



Comissão de Saúde

Relatório Final

Petição n.º 41/XII/1.ª

Peticionário:

Sérgio Guimarães Tomaz

N.º de assinaturas:

9404

Assunto: Solicitam a tomada de medidas adequadas para que os portadores de paramiloidose em fase inicial da doença possam iniciar o seu tratamento com tafamidis.

Comissão de Saúde

I – Nota Prévia

A presente Petição, subscrita por 9404 assinaturas e da iniciativa de Sérgio Guimarães Tomaz, deu entrada na Assembleia da República, a 21 de Setembro de 2011 e, tendo sido admitida, foi a mesma remetida no mesmo dia para a Comissão Parlamentar de Saúde, para apreciação e elaboração do respectivo parecer.

II – Conteúdo e objecto da Petição

Os peticionários pretendem, com esta iniciativa, que sejam tomadas as medidas adequadas para que os portadores de paramiloidose, em fase inicial da doença, possam iniciar o seu tratamento com tafamidis. Solicitam também que seja permitida a execução do disposto na lei no que se refere a uma autorização especial e que a nenhum cidadão seja negado o direito à saúde por razões económicas.

Referem que a paramiloidose, popularmente designada por “doença dos pezinhos” e com especial incidência no nosso país, é uma doença crónica, neurodegenerativa, progressiva e hereditária. Manifesta-se, habitualmente na terceira década de vida, ficando os doentes gravemente diminuídos na sua capacidade de trabalho e na sua autonomia. Apesar da enorme evolução científica e tecnológica da medicina nas últimas décadas, a única terapêutica conhecida para esta doença até há pouco tempo era o transplante hepático. Referem ainda que esta opção tem limitações significativas. Primeiro porque a transplantação depende da disponibilidade de órgãos e depois porque a transplantação do fígado além de complexa e com elevados custos para o Estado, tem uma mortalidade muito elevada.

Informam os peticionários, que foi realizado um estudo a nível mundial, com participação de centros portugueses, onde ficou demonstrada cientificamente a eficácia do medicamento denominado tafamidis. Aliás, a agência de regulação europeia (European Medicines Agency / EMA) viria a emitir, em 21 de Julho de 2011 uma recomendação para que seja concedida autorização de introdução no mercado ao tafamidis (anexo 1).

Finalmente, na sequência de uma EPAR /European public assessment report aprovada pelo Comité dos Produtos Medicinais de Uso Humano da EMA, a Comissão Europeia aprovou, em 16 de Novembro de 2011, uma autorização de comercialização, válida em toda a União Europeia (anexo 2).

Comissão de Saúde

Em Portugal, o Infarmed autorizou já a administração do fármaco em questão a dois doentes no âmbito do procedimento de Autorização de Utilização Especial (AUE). Pretendem assim os petiçãoários que o tafamidis seja rapidamente disponibilizado aos doentes que sofrem de paramiloidose, sem constrangimentos de ordem burocrática ou financeira.

Torna-se pois necessário concretizar o registo deste fármaco junto do Infarmed, obtendo a necessária autorização de introdução no mercado de forma urgente e ao mesmo tempo sensibilizar o Governo no sentido de possibilitar a sua disponibilização aos doentes.

III – Análise da Petição

Esta Petição, que deu entrada a 21 de Setembro de 2011, foi admitida e distribuída no próprio dia, à Comissão Parlamentar de Saúde.

O objecto da petição está especificado e o texto é inteligível; os petiçãoários encontram-se correctamente identificados e verificam-se os demais requisitos formais e de tramitação estabelecidos no artigo 52º da Constituição da República Portuguesa e nos artigos 9º e 17º da Lei do Exercício do Direito de Petição, com a redacção imposta pela Lei nº 45/2007, de 24 de Agosto.

Em conformidade com o disposto nos artigos 21º, 24º e 26º do mesmo diploma, tratando-se de uma Petição com 9404 assinaturas, torna-se obrigatória a audição dos petiçãoários e a sua discussão em reunião de Plenário da Assembleia da República, bem como a sua publicação em Diário da assembleia da República.

Refira-se ainda que, nos termos do artigo 20º da Lei de Exercício do Direito de Petição, a Comissão competente pode, para além de ouvir o petiçãoário, pedir informações sobre a matéria em questão, às entidades que entender relevantes.

III – Diligências efectuadas pela Comissão

Os petiçãoários foram ouvidos em audição, pela Comissão Parlamentar de Saúde, no dia 21 de Setembro de 2011 e, cumprindo o disposto no nº1, do artigo 21º, do Regimento da Assembleia da República, reafirmaram as suas pretensões, manifestando o desejo de resolução desta questão de forma tão célere quanto

Comissão de Saúde

possível, de forma a não atrasar a utilização deste novo medicamento com todas as suas implicações.

