



Comissão Parlamentar de Saúde

---

## Relatório Final

Petição n.º 516/XII/4.ª

**Peticionário:**

Marco Aurélio da Silva Gonçalves Padrão

**N.º de assinaturas: 1**

---

**Assunto:** *“Solicita que o Centro Hospitalar do Porto inicie tão rápido quanto possível o tratamento com Translarna, medicamento indicado para crianças com Distrofinopatia de Duchenne”*

## **I – Nota Prévia**

A presente Petição, subscrita apenas por um único subscritor, deu entrada na Assembleia da República, a 23 de maio de 2015 e, tendo sido admitida, foi a mesma remetida para a Comissão Parlamentar de Saúde, para apreciação e elaboração do respetivo parecer.

## **II – Objeto da Petição**

O subscritor da presente Petição *“Solicita que o Centro Hospitalar do Porto inicie tão rápido quanto possível o tratamento com Translarna, medicamento indicado para crianças com Distrofinopatia de Duchenne”*.

O único subscritor, pai de um menino com esta doença, requer que o medicamento denominado Translarna, apesar de se tratar de um medicamento inovador, seja facultado às crianças portadoras da doença Distrofinopatia de Duchenne, tendo em conta que se trata de uma doença degenerativa rara, progressiva e fatal.

Esta doença neuromuscular caracteriza-se pela progressiva perda de massa muscular e fraqueza, por degeneração, do músculo-esquelético, liso e cardíaco. A Distrofia de Duchenne tem uma hereditariedade ligada ao cromossoma X e, em cerca de metade dos casos, a alteração do gene surge espontaneamente. Na maioria dos casos, a criança tem um desenvolvimento normal até aos 2-3 anos, altura em que começa a ser notada uma dificuldade em subir escadas, uma incapacidade em correr e quedas frequentes. Mais tarde a fraqueza é notada também a nível dos membros superiores. O envolvimento da musculatura cardíaca e da musculatura respiratória surgem ao longo da segunda década de vida. A escoliose é um dos problemas que necessita de atenção no final da primeira e no início da segunda década de vida. De acordo com informação disponibilizada (<http://www.rarissimas.pt/pt/conteudo/doencas-raras>), e



## Comissão Parlamentar de Saúde

tendo como objetivos melhorar a capacidade física e retardar a perda de marcha é habitualmente efetuado através de corticoterapia.

O subscritor da presente petição requer que o medicamento Translarna seja facultado às crianças portadoras desta doença, mencionando ainda que, no caso do seu filho, foram realizados testes de compatibilidade com este medicamento com resultados positivos. Refere que apesar de se tratar de um medicamento inovador, a sua segurança foi já comprovada pela direção Geral da Saúde e da Segurança Alimentar da União Europeia. Pelo exposto, e tendo em conta que se trata de uma doença progressiva e fatal, solicita a intervenção da Assembleia da República no sentido de interceder junto do Ministério da Saúde e do Centro Hospitalar do Porto, tal como aconteceu com os doentes que necessitavam do tratamento da Hepatite C, para que seja disponibilizado, com urgência, o medicamento Translarna aos doentes que dele necessitem.

### **III – Análise da Petição**

Esta Petição, que deu entrada a 23 de maio de 2015, foi admitida e distribuída à Comissão Parlamentar de Saúde para elaboração do respetivo parecer.

O objeto da petição está especificado e o texto é inteligível; o único peticionário encontra-se corretamente identificado, verificando-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 redação 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 apenas 1 assinatura, não carece da sua apreciação em plenário nem de audição do peticionário (artigo 21º nº 1).

