



Ministério da Saúde

boletim de FARMACOVIGILÂNCIA

VOLUME 7 - NÚMERO 4 - 4º TRIMESTRE 2003



infarmed
Instituto Nacional
da Farmácia
e do Medicamento



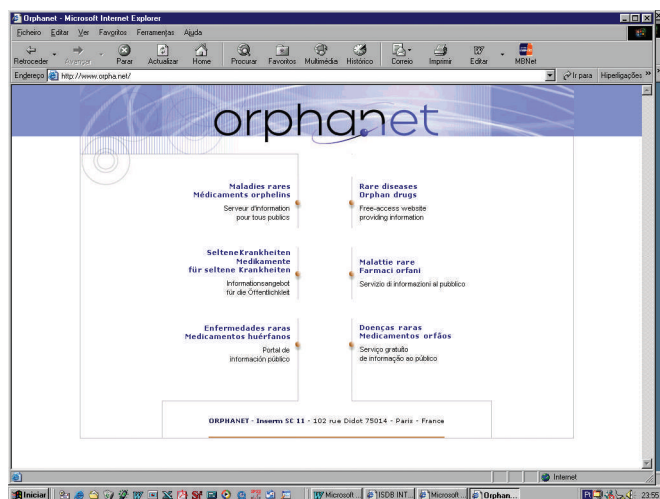
MINISTÉRIO DA SAÚDE

Notas do Editor

Dedica-se este último número especial de 2003 à divulgação dos Medicamentos Órfãos, ou seja, em termos muito gerais, medicamentos com um estatuto especial por se destinarem à abordagem e tratamento de patologias particularmente raras (de origem genética, auto-imune ou infecciosa), incluindo formas de cancro de grande raridade e patologias sem diagnóstico preciso. Mais concretamente, trata-se de medicamentos não desenvolvidos pela indústria farmacêutica por motivos de rentabilidade mas que correspondem a uma necessidade de saúde pública. Note-se que incluem desde medicamentos para doenças raras até medicamentos para doenças frequentes em mercados não solventes, nomeadamente do Terceiro Mundo.

Este não é portanto strictu sensu um número de Farmacovigilância, mas que implicitamente levanta questões de segurança muito específicas. Com efeito, para medicamentos cuja utilização é excepcionalmente limitada, como é o caso, a atenção a potenciais reacções adversas por parte dos médicos prescritores e outros prestadores de cuidados envolvidos adquire uma relevância extrema. Se, para outros medicamentos de "uso corrente", se poderá dizer que o respectivo perfil de segurança na realidade nunca se encontra completamente esclarecido, para os medicamentos órfãos esta premissa assume toda uma outra dimensão.

Na Internet encontra-se disponível um sítio sobre medicamentos órfãos – a ORPHANET (<http://www.orpha.net>) – com áreas para os profissionais de saúde, mas também para doentes, indústria e público em geral. O acesso à informação pode ser feito em seis línguas diferentes, incluindo português.



Permite fazer pesquisas por: doença, sinais clínicos, meios de diagnóstico, nome de medicamento ou princípio activo.

Rui Pombal

Como posso notificar uma reacção adversa?

Impresso RSF

amarelo (médicos), roxo (farmacêuticos) ou branco (enfermeiros)

Centro Nacional de Farmacovigilância

Tel: 217 987 140 - Fax: 217 987 155

E-mail: infarmed.dvig@infarmed.pt

Unidade de Farmacovigilância do Norte

Tel: 225 573 990 - Fax: 225 573 971

E-mail: ufn@med.up.pt

OU

Núcleo de Farmacovigilância do Centro

Tel: 239 851 830 - Fax: 239 851 839

E-mail: farmacovigilancia@nfc.pt

Unidade de Farmacovigilância do Sul

Tel: 217 802 120 - Fax: 217 802 129

E-mail: ufs@infarmed.pt

Medicamentos Órfãos – Uma Rara Realidade?