Em 28 de Setembro de 2011, através do ofício nº 81/9ª/Com/2011, foi solicitado ao Ministério da Saúde que se dignasse a informar a Comissão Parlamentar de Saúde sobre este mesmo assunto, sem que até há data fosse remetida aos serviços da Assembleia da República, qualquer resposta.

Tendo em conta os considerandos que antecedem, considera-se que está reunida a informação suficiente para apreciação desta iniciativa pelo Plenário, adoptando a Comissão Parlamentar de Saúde o seguinte

Parecer

1 – De acordo com o disposto no nº8 do artigo 17º da Lei 45/2007 de 24 de Agosto, deverá este relatório final ser remetido à Presidente da Assembleia da República;

2 – De acordo com o nº2 do artigo 26º do já mencionado diploma, deve este mesmo relatório ser publicado na íntegra, no Diário da Assembleia da República;

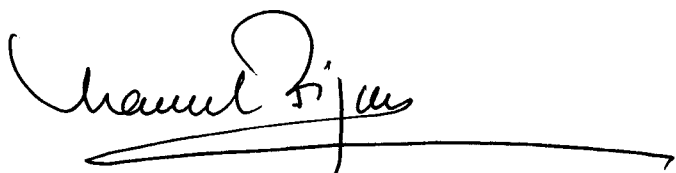
3 – De acordo com o disposto no artigo 24º, e tendo em conta o número de assinaturas que reúne, a presente Petição deverá ser agendada para ser apreciada em reunião Plenária da Assembleia da república;

4 – Deverá ser dado conhecimento aos peticionários do presente relatório, bem como das providências adoptadas.

Assembleia da República, 9 de Janeiro de 2012.

O Deputado Relator

A Presidente da Comissão



(Manuel Pizarro)



(Maria Antónia Almeida Santos)



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

21 July 2011
EMA/CHMP/546201/2011
Committee for medicinal products for human use (CHMP)

Summary of opinion¹ (initial authorisation)

Vyndaqel tafamidis

On 21 July 2011 the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) adopted a positive opinion, recommending the granting of a marketing authorisation for the medicinal product Vyndaqel, 20mg, capsule intended for the treatment of transthyretin amyloidosis in adult patients with stage 1 symptomatic polyneuropathy to delay neurologic impairment. Vyndaqel was designated as an orphan medicinal product on 28 August 2006. The applicant for this medicinal product is Pfizer Specialty UK Ltd. They may request a re-examination of any CHMP opinion, provided they notify the European Medicines Agency in writing of their intention within 15 days of receipt of the opinion.

The active substance of Vyndaqel is tafamidis, a novel specific stabilizer of transthyretin, ATC code: N07XX08.

The benefits with Vyndaqel are its ability to stabilise transthyretin and thereby inhibit amyloid formation and progression of the transthyretin amyloidosis. Following 18 months of treatment in a pivotal clinical study, more patients treated with Vyndaqel met the definition of response with respect to the Neuropathy Impairment Score of the Lower Limb than patients on placebo. Less deterioration of neurologic function as measured by other endpoints and improved nutritional status were also observed in patients treated with Vyndaqel.

The most common side effects are urinary tract infection, diarrhoea, vaginal infection and upper abdominal pain.

A pharmacovigilance plan for Vyndaqel will be implemented as part of the marketing authorisation.

The approved indication is: "Vyndaqel is indicated for the treatment of transthyretin amyloidosis in adult patients with stage 1 symptomatic polyneuropathy to delay peripheral neurologic impairment."

Treatment should be initiated by and remain under the supervision of a physician knowledgeable in the management of patients with transthyretin amyloid polyneuropathy.

¹ Summaries of positive opinion are published without prejudice to the commission decision, which will normally be issued 67 days from adoption of the opinion.



Detailed recommendations for the use of this product will be described in the summary of product characteristics (SmPC), which will be published in the European public assessment report (EPAR), and will be available in all official European Union languages after the marketing authorisation has been granted by the European Commission.

The CHMP, on the basis of quality, safety and efficacy data submitted, considers there to be a favourable benefit to risk balance for Vyndaqel and therefore recommends the granting of the marketing authorisation under exceptional circumstances².

² In exceptional circumstances an authorisation may be granted subject to certain specific obligations, to be reviewed annually. This happens when the applicant can show that they are unable to provide comprehensive data on the efficacy and safety of the medicinal product, due to the rarity of the condition it is intended for, limited scientific knowledge in the area concerned, or ethical considerations involved in the collection of such data.



