



PARTIDO COMUNISTA PORTUGUÊS  
Grupo Parlamentar

Projeto de Resolução nº 1426/XIII/3ª

Recomenda ao Governo que disponibilize aos doentes com atrofia muscular espinhal os tratamentos mais adequados, incluindo o farmacológico

A Atrofia Muscular Espinhal é, segundo a literatura consultada, uma doença rara. Trata-se de uma doença neuromuscular específica caracterizada pela degeneração dos neurónios motores medulares, condicionando atrofia e fraqueza muscular progressivas. É determinada pela alteração do gene Survival Motor Neuron-1 (SMN1), localizado no braço longo do cromossoma cinco. Existem vários subtipos da doença (I, II e III). A Atrofia Muscular Espinhal repercute-se a nível de vários órgãos e sistemas, envolvendo frequentemente os sistemas respiratório, osteoarticular e gastrointestinal.

De acordo com o artigo – Atrofia Muscular Espinhal: Análise Descritiva de Uma Série de Casos, da autoria de Mafalda Pires, Humberto Marreiros, Rita Cardoso Francisco, Ana Soudo e José Pedro Viera, publicado em 2011, o “principal fator de influência na gravidade do fenótipo é o número de cópias do gene SMN2”. Os autores referem ainda que a “maioria dos doentes AME I apresenta duas cópias SMN2, o doente AME II apresentam 3 cópias SMN2, o doente AME III apresentam 3 ou 4 cópias”, o que os leva a concluir que “há uma relação inversamente proporcional entre o número de cópias SMN2 e a gravidade da doença”.

O trabalho já citado alude que a Atrofia Muscular Espinhal “apresenta-se sob um amplo espectro clínico que varia desde a morte na primeira infância até uma história natural caracterizada apenas por fraqueza muscular ligeira, com sobrevida até à idade adulta”. Os autores defendem que sendo “uma doença rara, é fundamental o conhecimento de indicadores clínicos que permitam antecipar a evolução, aferindo de forma mais concreta, os prognósticos funcional e vital”.

As características da doença, neurodegenerativa progressiva, implicam uma abordagem multifacetada quer ao nível do diagnóstico, quer ao nível do tratamento. No que ao diagnóstico diz respeito, os testes genéticos, eletromiografia, biópsia muscular. Por sua vez, o tratamento incide também em vários níveis de cuidados: respiratórios, nutricionais e farmacológicos.

Em termos do tratamento farmacológico, em 30 de maio de 2017, a Agência Europeia do Medicamento concedeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a União Europeia, de um medicamento órfão, com a designação comercial de Spinraza, destinado ao tratamento da atrofia muscular espinhal.

Segundo o relatório Público Europeu de Avaliação, o medicamento é um oligonucleotídeo antisense sintético (um tipo de material genético) que permite que o gene SMN2 (que, em geral, produz uma proteína SMN curta que não funciona tão bem como a proteína de comprimento completo) produza a proteína de comprimento completo, a qual pode funcionar normalmente. Esta substitui a proteína em falta, aliviando, desta forma, os sintomas da doença.

Em Portugal e, segundo os familiares de crianças com atrofia muscular espinhal, este medicamento está a ser administrado em hospitais do Serviço Nacional de Saúde a crianças com tipo I. Porém, pais e familiares de crianças com atrofia muscular espinhal tipo II, cujos médicos assistentes recomendaram esta terapêutica, reivindicam que aos seus filhos seja ministrado esse fármaco.

Em termos de introdução do medicamento em Portugal, o PCP foi informado que o INFARMED I.P., encontra-se a fazer a avaliação para participação. Atendendo à natureza da doença e às indicações do medicamento, defendemos que devem ser ágeis os processos avaliativos no Infarmed.

O acesso aos medicamentos por muitos doentes com doenças crónicas ou raras ainda não está totalmente garantido no nosso País.

Há vários anos que o PCP advoga que sejam tomadas medidas que permitam uma maior acessibilidade aos tratamentos mais adequados, incluindo o acesso aos medicamentos, assegurando mais saúde e melhor qualidade de vida aos doentes em geral e, no caso em apreço aos doentes com atrofia muscular espinhal.

O PCP defende o acesso à terapêutica, quer medicamentosa, quer de dispositivos médicos, incluindo os inovadores, quando haja comprovação científica e clínica da sua vantagem. Assim como pugna que o Estado deve tomar as medidas necessárias para salvaguardar sempre os interesses públicos e não ficar refém dos interesses da indústria farmacêutica.

Nestes termos, nos termos da alínea b) do artigo 156.º da Constituição e da alínea b) do n.º 1 do artigo 4.º do Regimento, os Deputados do Grupo Parlamentar do PCP propõem que a Assembleia da República adote a seguinte:

### Resolução

A Assembleia da República resolve, nos termos da alínea b) do artigo 156.º e do n.º 5 do artigo 166.º da Constituição da República, recomendar ao Governo que:

1. Disponibilize no Serviço Nacional de Saúde aos doentes com atrofia muscular espinhal os tratamentos mais adequados, incluindo o acesso ao fármaco já aprovado pela Agência Europeia do Medicamento;
2. Conclua com rapidez o processo avaliativo do medicamento a decorrer no Infarmed, I.P.;
3. Proporcione aos doentes com atrofia muscular espinhal o acompanhamento no Serviço Nacional de Saúde nas diferentes dimensões da doença.

Assembleia da República, 15 de março de 2018

Os Deputados,

CARLA CRUZ; JOÃO DIAS; PAULA SANTOS; JOÃO OLIVEIRA; DIANA FERREIRA

RITA RATO; ANA MESQUITA; ANTÓNIO FILIPE; JORGE MACHADO