



Projeto de Resolução n.º 1016/ XIV

Recomenda ao Governo a adoção das medidas necessárias a um acesso mais célere às terapias inovadoras para os doentes de Fibrose Quística

A Fibrose Quística (FQ), cujo nome deriva do aspeto quístico e fibroso do pâncreas, é uma doença crónica, hereditária causada por alterações num determinado gene (o gene CFTR) que se transmite de pais para filhos.

É uma das doenças genéticas mais comuns, variando consoante a região do mundo, variando a sua incidência com a população considerada. Na maioria dos países europeus, calcula-se que em média 1 em cada 2.000-6.000 recém-nascidos tenham Fibrose Quística. Estima-se que a nível mundial existam 7 milhões de pessoas portadoras da anomalia genética da FQ e cerca de 75.000 com a doença. De acordo com o relatório anual mais recente do Registo Europeu de Fibrose Quística (European Cystic Fibrosis Patient Registry – Annual Report 2017), existem perto de 50.000 pessoas com Fibrose Quística (FQ) na Europa. Em Portugal estima-se que nasçam por ano cerca de 30 a 40 crianças com Fibrose Quística.

Esta doença afeta vários sistemas orgânicos. As alterações pulmonares são responsáveis por 90% da morbilidade e mortalidade, e têm natureza progressiva. O início das lesões pulmonares é variável, surgindo em semanas, meses ou anos após o nascimento. A doença pulmonar evolui frequentemente para insuficiência respiratória. Para além das lesões respiratórias, a doença pode comportar disfunção pancreática, doença hepática que pode progredir para cirrose, e problemas de motilidade intestinal. Os doentes apresentam eletrólitos elevados no suor, com menor tolerância às temperaturas elevadas.

Com o avanço da ciência, a sobrevivência e a qualidade de vida dos doentes com Fibrose Quística melhoraram muito nos últimos 40 anos. Atualmente, graças ao diagnóstico precoce, à criação de centros especializados e novos tratamentos, o panorama mudou e a esperança média de vida passou de 10 anos, em 1960, para 38



anos em 2010. Estima-se que uma criança que nasce hoje, com Fibrose Quística tenha uma maior esperança média de vida.

Embora muitos sintomas sejam tardios, o diagnóstico pode ser realizado precocemente. Em Portugal, desde 2013 que a Fibrose Quística passou a estar incluída no painel de doenças do Programa Nacional de Diagnóstico Precoce (PNDP), levado a cabo pelo Instituto Nacional de Saúde Dr. Ricardo Jorge. Este é o chamado 'teste do pezinho' que é realizado entre o 3º e o 6º dia de vida. Desta forma, os novos casos podem ser, desde logo reencaminhados para os centros especializados, o que tem demonstrado uma influência muito positiva no decurso da doença.

Os doentes com Fibrose Quística sonham com o avanço da investigação científica e pelo acesso a ferramentas terapêuticas que lhes permitam melhorar a sua qualidade e esperança de vida.

A Associação Nacional de Fibrose Quística ANFQ e a Associação portuguesa de Fibrose Quística têm apelado a uma maior agilidade no acesso dos pacientes portugueses às terapias inovadoras, aprovada pela Agência Europeia do Medicamento.

Segundo estas associações de doentes, os cerca de 400 pacientes residentes em Portugal encontram-se em desvantagem, sendo dos últimos países da União Europeia que até ao momento, não têm acesso generalizado às terapias inovadoras. O processo de avaliação para financiamento destes medicamentos inovadores (moduladores do CFTR) arrasta-se em Portugal, desde 2016. Até agora, têm sido submetidos para avaliação, todos os moduladores desenvolvidos (Kalydeco®, Orkambi® e Symkevi®).

Em 2019, surgiu a terapia tripla (Kaftrio®) com resultados muito encorajadores para a maioria das pessoas com Fibrose Quística. Este medicamento foi aprovado em tempo record pelas entidades competentes – Food and Drug Administration e Agência Europeia do Medicamento, e demonstrou, em ensaios clínicos, melhorar significativamente a função pulmonar de pessoas com FQ, permitindo-lhes respirar mais livremente e melhorando a sua qualidade de vida geral.



A Cystic Fibrosis Medical Association (Reino Unido) descreveu o tratamento referido como mostrando evidência de ser potencialmente "transformador de vidas". Este tratamento conhecido como "terapia de combinação tripla" recebeu luz verde pelos reguladores europeus, nomeadamente a Autorização de Introdução no Mercado, concedida pela Comissão Europeia em 21/8/2020. A partir dessa data, milhares de pacientes com FQ, do NHS, em Inglaterra, começaram a beneficiar deste tratamento. Posteriormente, outros países europeus aprovaram o seu financiamento.

Em Portugal, sabemos que este medicamento Kaftrio se encontra em avaliação para efeitos de financiamento público pelo Infarmed, I.P.

Temos ainda conhecimento que existe um Programa de Acesso precoce para este medicamento que viabiliza a sua utilização pelos hospitais do SNS, enquanto a avaliação decorre, através de uma "autorização de utilização excecional (AUE)", nos casos em que o doente corre risco de vida ou de complicações graves.

Existem ainda outros medicamentos destinados à Fibrose Quística, como o Kalydeco, o Orkambi e Symkevi, que se encontram igualmente em avaliação para efeitos de financiamento público.

Face aos contributos da comunidade científica, é essencial que se acelere todo o processo burocrático, pois cada dia de espera é sinónimo de perda progressiva e irreversível da capacidade respiratória destes doentes, sendo urgente conseguir, na Europa, a igualdade de acesso e o tratamento adequado para todos os doentes com FQ.

A atual crise global despoletada pela pandemia de Covid-19 veio sublinhar esta urgência. Urge garantir que as pessoas com FQ se encontrem nas melhores condições físicas possíveis, fazendo elas parte dos grupos de risco conhecidos. Devendo ser assegurado o correto seguimento clínico e o maior rigor no controlo de infeções cruzadas.



Considerando-se ser necessária a aprovação, com urgência, pelas entidades competentes da autorização de comercialização deste medicamento no mercado, de modo a evitar o maior número de transplantes e mortes possíveis, urge avaliar a matéria.

Assim, ao abrigo das disposições regimentais e constitucionais aplicáveis, os Deputados abaixo-assinados apresentam o seguinte projeto de resolução:

Nos termos da alínea b) do artigo 156º da Constituição da República Portuguesa, a Assembleia da República resolve recomendar ao Governo que adote as medidas necessárias para que as terapias inovadoras, que aguardam aprovação pelas entidades competentes, sejam disponibilizadas aos doentes de Fibrose Quística, que delas necessitem, assegurando a respetiva autorização de comercialização no mercado e o seu financiamento público, de forma rápida e eficiente, evitando constrangimentos no acesso às mesmas

Palácio de São Bento, 25 de fevereiro de 2021

As Deputada e os Deputados

(Hortense Martins)

(Maria Antónia Almeida Santos)

(Sónia Fertuzinhos)