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/H/C/002294

EPAR summary for the public

Vyndaqel

tafamidis

This is a summary of the European public assessment report (EPAR) for Vyndaqel. It explains how the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP) assessed the medicine to reach its opinion in favour of granting a marketing authorisation and its recommendations on the conditions of use for Vyndaqel.

What is Vyndaqel?

Vyndaqel is a medicine that contains the active substance tafamidis. It is available as capsules (20 mg).

What is Vyndaqel used for?

Vyndaqel is used to delay nerve damage caused by transthyretin amyloidosis, a hereditary disease in which fibres called amyloid build up in tissues around the body including around the nerves. Vyndaqel is used in adult patients with the early stage of nerve disease (stage 1).

Because the number of patients with transthyretin amyloidosis is low, the disease is considered 'rare', and Vyndaqel was designated an 'orphan medicine' (a medicine used in rare diseases) on 28 August 2006.

The medicine can only be obtained with a prescription.

How is Vyndaqel used?

Treatment should be started and supervised by a doctor knowledgeable in the management of patients with this disease.

The recommended dose is one capsule once a day, swallowed whole. Vyndaqel is used alongside standard care for patients with transthyretin amyloidosis. Doctors will need to monitor patients and



assess their need for other treatments including liver transplantation. Patients undergoing liver transplantation will have to stop taking Vyndaqel.

How does Vyndaqel work?

In patients with transthyretin amyloidosis, the amyloid fibres that surround and damage the nerves are formed of a protein called transthyretin. The transthyretin in these patients is defective: it breaks easily and is deposited in tissues and organs around the body.

The active substance in Vyndaqel, tafamidis, is a transthyretin stabilizer. It attaches to the protein, which prevents the protein from breaking up, thereby stopping the formation of amyloid and slowing down the progression of the nerve disease.

How has Vyndaqel been studied?

The effects of Vyndaqel were first tested in experimental models before being studied in humans. Vyndaqel was compared with placebo (a dummy treatment) in 128 patients with transthyretin amyloidosis. The main measure of effectiveness was based on an assessment of the patients' nerve damage and quality of life after 18 months of treatment.

What benefit has Vyndaqel shown during the studies?

Vyndaqel was more effective than placebo at treating patients with transthyretin amyloidosis. In 45% of patients taking Vyndaqel, nerve function either improved or stabilized, compared with 30% of patients taking placebo. The results did not include patients with more severe disease who left the study early because they needed to undergo a liver transplant.

Patients taking Vyndaqel also had better quality of life scores, but the difference with placebo was not considered significant.

What is the risk associated with Vyndaqel?

The most common side effects with Vyndaqel (seen in more than 1 patient in 10) are urinary tract infection (infection of the structures that carry urine) and diarrhoea. For the full list of all side effects reported with Vyndaqel, see the package leaflet.

Vyndaqel must not be used in people who are hypersensitive (allergic) to tafamidis or to any of the other ingredients.

Why has Vyndaqel been approved?

The CHMP noted that, apart from in patients who left the study because they needed a liver transplant, Vyndaqel was more effective than placebo in delaying nerve damage in patients with transthyretin amyloidosis. The medicine presented no major safety concerns and the risks were considered to be manageable. The CHMP therefore concluded that the benefits of Vyndaqel are greater than its risks and recommended that it be granted marketing authorisation.

Vyndaqel has been authorised under 'exceptional circumstances'. This means that because transthyretin amyloidosis is rare, for scientific reasons, it has not been possible to obtain complete information about Vyndaqel. Every year, the European Medicines Agency will review any new information that may become available and this summary will be updated as necessary.

What information is still awaited for Vyndaqel?

The company that makes Vyndaqel will carry out a study on the effects of the medicine in a subgroup of patients with certain genetic mutations. The company will also provide long-term post-marketing safety data.

What measures are being taken to ensure the safe use of Vyndaqel?

The company will provide educational material to all doctors expected to prescribe Vyndaqel. The material will include a leaflet containing information on the correct use of the medicine and on how to contribute to a post marketing study and a surveillance programme.

Other information about Vyndaqel

The European Commission granted a marketing authorisation valid throughout the European Union for Vyndaqel on 16 November 2011.

The full EPAR for Vyndaqel can be found on the Agency's website: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European Public Assessment Reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_Public_Assessment_Reports). For more information about treatment with Vyndaqel, read the package leaflet (also part of the EPAR) or contact your doctor or pharmacist.

The summary of the opinion of the Committee for Orphan Medicinal Products for Vyndaqel can be found on the Agency's website: [ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare disease designations](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designations).

This summary was last updated in 08-2011.