

## PROJECTO DE RESOLUÇÃO N.º 188/XII/1<sup>a</sup>

### Sobre a introdução urgente do medicamento Vyndaquel/Tafamidis no Serviço Nacional de Saúde

Como destaca a Associação Portuguesa de Paramiloidose, “a polineuropatia amiloidótica familiar, vulgo paramiloidose, ou doença dos pezinhos, está associada à deposição nos tecidos – em particular nos nervos – de uma substância fribilar altamente insolúvel designada por amiloide. As fibras de amiloide são constituídas por subunidades de uma proteína do sangue que transporta hormonas da tiróide e vitamina A”.

Tipicamente, a doença tem idade de início entre os 25 e 35 anos (podendo ocorrer depois dos 50 anos), iniciando-se nos membros inferiores; afecta a sensibilidade aos estímulos (por exemplo, térmicos) e a capacidade motora e é fatal, com evolução, em média, em 10 anos. Rápida e progressivamente, os portadores da doença vão ficando totalmente dependentes de terceiros.

As medidas terapêuticas que tendem a retardar os efeitos nefastos da doença e, eventualmente a prolongar o tempo de vida dos doentes, não visando a cura, pretendem proporcionar ao doente mais anos de vida com qualidade e minimizar o seu sofrimento.

O transplante hepático, enquanto medida terapêutica mais radical para estas pessoas doentes, é uma medida para anular a progressão da doença. No entanto, não só provoca a dependência total de medicação que permita a não rejeição do órgão transplantado, como implica, obrigatoriamente, consequências mais complexas como a imunossupressão.

O transplante hepático, além de acarretar, sempre, um risco elevado de vida, também provoca efeitos secundários graves e corresponde a uma intervenção muito onerosa.

Ora, existe no mercado um fármaco – Vyndaquel/Tafamidis – considerado eficaz na evolução da doença em 60% dos casos e, consequentemente, evitando o supra referido transplante.

Este fármaco ainda não se encontra acessível a todos os doentes no nosso país. Entretanto, por motivos burocráticos, os doentes esperam e desesperam, com o inegável sofrimento dos próprios e das suas famílias e também com custos agravados para o Estado. Nas

palavras expressivas de um doente que nos contactou, “o novo comprimido trava a doença em 60% dos casos e reduz a sua evolução nos outros 40%”.

O Decreto – Lei n.º 176/2006, 30 de Agosto, com as alterações dos Decretos – Lei n.º 106 A/2010, 10 de Janeiro, n.º 64/2010, 9 de Junho, n.º 182/2009, 7 de Agosto, criou o Regime Jurídico dos Medicamentos de Uso Humano.

O respectivo artigo 92.º dispõe que “o IFARMED pode autorizar a utilização em Portugal de mais medicamentos não possuidores de qualquer das restantes autorizações previstas no presente Decreto-Lei, quando se verifique uma das seguintes condições:

- a) Mediante justificação clínica, sejam considerados imprescindíveis à prevenção, diagnóstico ou tratamento de determinadas patologias.”

Esta alternativa (Autorização de Utilização Especial – AUE) existe na Legislação Portuguesa, é provisória e pode colmatar, no imediato, a dificuldade na obtenção do respectivo licenciamento em Portugal.

O referido fármaco é da máxima importância no combate à evolução da doença e a sua introdução corresponderá a uma medida que introduzirá mais eficiência e humanização no sistema, reduzindo sofrimento humano e custos elevados, públicos e privados.

Na anterior Legislatura, por diversas vezes o CDS-PP questionou o Governo sobre esta matéria tendo ficado, por diversas vezes, sem resposta.

O Ministério da Saúde respondeu, finalmente, em 9 de Março de 2011, dizendo que “o pedido da AIM (Autorização de Introdução no Mercado) para o medicamento Tafamidis encontra-se actualmente em avaliação pelos peritos do CHMP (Comité dos Medicamentos de Uso Humano) de modo a ser considerada a sua qualidade, segurança e eficácia”. Mais acrescentava que “este pedido, submetido em Setembro de 2010, encontra-se a decorrer de acordo com o calendário legalmente estipulado, não se verificando qualquer atraso no licenciamento deste medicamento”. E concluía: “O único tratamento actualmente autorizado potencialmente curativo da amiloidose por transtirretina (TTR) é a transplantação hepática.”

O CDS-PP tem continuado a acompanhar a evolução do assunto já no decurso desta XII Legislatura, quer em contacto com associações representativas dos doentes, quer em apreciações no âmbito da Comissão de Saúde.

Em resposta (2 de Setembro de 2011) a uma pergunta parlamentar, o Ministério da Saúde confirma que “o medicamento Vyndaquel (anteriormente designado por Tafamidis), sendo um medicamento órfão, está obrigatoriamente sujeito ao procedimento de Autorização de Introdução no Mercado (AIM)”.

Na mesma informação, confirma também a “aprovação do relatório de avaliação científica ocorrida em 21 de Julho de 2011” e que está “em início o procedimento de adopção da Decisão da Comissão Europeia”, sendo “previsível a adopção de uma Decisão Final em Setembro de 2011”.

Tal como o CDS-PP já havia apontado na XI Legislatura, nada impede eventualmente um procedimento mais expedito de uso, através da chamada Autorização de Utilização Especial (AUE). Na verdade, nesse mesmo texto do corrente mês de Setembro, o Ministério da Saúde informa: “O acesso ao medicamento em momento prévio à concessão da AIM, é efectuado através de pedido ao INFARMED, I.P., por entidades possuidoras de autorização de aquisição directa de medicamentos com regime de internato, de Autorização de Utilização Especial, não se tendo registado, até à presente data, pedidos para medicamentos contendo a substância activa Tafamidis.”

Todavia, o Ministério da Saúde informou também que, depois de uma Decisão Final, prevista até final do passado mês de Setembro, haveria que iniciar, ainda, “a fase nacional do processo que dependerá principalmente do processo de atribuição de preço e da data de início da comercialização por parte do Titular da AIM”. Ou seja, ainda haveria etapas burocráticas complementares a cumprir.

Ora, o medicamento Vyndaquel/Tafamidis obteve AIM pela Comissão Europeia em 16 de Novembro de 2011 e, em cumprimento do Decreto-Lei n.º 195/2006 de 3 de Outubro, estará em avaliação da vantagem terapêutica e vantagem económica pelo INFARMED I.P.

Tendo a empresa titular de AIM submetido, a 28 de Novembro passado, o pedido de avaliação pelo INFARMED I.P. e considerando que o prazo previsível de resposta é de 70 dias, o CDS-PP entende ser da maior relevância que todas as diligências sejam tomadas no sentido de agilizar o processo, por forma a que os doentes de paramiloidose possam, finalmente, ter acesso ao único medicamento que lhes poderá travar o avanço da doença.

Pelo exposto, a Assembleia da República resolve, nos termos do n.º 5 do artigo 166º da Constituição da República Portuguesa, recomendar ao Governo:

Que, com carácter de urgência, conclua as diligências indispensáveis à introdução urgente do medicamento Vyndaquel/Tafamidis no Serviço Nacional de Saúde, seja através da competente Autorização de Introdução no Mercado (AIM), seja através de Autorização de Utilização Especial (AUE) onde as circunstâncias o justifiquem, e nomeadamente diligencie junto da indústria para a definição de termos de custo para Portugal que levem em conta a especial incidência da doença no nosso país.

Palácio de São Bento, 20 de Janeiro de 2012.

Os Deputados,