



**REPÚBLICA
PORTUGUESA**

GABINETE DA MINISTRA DA SAÚDE

Exma. Senhora
Dra. Catarina Gamboa
Chefe do Gabinete do Secretário de Estado
dos Assuntos Parlamentares
Palácio de São Bento (A.R.)
1249-068 Lisboa

SUA REFERÊNCIA	SUA COMUNICAÇÃO DE	NOSSA REFERÊNCIA	DATA
Ofício n.º. 2636	25/10/2019	N.º: ENT.: 13106/2019 PROC. N.º: 11/2019 040.05.03/2019	31/10/2019

Assunto: Pergunta n.º 2921/XIII/4.ª de 25 de outubro de 2019 do Bloco de Esquerda (BE) - Acesso a medicamentos por parte de doentes com paramiloidose

Relativamente ao assunto em epígrafe, consultado o INFARMED - Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P., encarrega-me a Senhora Ministra da Saúde de informar o seguinte:

A 06.07.2018 foi aprovada a Autorização de Introdução no Mercado (AIM) do medicamento Tegsedi (inotersen), indicado para o tratamento de polineuropatia de fase 1 ou 2 em adultos com amiloidose hereditária por transtirretina (ATTRh), cujo Titular de AIM é a empresa Akcea Therapeutics UK Ltd.

O medicamento Tegsedi (inotersen) foi submetido para avaliação no Infarmed a 08/02/2019 e, de um total de 188 dias úteis de avaliação, 81 dias foi o tempo “utilizado” pela empresa para resposta aos pedidos solicitados pelo Infarmed, encontrando-se o processo em fase de avaliação do estudo económico submetido pela empresa no dia 07/11/2019.

A 27.08.2018 foi aprovada a AIM do medicamento Onpattro (patisiran), indicado para o tratamento de amiloidose hereditária mediada por transtirretina (amiloidose ATTRh) em doentes adultos com polineuropatia de estadio 1 ou estadio 2, cujo titular de AIM é a Alnylam Netherlands B.V..

O medicamento Onpattro (patisiran) foi submetido para avaliação no Infarmed a 09/10/2018 e, de um total de 273 dias úteis de avaliação, 143 dias foi o tempo “utilizado” pela empresa para resposta aos pedidos solicitados pelo Infarmed, encontrando-se o processo em fase de conclusão da avaliação económica, seguindo-se a fase final de negociação.



De acordo com a legislação em vigor, os medicamentos que já obtiveram autorização de introdução no mercado (incluindo novas indicações terapêuticas) só devem ser utilizados pelos hospitais do SNS após conclusão positiva do respetivo processo de avaliação prévia hospitalar. Contudo, sempre que se verifique a ausência de alternativa terapêutica em que o doente corra risco imediato de vida ou de sofrer complicações graves, os hospitais do Serviço Nacional de Saúde podem requerer ao Infarmed autorização para utilização do medicamento, antes da finalização do processo de avaliação, no âmbito de um Programa de Acesso Precoce (PAP).

Ambos os medicamentos estão disponíveis em Portugal através de Programas de Acesso Precoce e mediante a concessão de Autorização de Utilização Excecional pedida pelo Centro Hospitalar que segue o doente.

A 08/02/2019 foi aprovado o PAP de Tegsedí para tratamento de 20 doentes. Este PAP encontra-se ativo e não tem custos para o SNS até 25/07/2020. Até à data informamos que foram recebidos e aprovados no Infarmed, 6 pedidos para tratamento com este medicamento. O CHP - Hospital Geral de Santo António (Porto) efetuou 5 destes pedidos e o CHLN - Hospital de Santa Maria (Lisboa) efetuou 1 pedido.

Na mesma data foi aprovado o PAP do Onpattro, para tratamento de 50 doentes. Este PAP encontra-se ativo e não tem custos para o SNS até 13/01/2020. Até à data informamos que foram recebidos e aprovados no Infarmed, 14 pedidos para tratamento com este medicamento. O CHP - Hospital Geral de Santo António (Porto) efetuou 12 destes pedidos e o CHLN - Hospital de Santa Maria (Lisboa) efetuou 2 pedidos.

Mais informamos que neste momento não se encontra nenhum pedido a aguardar avaliação pelo Infarmed e que todos os que foram submetidos foram aprovados.

À data atual, os medicamentos encontram-se em avaliação pela Comissão de Avaliação de Tecnologias de Saúde (CATS) do INFARMED, I.P.. Por este motivo, até que se encontre concluída a avaliação farmacoterapêutica e farmacoeconómica dos mesmos, não nos é possível concluir acerca do benefício adicional e da relação custo-efectividade face às alternativas terapêuticas disponíveis na prática clínica atual.

Enquanto os medicamentos estão a ser avaliados o acesso é concedido no âmbito de um programa de acesso precoce para situações específicas em que o doente corre risco imediato de vida ou de complicações graves, e ausência de alternativa terapêutica.

No que diz respeito ao Programa de Acesso Precoce para os medicamentos Onpattro e Tegsedí, informamos que os mesmos foram avaliados pelos peritos da Comissão de Avaliação de Tecnologias de Saúde, tendo sido deferidos, em conformidade com o atual enquadramento regulamentar.



Os peritos clínicos da Comissão de Avaliação de tecnologias de Saúde consideraram que existe fundamento para a necessidade de um Programa de Acesso Precoce nos doentes com amiloidose transtirretina hereditária (ATTRh) com sintomas de polineuropatia em estadio 2.

Da parte do INFARMED estão implementados todos os procedimentos necessários para garantir o acesso a quem necessita do medicamento. Foram aprovados 2 programas de acesso precoce com gratuidade e as AUEs solicitadas têm sido tramitadas e autorizadas, por estarem conforme os critérios de inclusão no PAP.

Com os melhores cumprimentos,

A Chefe do Gabinete

(Eva Falcão)