutico acrescentado”. Refere, no entanto, que o hospital não tem forma de suportar os custos associados a esta nova terapêutica.

Há dois comentários a fazer em relação a esta situação: o primeiro é que se existem novas terapêuticas mais eficazes e que podem garantir maior e melhor qualidade de vida aos doentes com paramiloidose, o Infarmed e o Estado devem ser ágeis e céleres na negociação para a autorização de introdução dos mesmos e devem ser ágeis na negociação do preço dos mesmos; o segundo é que neste momento só estão a ser autorizados programas de acesso precoce em quem já está em estadio 2 da doença, quando os novos medicamentos poderiam ser administrados em fases mais precoces da doença, evitando a sua progressão e garantindo que os doentes não ficavam com tantas sequelas.

Estamos a falar de terapêuticas que podem evitar muitas das consequências de uma doença que é grave e que podem impedir a progressão da doença e, inclusivamente, a necessidade de transplantação. Sabe-se (aliás, como é reconhecido pela Comissão de Farmácia do CHUP) que há doentes que não respondem ao medicamento que existe atualmente e que devem ser elegíveis para as novas terapêuticas, mas isso não está a acontecer.

O que está a acontecer é o bloqueio de todos os pedidos de acesso precoce a este medicamento por razões orçamentais dos hospitais que temem não poder suportar os custos com esta terapêutica.

O Bloco de Esquerda, denunciando estes casos ao Governo, espera que o mesmo haja rapidamente no sentido de permitir o acesso a este medicamento a todos os doentes com paramiloidose que sejam tidos como candidatos para acesso ao mesmo. Deve, para isso, garantir uma forma de financiamento para acesso a este medicamento. Os doentes é que não podem ficar à espera quando existem terapêuticas que lhe são benéficas. Enquanto esperam a doença progride e com essa progressão vão ficando com problemas que são irreversíveis.

Perante tudo isto espera-se que o Governo, junto do Infarmed e das instituições hospitalares que seguem doentes com paramiloidose, desbloqueie o acesso a estas novas terapêuticas.

*Atendendo ao exposto, e ao abrigo das disposições constitucionais e regimentais aplicáveis, o*

*Grupo Parlamentar do Bloco de Esquerda vem por este meio dirigir ao Governo, através do Ministério da Saúde as seguintes perguntas:*

1. Por que razão não foi ainda concluída a avaliação do Infarmed com vista à introdução deste medicamento no mercado?
2. Tem conhecimento dos muitos casos de pedidos de acesso precoce que estão a ser bloqueados?
3. Não considera que estes novos fármacos mostram mais eficácia e garantem melhor qualidade de vida aos doentes com paramiloidose?
4. Por que razão só estão a ser autorizados programas de acesso precoce a casos de doença em estadio 2 quando, se for autorizado em fases mais precoces, evita a progressão da doença e as sequelas da mesma?
5. Que medidas serão tomadas para garantir o acesso efetivo a esta terapêutica por parte de quem dela necessita?

Palácio de São Bento, 22 de outubro de 2019

Deputado(a)s

MOISÉS FERREIRA(BE)