

PROJETO DE RESOLUÇÃO N.º 1060/ XIV / 2ª

Maior agilização e celeridade no acesso a terapêuticas inovadoras.

Exposição de Motivos

De acordo com a Petição n.º 200/XIV/2ª, subscrita por mais de 18.000 cidadãos:

“A Fibrose Quística (FQ) é a doença hereditária autossómica recessiva mais frequente nos caucasianos, ocorrendo na Europa em cerca de 1/2500 nascimentos vivos. Em Portugal a incidência estimada é de 1/7000 nascimentos vivos.

É uma doença monogénica, causada por mutações do gene regulador da condutância transmembranar da fibrose quística (CFTR), estando descritas até ao momento mais de 2000 mutações e sendo a mutação F508 a mais frequente. Esta alteração ocasiona disfunção da proteína CFTR da membrana apical que regula o transporte de cloro e sódio nas células epiteliais secretoras, levando a concentrações anormais de iões de ambos os lados das membranas apicais. O resultado é a desidratação das secreções e o aumento da sua viscosidade, favorecendo a obstrução dos canais das glândulas exócrinas.

As manifestações da doença ocorrem em graus variados no pâncreas, pulmões, fígado e intestino. As consequências clínicas incluem uma doença multisistémica caracterizada por doença pulmonar progressiva, disfunção pancreática, doença hepática que pode progredir para cirrose, problemas de motilidade intestinal e electrólitos elevados no suor. Apesar das manifestações clínicas ocorrerem em diversos órgãos, as alterações pulmonares são responsáveis por 90% da morbidade e mortalidade na FQ. O início do comprometimento pulmonar é variável, surgindo semanas, meses ou anos após o nascimento. A doença pulmonar evolui frequentemente para insuficiência respiratória.

A FQ é provavelmente a doença crónica em que a sobrevivência e a qualidade de vida melhoraram mais nos últimos 40 anos, tendo a esperança média de vida passado de 10 anos em 1960 para 38 anos em 2010. Estima-se que uma criança que nasce hoje com FQ tem uma hipótese superior a 80% de atingir os 40 anos de idade. Esta melhoria no prognóstico e na qualidade de vida deve-se a um diagnóstico mais precoce para o qual muito tem contribuído o rastreio neonatal, o melhor conhecimento da doença e o tratamento precoce. No entanto, um estudo publicado na revista The Lancet divulga a enorme disparidade na esperança de vida dos doentes com FQ nas diversas regiões Europeias, independentemente de tamanho demográfico e frequência genética. Esta disparidade é explicada pelo facto de a maioria das crianças nascidas com esta patologia em alguns países da União Europeia ter uma maior probabilidade

de vir a apresentar uma forma mais grave da doença por diagnóstico tardio e menor acesso a assistência médica e medicamentosa apropriada.”

Estas informações foram integralmente reiteradas ao Grupo Parlamentar do CDS-PP, em reunião com a Associação Nacional de Fibrose Quística, com a Associação Portuguesa de Fibrose Quística, com a primeira signatária da referida Petição e com uma médica que é Mãe de uma criança com Fibrose Quística.

Nos últimos dias, a dificuldade no acesso a terapêuticas inovadoras para tratamento de Fibrose Quística tomou proporções mediáticas, através do caso de uma jovem que fez um apelo público nas redes sociais, sensibilizando o país.

No entanto, este não é, infelizmente, o primeiro caso tornado público acerca da dificuldade de acesso a terapêuticas inovadoras, em consequência da morosidade no tratamento dos processos de aprovação junto do INFARMED, I.P., seja na avaliação fármaco-terapêutica ou na avaliação fármaco-económica.

O CDS-PP entende não ser aceitável que o regulador nacional demore, muitas vezes anos, a autorizar a introdução no mercado de terapêuticas inovadoras cuja eficácia já está comprovada por reguladores internacionais – como a Agência Europeia do Medicamento e a Food and Drug Administration - e que podem salvar vidas ou, pelo menos, melhorar muito a esperança e qualidade de vida de muitas de pessoas.

No caso concreto da Fibrose Quística, estima-se que existam em Portugal cerca de 400 pessoas com esta doença rara e os medicamentos inovadores para o seu tratamento – tanto para adultos, como para tratamento em idade pediátrica – estão, neste momento, dependentes de Autorização de Utilização Especial (AUE) através do Programa de Acesso Precoce (PAP). O que se tem vindo a verificar é que estes processos de AUE e PAP são demasiado morosos, burocráticos e que a celeridade na resposta que tem sido dada não se coaduna com a urgência dos doentes no acesso aos medicamentos.

Importa frisar, conforme já se referiu, que estes atrasos do INFARMED, I.P. na aprovação de tratamentos inovadores não se verificam apenas no caso da Fibrose Quística, nem só para tratamentos inovadores para doenças raras. Verifica-se, também, na aprovação de medicamentos inovadores para várias outras doenças, muitas vezes para as quais também não existe alternativa terapêutica eficaz.

Ora, o CDS-PP considera que, garantindo a segurança dos medicamentos e dos doentes, é determinante tornar estes processos de autorização mais ágeis e céleres.

Cientes de que estamos, na maioria dos casos, perante medicamentos extremamente onerosos para o Estado, entendemos, contudo, que um verdadeiro investimento em saúde é o investimento na qualidade de vida das pessoas doentes, proporcionando-lhes acesso ágil e em tempo útil aos medicamentos que lhes assegurem maior esperança de vida, maior qualidade de vida, dignidade na doença e, assim, ajudando-as a que continuem pessoas ativas. E, ao

continuarem ativas e com menor recurso a potenciais internamentos, o saldo também para o Estado será positivo.

Tomando de novo o exemplo da Fibrose Quística, foi-nos transmitido que o internamento de um doente grave dura, no mínimo, três semanas, muitas vezes em Cuidados Intensivos havendo doentes que chegam a ser sujeitos a cinco internamentos por ano. Ora, os encargos que estes internamentos representam para o Estado, por cada doente, poderiam ser muitas vezes evitáveis se estes doentes tivessem acesso precoce aos medicamentos inovadores o que, manifestamente, não está a acontecer.

Não podemos resignar-nos a que, em Portugal, os doentes que precisam de medicamentos inovadores, muitas vezes para salvar a vida, estejam a ser prejudicados face a doentes de outros países onde o acesso a esses mesmos medicamentos está assegurado. O regulador nacional tem, evidentemente, de ser exigente e competente na avaliação das terapêuticas inovadoras e na negociação com a indústria farmacêutica. Mas tem de ser, também, célere na sua aprovação.

Pelo exposto, e ao abrigo das disposições constitucionais e regimentais aplicáveis, os Deputados do Grupo Parlamentar do CDS-PP abaixo assinados apresentam o seguinte Projeto de Resolução:

Nos termos da alínea b) do artigo 156º da Constituição e da alínea b) do nº 1 do artigo 4º do Regimento, a Assembleia da República recomenda ao Governo que diligencie com urgência junto do INFARMED, I.P. para que:

- 1 – Tanto na avaliação fármaco-terapêutica como na avaliação fármaco-económica de medicamentos inovadores, sejam priorizados os medicamentos inovadores que não têm alternativa terapêutica eficaz.
- 2 – Sejam agilizadas as etapas de introdução no mercado de todas as terapêuticas inovadoras para tratamento da Fibrose Quística.

Palácio de São Bento, 08 de Março de 2021.

Os Deputados do CDS-PP,

Ana Rita Bessa
Telmo Correia
Cecília Meireles
João Almeida
João Gonçalves Pereira