



**REPÚBLICA
PORTUGUESA**

GABINETE DA MINISTRA DA SAÚDE

Exma. Senhora
Dra. Catarina Gamboa
Chefe do Gabinete do Secretário de
Estado
dos Assuntos Parlamentares
Palácio de São Bento (A.R.)

SUA REFERÊNCIA	SUA COMUNICAÇÃO DE	NOSSA REFERÊNCIA	DATA
Ofício n.º 3659	28/09/2020	N.º: ENT.: 12877/2020 PROC. N.º: 12/2020 040.05.03/2020	30/09/2020

Assunto: Pergunta n.º 42/XIV/2.ª de 28 de setembro de 2020 do Grupo Parlamentar do Partido Comunista Português (PCP) - Novos medicamentos para a fibrose quística

Relativamente ao assunto em epígrafe, consultado o INFARMED - Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I.P., encarrega-me a Senhora Ministra da Saúde de informar o seguinte:

A Fibrose Quística (FQ) é uma doença hereditária causada por mutações no gene que codifica a síntese de uma proteína de transporte, a CFTR. A doença é multissistémica, afetando todos os órgãos que expressam este gene, particularmente o sistema respiratório e digestivo. Os tratamentos atualmente disponíveis visam o controlo da doença.

Em 2012, foi aprovado, o primeiro fármaco modelador da CFTR que atua diretamente na causa da doença - Kalydeco. Foram, entretanto, aprovados mais três medicamentos modeladores da CFTR - Orkambi, Symkevi e Kaftrio.

Estes medicamentos encontram-se em avaliação no INFARMED, I.P., para efeitos de financiamento público - Kalydeco e Orkambi desde 2016, Symkevi desde 2019 e Kaftrio foi recentemente submetido. Os medicamentos Kalydeco e Orkambi encontram-se em fase final de negociação.



Os medicamentos são aprovados pelas entidades regulamentares competentes apenas quando demonstram eficácia no tratamento de determinada patologia. Para efeitos de financiamento público (comparticipação ou avaliação prévia hospitalar), importa avaliar a eficácia relativa dos novos tratamentos face ao tratamento preconizado nacionalmente para a patologia em causa, bem como a avaliar a sua vantagem económica, nomeadamente através dos resultados de custo efetividade incremental e impacto orçamental.

O INFARMED, I.P. encontra-se a avaliar o pedido de financiamento dos novos medicamentos para tratamento da fibrose quística (Kalydeco, Orkambi, Symkevi e Kaftrio).

O processo de negociação com o titular de AIM destes medicamentos (Vertex Pharmaceuticals) encontra-se já a decorrer. Refira-se que se trata de medicamentos com elevado impacto orçamental e rácios de custo-efetividade incremental muito elevados, com histórico de negociações longas e complexas noutros Estados Membros.

Importa salientar que, enquanto os medicamentos estão a ser avaliados para efeito de financiamento público, o acesso pode ser concedido no âmbito de um programa de acesso precoce, através de pedido de Autorização de Utilização Excepcional (AUE), por parte do Centro Hospitalar que segue o doente, para situações específicas em que o doente corre risco imediato de vida ou de complicações graves, e se verifique ausência de alternativa terapêutica. Neste âmbito, foram já concedidas cerca de 47 AUEs a doentes com fibrose quística.

Com os melhores cumprimentos,

A Chefe do Gabinete

(Eva Falcão)