

Ictiose

Doenças Raras

Eurico Castro Alves
Presidente do Conselho Diretivo

INFARMED - Autoridade Nacional do Medicamento e
Produtos de Saúde, I.P.

09 de abril de 2014

Ictiose - caracterização

- Grupo heterogéneo de dermatoses, maioritariamente por determinação genética, só raramente adquiridas.
- Característica comum: queratinização anómala da epiderme, conferindo à superfície cutânea um aspeto descamativo peculiar, evocativo de escamas de peixe (*ictios*=peixe).
 - Patologia complexa: atualmente existem mais de 24 tipos de ictioses diferentes, alguns dos quais raros e de diagnóstico difícil.
- Prevalência de ictiose de determinação genética: 13,3/milhão hab



≈ 140 doentes em PT

“Prevalence of inherited ichthyosis in France: a study using capture-recapture method”

Dreyfus I et al. Orphanet J Rare Dis. 2014 Jan 6;9(1):1

Ictiose - tratamento

- Tratamento tópico
 - Emolientes, hidratantes e queratolíticos
 - Formulações de tópicos contendo alfa hidroxiácidos como ácido láctico e ácido glicólico
 - Formulações para uso tópico contendo propilenoglicol
 - Quando a descamação é excessiva: aplicação de cremes ou pomadas queratolíticas contendo ácido salicílico (2 a 5%), ou ureia (10 a 20%).
- Tratamento sistémico
 - Acitretina
 - efeitos adversos significativos, incluindo fetotoxicidade e teratogenicidade
 - Isotretinoína
 - efeitos adversos significativos, incluindo fetotoxicidade e teratogenicidade

Ictiose - tratamento

- Com indicação terapêutica aprovada para a ictiose

Classificação farmacoterapêutica	Denominação Comum Internacional	Forma Farmacêutica	Comparticipação
13.3.2	Acitretina	Cápsula	37%

- Sem indicação terapêutica aprovada para a ictiose

Classificação farmacoterapêutica	Denominação Comum Internacional	Forma Farmacêutica	Comparticipação
13.3.1	Tacalcitol	Pomada	37%
13.3.1	Betametasona + Calcipotriol	Pomada	37%
13.3.1	Calcitriol	Pomada	37%
13.3.1	Betametasona + Calcipotriol	Gel	37%
13.3.1	Triamcinolona + Ácido salicílico	Líquido cutâneo	37%

Classificação farmacoterapêutica	Denominação Comum Internacional	Forma Farmacêutica	Comparticipação
13.4.2.2	Isotretinoína	Cápsula	37%

Ictiose – Preços e comparticipação

N.º REGISTO	NOME COMERCIAL	DCI	FORMA FARMACÊUTICA	DOSAGEM	EMBALAGEM	TITULAR AIM	PREÇO	COMP Regime Geral	COMP Regime Especial	GENÉRICO
8756403	Neotigason	Acitretina	Cápsula	10 mg	20	Actavis Group PTC ehf.	13,73	37%	90%	N
8756411	Neotigason	Acitretina	Cápsula	10 mg	50	Actavis Group PTC ehf.	28,72	37%	90%	N
8756437	Neotigason	Acitretina	Cápsula	25 mg	50	Actavis Group PTC ehf.	57,02	37%	90%	N
2809184	Bonalfa	Tacalcitol	Pomada	4 µg/g	30 g	Isdin	15,47	37%	90%	N
4945283	Bonalfa	Tacalcitol	Pomada	4 µg/g	50 g	Isdin	24,53	37%	90%	N
3872686	Daivobet	Betametasona + Calcipotriol	Pomada	0.5 mg/g + 0.05 mg/g	30 g	Leo Pharmaceutical Products	24,98	37%	90%	N
3872785	Daivobet	Betametasona + Calcipotriol	Pomada	0.5 mg/g + 0.05 mg/g	60 g	Leo Pharmaceutical Products	46,55	37%	90%	N
5146402	Daivobet	Betametasona + Calcipotriol	Gel	0.5 mg/g + 0.05 mg/g	30 g	Leo Pharmaceutical Products	24,91	37%	90%	N
5146410	Daivobet	Betametasona + Calcipotriol	Gel	0.5 mg/g + 0.05 mg/g	60 g	Leo Pharmaceutical Products	46,54	37%	90%	N
8790402	Localone	Triamcinolona + Ácido salicílico	Líquido cutâneo	0.2 mg/ml + 1 mg/ml	125 ml	Pierre Fabre Dermo-Cosmétique Portugal	6,13	37%	90%	N