Comissão Parlamentar de Saúde

De referir ainda que tendo o peticionário exposto a situação ao Ministério da Saúde e solicitado informação sobre a mesma, em ofício datado de 24 de março de 2015, o Governo veio informar do seguinte:

*“ [...] o medicamento Translarna, em granulado para suspensão oral, foi autorizado nas dosagens de 125mg, 250 mg e 100mg, e obteve, em julho de 2014, a autorização de introdução no mercado (AIM) concedida pela Comissão Europeia na seguinte indicação terapêutica: “(...) tratamento da distrofia muscular de Duchenne resultante de uma mutação nonsense (DMDmn) no gene distrofina, em doentes com capacidade de marcha com idade igual ou superior a 5 anos (...). A eficácia não foi demonstrada em doentes sem capacidade de marcha.”*

*A autorização concedida é válida pese embora tenha sido considerada necessária a realização de um estudo adicional. Apesar dos limitados dados disponíveis (razão pela qual foi concedida uma AIM condicional), o Comité dos Medicamentos de Uso Humano (CHMP) considerou existir alguma evidência de que o Translarna abranda a progressão da doença e que o respetivo perfil de segurança não representa uma preocupação maior.*

*Por conseguinte, nas conclusões apresentadas pela Agência Europeia de Medicamentos (EMA) sobre a AIM condicional é referido que, após avaliação do pedido o CHMP considerou a relação benefício-risco favorável para recomendar a concessão da AIM condicional, conforme detalhado no Relatório Público Europeu de Avaliação. Neste relatório consta, também a seguinte informação:*

*O requerente solicitou uma autorização condicional com o propósito de que dados adicionais seriam fornecidos pós-autorização.*

*O CHMP é de parecer que foi cumprido o critério de que os benefícios para a saúde pública decorrentes da disponibilidade imediata do medicamento superam os riscos inerentes ao facto de serem necessários dados adicionais, uma vez que os benefícios para a saúde pública foram substanciados por o medicamento proporcionar um tratamento para uma doença grave, caracterizada por uma progressiva deterioração do estado clínico dos doentes e por desfecho fatal.*

Comissão Parlamentar de Saúde

---

***A informação completa relativa à avaliação do medicamento está disponível para consulta podendo ser encontrada em:***

***[http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/EPAR\\_Public\\_assessment\\_report/human/002720/WC500171816.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_Public_assessment_report/human/002720/WC500171816.pdf)***

***Neste contexto, cumpre informar que este medicamento não se encontra comercializado em Portugal. A autorização de introdução de um medicamento no mercado não implica obrigatoriamente a sua comercialização.***

***No entanto, sempre que um medicamento não tem AIM ou não está a ser comercializado em Portugal, a sua aquisição poderá ser efetuada através de Autorização de Utilização Especial (AUE). Esta autorização é concedida pelo INFARMED, I.P. a entidades de saúde, públicas ou privadas, legalmente autorizadas a adquirir diretamente esses medicamentos.***

***O pedido de AUE resulta de um julgamento clínico do médico assistente sobre a adequação de utilização de um determinado medicamento. A referida AUE terá que ser solicitada pelos serviços competentes da unidade hospitalar onde o doente é assistido.***

***Acresce ainda sublinhar que, de acordo com o INFARMED, I.P. não foi submetido nenhum pedido de AUE para o doente em apreço por parte da unidade hospitalar onde este é seguido. [...]***

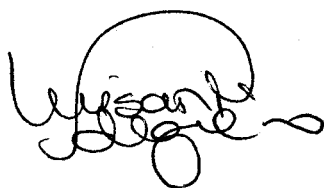
Nestes termos e tendo em consideração o referido, considera-se que está reunida a informação suficiente para que desta iniciativa seja dado conhecimento ao Peticionário.

**Parecer**

- 1 – De acordo com o disposto no nº 8 do artigo 17º da Lei 45/2007 de 24 de Agosto, deverá este relatório final ser remetido a S. Exa. a Presidente da Assembleia da República e ao Governo;
- 2 – Conforme o disposto no artigo 24º, e tendo em conta que reúne apenas uma assinatura deve prosseguir os ulteriores trâmites regimentais e ser arquivada;
- 3 – Deverá ser dado conhecimento ao peticionário do presente relatório, bem como das providências adotadas.

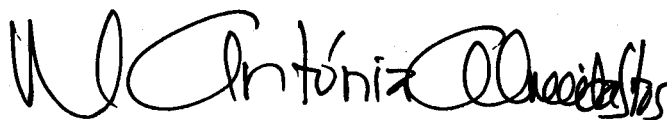
Assembleia da República, 15 de julho de 2015.

A Deputada Relatora



(Luísa Salgueiro)

A Presidente da Comissão



(Maria Antónia Almeida Santos)