Nas últimas décadas, a medicina e a investigação terapêutica obtiveram progressos assinaláveis que conduziram à diminuição da mortalidade, ao aumento da esperança de vida e à erradicação de várias doenças. Subsistem, no entanto, muitas doenças de incidência extremamente baixa para as quais não existem medicação, diagnóstico, prevenção e/ou tratamento satisfatórios. Como afectam apenas um número restrito de doentes, o investimento necessário à investigação de medicamentos específicos acaba por ser muito "desproporcionado" em relação aos benefícios esperados quando analisados de uma perspectiva absoluta e meramente quantitativa.

Estima-se na UE em 6.000 a 8.000 o número destas doenças de elevada raridade, de entre um total de aproximadamente 30.000 conhecidas em todo o mundo, o que corresponde a cerca de 25 a 30 milhões de cidadãos europeus, na sua maioria crianças. Setenta a 80% destas doenças são aliás de origem genética.

Como é lógico, os doentes com estas patologias têm igualmente o direito de dispor de medicamentos com qualidade, segurança e eficácia análogas às dos oferecidos aos outros doentes pela indústria farmacêutica. Os medicamentos órfãos (MO) surgem assim, como medicamentos utilizados no diagnóstico, prevenção ou tratamento de doenças de tal modo raras que o retorno de investimentos efectuados no seu desenvolvimento dificilmente se verificaria.

FICHA TÉCNICA | **Directora:** Dr.ª Regina Carmona **Editor:** Dr. Rui Pombal **Apoio Editorial:** Dr.ª Paula Roque **Corpo Redactorial:** Dr.ª Ana Araújo, Prof.ª Doutora Cristina Sampaio, Dr. Eugénio Teófilo, Dr.ª Isabel Afonso, Prof. Doutor Jorge Polónia, Dr.ª M. Rosário Pereira Rosa, Dr. Pedro Marques da Silva, Dr.ª Sofia Borges, Prof. Doutor Vasco Maria; **Conselho Consultivo:** Dr. A. Faria Vaz, Dr.ª Ana Corrêa Nunes, Prof. Doutor J.M.G. Toscano Rico; Prof. Doutor Frederico José Teixeira; Prof. Doutor Jorge Gonçalves; Prof. Doutor J.M. de Sousa Pinto; Dr. J.C.F. Marinho Falcão; Prof.ª Doutora Rosário Brito Correia Lobato; **Redacção e Administração:** INFARMED-Instituto Nacional de Farmácia e do Medicamento, Parque de Saúde de Lisboa, Av. Brasil, Nº 53, 1749-004 Lisboa, Tel. 21 798 71 00, Fax. 21 798 73 16, correio electrónico: infarmed@infarmed.pt; **Design e Produção Gráfica:** PROS - Promoções e Serviços Publicitários; **Execução Gráfica:** Gráfica Maiadouro; **Depósito Legal:** 00. 000; **ISSN:** 0873-7118; **Tiragem:** 38.000

O historial da designação de medicamentos órfãos é ainda bastante recente: só em 1999 surge na Europa o Regulamento 141/2000 do Parlamento e Conselho Europeus, relativo aos medicamentos órfãos. O objectivo deste Regulamento é dar um impulso ao progresso na investigação no domínio das doenças raras, introduzindo uma série de incentivos directos e encorajando os Estados Membros a adoptarem medidas semelhantes e/ou complementares a nível nacional¹, para a pesquisa, desenvolvimento e colocação no mercado desses mesmos medicamentos².

Para que um medicamento seja considerado órfão é necessário obter a sua designação como tal. Os critérios de designação são especificados no Regulamento 847/2000 e podem dividir-se em quatro tipos³:

I. Critério geral - qualquer medicamento a ser utilizado no diagnóstico, prevenção e tratamento de uma doença cronicamente debilitante, rara e que coloque a vida em risco.