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Regime de Comparticipação de medicamentos destinados a portadores de ictiose – **PONTOS COMUNS**
 - *Os medicamentos queratolíticos e psoriáticos, pertencentes à CFT 13.3.1 (de aplicação tópica) e 13.3.2 (de ação sistémica) – comparticipados pelo escalão C, passam a ser comparticipados pelo escalão A, quando destinados a portadores de ictiose.*
 - *O doente deve fazer-se acompanhar de documentação que comprove que é portador de ictiose.*
 - *Os doentes deverão ter acesso a centros de referência de dermatologia.*
 - *Os doentes deverão ter acesso ao dístico de deficientes para veículos.*

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

DIFERENÇAS (não são da competência do Infarmed)

- Projeto de Lei n.º 187/XII/1.^a - GP CDS-PP
 - Os doentes de ictiose deverão ter acesso ao dístico de deficientes para veículos, desde que devidamente comprovado pelos centros de referência de dermatologia habilitados para o efeito.
- Projeto de Lei n.º 487/XII/ 3.^a - GP do PEV
 - Necessidade de fomentar a investigação sobre doenças raras e o desenvolvimento de medicamentos para estas patologias.
 - Os doentes de ictiose deverão ter acesso ao cartão de doença rara.
 - Os doentes de ictiose deverão beneficiar de ajuda para o acesso a tratamentos termiais, parte fundamental do tratamento da doença.

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Pontos a considerar (Infarmed)
 - Prescrição efetuada apenas por médicos especialistas em dermatologia
 - Dispensa limitada ao ambiente hospitalar
 - Exclusão da majoração de comparticipação em ictioses secundárias (não determinadas geneticamente)

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Pontos a considerar (Infarmed)
 - A existência de um único medicamento com autorização terapêutica aprovada para a ictiose poderá condicionar a aplicabilidade deste projeto de lei



Dos medicamentos tópicos e sistémicos utilizados no tratamento da ictiose, apenas a acitretina tem aprovada indicação específica para esta patologia no Resumo das Características do Medicamento

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Constrangimento regulamentar

Apenas a acitretina pode atualmente ser incluída num regime especial de comparticipação para ictiose



Decreto-Lei n.º 176/2006 de 30 de agosto, redação atual
(Estatuto do Medicamento)

Artigos 4.º n.º1, 5.º n.º1, 14.º n.º1, 15.º n.º2 alínea b) e 181.º n.º2 alínea b)

Decreto-Lei n.º48-A/2010 de 13 de maio, redação atual
Artigos 4.º n.º1 alínea a), 7.º n.ºs1 e 2 e 20,º n.º2

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Decreto-Lei n.º 176/2006 de 30 de agosto, redação atual (Estatuto do Medicamento)
 - Art.º 4.º n.º1: princípio do primado da proteção da saúde pública.
 - Art.º 5.º n.º1: prescrição médica ou da dispensa pelo farmacêutico, deve realizar-se no respeito pelo princípio do uso racional do medicamento, no interesse dos doentes e da saúde pública
 - Art.º 14.º n.º1: a comercialização de medicamentos no território nacional está sujeita a autorização do órgão máximo do INFARMED, I.P.
 - Art.º 15.º n.º2 alínea b): requerimento para autorização de introdução no mercado deve incluir indicações terapêuticas, contraindicações e reações adversas;
 - Art.º 181.º n.º2 alínea b): contraordenação por (...) introdução no mercado, comercialização, dispensa, fornecimento ou venda ao público (...), ou administração de medicamentos em desconformidade com os termos das respetivas autorizações ou registos.
- Decreto-Lei n.º48-A/2010 de 13 de maio, redação atual
 - Art. 4.º n.º1 alínea a): condições de comparticipação
 - Art.º 7.º n.ºs1 e 2: pedido de comparticipação deve ser acompanhado de comprovativo das indicações terapêuticas
 - Art.º 20,º n.º2: comparticipação pode ser restringida a determinadas indicações terapêuticas fixadas no diploma que estabelece a comparticipação

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Tratamento com acitretina:
 - Participação a 37% (esc. C)
 - Se a participação for alterada para 90% nos portadores de ictiose (esc. A)

Escalões de participação
Escalão A: 90%
Escalão B: 69%
Escalão C: 37%
Escalão D: 15%
R. Especial: por beneficiários ou por patologia



Aumento da despesa anual para o SNS
estimado em 30 000 €

Ictiose - Projetos de Lei do GP do CDS-PP e do GP “Os Verdes”

- Criação de um regime de comparticipação de medicamentos destinados a portadores de ictiose que abranja todos os medicamentos utilizados no seu tratamento
 - Mediante inclusão da ictiose nas indicações terapêuticas dos respetivos Resumos das Características do Medicamento
 - Implica submissão de evidência científica pelas empresas farmacêuticas titulares, por ex. sob a forma de ensaios clínicos que comprovem a eficácia terapêutica desses medicamentos na indicação em apreço.



Estatuto do Medicamento Dec-Lei n.º 176/2006, 30 de agosto
- *Art.º 15.º n.º2 alínea j)* (requerimento para pedido de
autorização de introdução no mercado deve incluir resultado dos
ensaios farmacêuticos, pré-clínicos e clínicos)

Doenças Raras

- Qualquer doença que afete menos de 5 pessoas em cada 10 000 (definição da Comissão Europeia).
- UE: estimativa de 5 000 a 8 000 doenças raras, que afetam entre 6 % a 8 % da população.



27 a 36 milhões na UE

- Portugal: 630.000 portadores de doenças raras, assumindo uma prevalência de 6% na população.

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

- Aspectos a clarificar
 - *Art. 2º, n.º1 - O preço dos medicamentos destinados ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças raras é inteiramente suportado pelo Estado.*
 - Definição das doenças raras abrangidas pelo Projeto de Lei
 - abranger toda e qualquer doença rara, ou apenas as crónicas, progressivas e degenerativas, ou que constituam um risco para a vida?
 - Definição dos medicamentos destinados ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças raras abrangidos
 - o Projeto de Lei propõe que a lista seja definida e publicada pelo Ministério da Saúde



Necessidade de definir os princípios de construção da lista

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

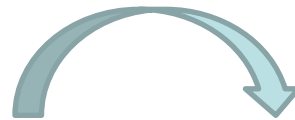
- *Art. 2º, n.º1 - O preço dos medicamentos destinados ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças raras é inteiramente suportado pelo Estado. (cont.)*
 - Estimativa de encargos
 - Estimativa correta: necessário saber o número de doentes e o custo médio de tratamento por doente, para cada doença rara
 - A título de exemplo - Paramiloidose
 - » doentes têm acesso gratuito aos medicamentos destinados ao tratamento da doença
 - » encargo anual para o mercado ambulatorio do SNS em 2011: 1,7M€ (Fonte: SIARS)
 - 2.000 doentes com paramiloidose em Portugal
 - encargo médio anual com cada doente em ambulatorio de 865€

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

- *Art. 2º, n.º2 – Sem prejuízo do número anterior, o preço dos restantes medicamentos comparticipados pelo Estado, quando destinados a doenças raras, é comparticipado pelo Escalão A*
 - *Quais os restantes medicamentos, para além dos medicamentos destinados ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças raras (Art. 2º, n.º1), que se pretende que sejam abrangidos?*
 - *todo e qualquer medicamento comparticipado, desde que se destine a um portador de doença rara, independentemente da indicação terapêutica?*

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

- Assumindo uma prevalência de doenças raras na população portuguesa de 6%; $n=630.000$
- Considerando que os portadores de doenças raras representariam para o mercado ambulatório do SNS o mesmo encargo que os doentes com paramiloidose



A estimativa de encargos anuais para o SNS, com o mercado ambulatório de medicamentos destinados a doentes portadores de doenças raras, seria **545 M€**.