II. Critério Epidemiológico - haver um máximo de 5 casos em cada 10.000 pessoas.

III. Critério Económico - o medicamento não perfazer o retorno necessário ao seu desenvolvimento e investigação.

IV. Métodos inexistentes ou superioridade clínica do tratamento – baseia-se no facto de não haver nenhum método satisfatório de diagnóstico, prevenção ou tratamento autorizado pela UE; alternativamente, embora esse método possa existir, o medicamento em questão terá um benefício terapêutico superior.

Os critérios para designação podem ser baseados em I + II + III ou I + III + IV.

Desde 2000, ano em que o Regulamento entrou em vigor, já foram designados 159 medicamentos como MO. No entanto, até à presente data, só onze destes medicamentos [Quadro I] obtiveram Autorização de Introdução no Mercado e isto devido à complexidade da avaliação dos critérios de segurança, eficácia e qualidade.

Quadro I.

Medicamentos Órfãos com AIM a nível da UE.

PRODUTO	INDICAÇÃO ÓRFÃ DESIGNADA
1,5-(BUTILIMINO)-1,5-DIDEOXI, D-GLUCITOL	Doença de Gaucher
ÁCIDO N-CARBAMIL-L-GLUTÂMICO	Deficiência de N-acetilglutamato sintetase
ALFA-GALACTOSIDASE A	Doença de Fabry
BOSENTAN	Hipertensão pulmonar
BUSULFAN (IV)	Terapêutica de condicionamento prévia ao transplante de células hematopoiéticas progenitoras
CELECOXIBE	Polipose Adenomatosa Familiar
ILOPROST	Hipertensão Pulmonar Primária e Secundária (algumas etiologias)
LARONIDASE	Mucopolissacaridose tipo I
MESILATO DE IMATINIB	Leucemia Mielóide Crónica
PEGVISOMANT	Acromegalia
TRIOXIDO DE ARSÉNICO	Leucemia Promielocítica Aguda

Um dos grandes problemas colocados pelas doenças muito raras é que frequentemente o diagnóstico precoce é essencial para o tratamento e qualidade de vida do doente, se não mesmo para a sua sobrevivência. Assim, é vital que estes doentes sejam referenciados o mais rapidamente possível para uma equipa médica especializada que possua experiência, um interesse especial, bem como um acesso rápido e fácil à medicação necessária, caso esta exista.

Para tal é necessário consciencializar não só os profissionais e autoridades de saúde, mas também a comunidade científica em geral, a indústria farmacêutica, as entidades da Segurança Social, professores e, especialmente, os políticos e decisores.⁴ Para promover essa consciencialização já se deu um primeiríssimo passo com a entrada em vigor do Regulamento UE 141/2000 para os medicamentos órfãos e cujo Comité responsável pela designação dos mesmos inclui, entre outros, representantes das associações de doentes.

Isabel Afonso
2003/Dez

REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Inventário de medidas comunitárias e nacionais de incentivo à investigação, desenvolvimento e à colocação no mercado de medicamentos órfãos - online em: <http://pharmacos.eu-dra.org/F2/orphanmp/doc/inventory/inventory-pt.pdf>

2. Regulamento (CE) n.º 141/2000 do Parlamento Europeu e do Conselho Europeu de 16 de Dezembro de 1999.

3. Regulamento (CE) n.º 847/2000 da Comissão Europeia de 27 de Abril.

4. European Regulations to develop viable Orphan Drugs, 26-27 de Março de 2001.

O Que Significam?!

AIM - Autorização de Introdução no Mercado

CPMP - Comité (Europeu) de Especialidades Farmacêuticas (Committee of Proprietary Medicinal Products)

EMA - Agência Europeia de Avaliação do Medicamento (European Medicines Evaluation Agency)

FI - Folheto Informativo

RAM - Reacção Adversa Medicamentosa

RCM - Resumo das Características do Medicamento