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

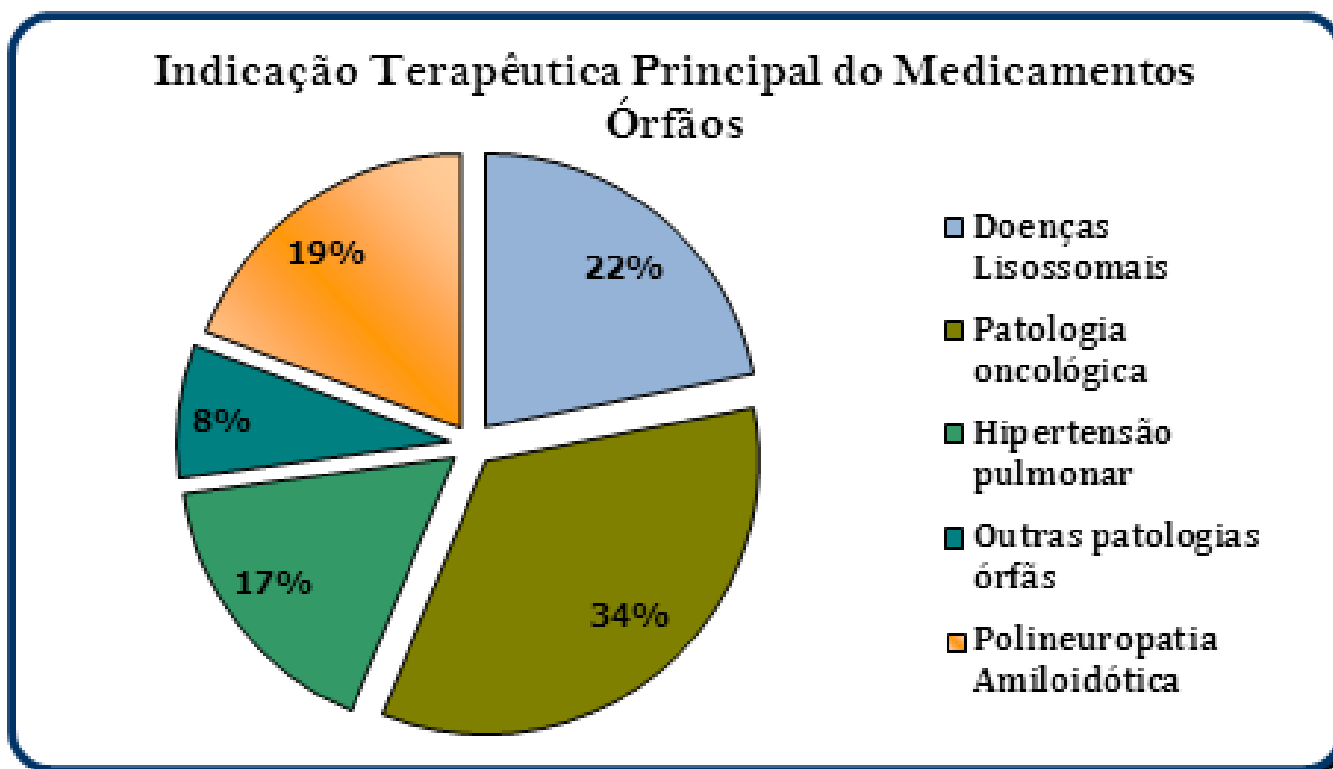
- *Art. 3º, n.º1 - Todos os medicamentos órfãos são automaticamente abrangidos.*
 - Medicamentos utilizados no diagnóstico, prevenção e tratamento de doenças raras que constituem um risco para a vida ou são cronicamente debilitantes (Regulamento (CE) n.º 141/2000 16dez99)
 - Atualmente, 97% dos medicamentos órfãos já são distribuídos nos Hospitais do SNS e comparticipados a 100% pelo Estado



Impacto atual deste Projeto de Lei na despesa com medicamentos, ao nível dos medicamentos órfãos, é de € **28 582**

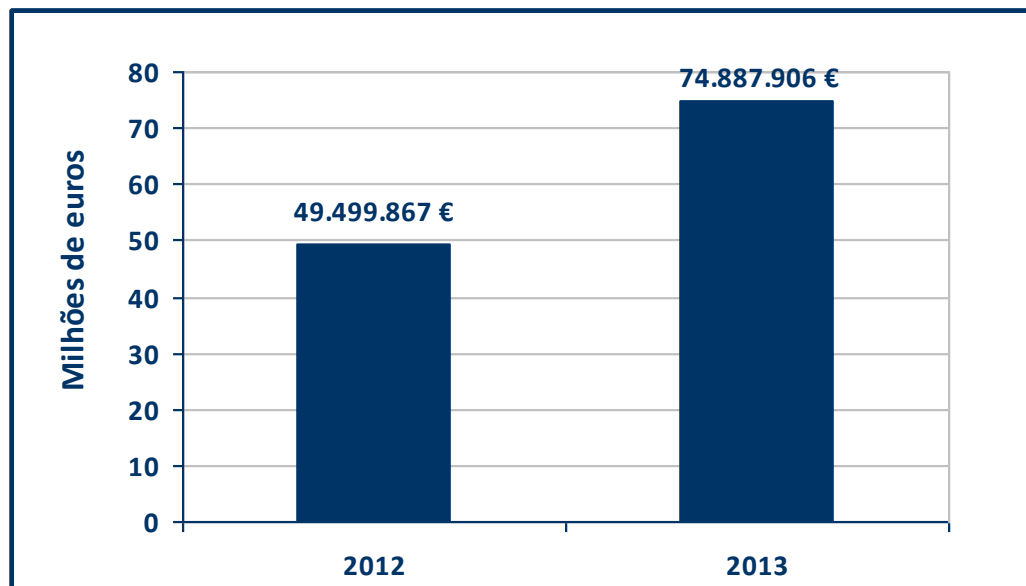
Medicamentos Órfãos

- Indicações Terapêuticas Principais



Medicamentos Órfãos

- Despesa



Em 2013: **74,9 M€**



7,7% da despesa total com medicamentos

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

- *Art. 3º, n.º1 - Todos os medicamentos órfãos são automaticamente abrangidos.*

- Inclusão de novos medicamentos órfãos



Necessitam de avaliação farmacoeconómica: avaliação de preço face ao valor terapêutico acrescentado e n.º de doentes a tratar (Art.º 20.º do Anexo I Decreto-Lei n.º 48-A/2010 de de 13 de maio, redação atual)

- Análise realizada em novembro de 2013: 34% (19 em 56) dos medicamentos avaliados para financiamento de âmbito hospitalar (avaliação prévia hospitalar), tinham o estatuto de medicamento órfão.

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

- Pontos a considerar:
 - Regimes especiais de comparticipação para formas graves de doenças raras (definição de doença rara baseia-se apenas na prevalência).
 - Necessário identificar as doenças raras existentes em Portugal e o n.º de portadores.

Projeto de Lei do GP do Bloco de Esquerda

- Pontos a considerar:
 - Restrição do regime especial de participação a determinados prescritores e/ou locais de prescrição, como os centros de tratamento de doenças raras.
 - Pretende-se que fiquem abrangidos medicamentos comparticipados que tenham indicação aprovada em sede de AIM numa doença rara, ou todos os medicamentos comparticipados, independentemente da indicação aprovada, desde que destinados a portadores de doenças raras?