

I JORNADAS TERAPÊUTICAS

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

10 de Abril de 2006
Edifício Tomé Pires
Parque da Saúde de Lisboa

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- Estatuto do Medicamento
- EMEA/CHMP/5579/2004/v11/Draft
 - Regulamento (CE) n.º 726/2004
 - Número 33 do Preâmbulo
 - Artigos 3 (1) e (2) e 83 (1) e (2)

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

alínea e) do artigo 2.º da Lei n.º 46/2004, de 19 de Agosto;

Medicamento experimental:

- A forma farmacêutica de uma substância activa ou placebo, testada ou utilizada como referência num ensaio clínico, incluindo os medicamentos cuja introdução no mercado haja sido autorizada, mas sejam utilizados ou preparados, quanto à forma farmacêutica ou acondicionamento, de modo diverso da forma autorizada, ou sejam utilizados para uma indicação não autorizada ou destinados a obter mais informações sobre a forma autorizada;

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- **Artigo 60º do Estatuto do Medicamento – Decreto-Lei n.º 72/91, de 8 de Fevereiro – Alterado pela Declaração de Rectificação n.º 65/91, de 2 de Abril, publicado no DR n.º 99, série IA, de 30 de Abril de 1991 e pelos Decretos-lei n.º 272/95, de 23 de Outubro, e 90/2004, de 20 de Abril e regulamentado pelo Despacho n.º 9114/2002, de 15 de Março (DR, 2.ª série, n.º 102, de 3 de Maio de 2002)**

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- Despacho n.º 247/96
- Despacho n.º 17 495/2000
- Aviso n.º 8351/2001 (Despacho 13 484-B/2001)
- Despacho n.º 9114/2002

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

É, por isso, necessária uma maior clareza na circunscrição das possíveis utilizações excepcionais, nomeadamente na distinção entre, por um lado, os medicamentos que, apesar de terem utilidade clínica bem reconhecida, não foram alvo de pedido de AIM e, por outro, produtos com avaliação de eficácia e segurança ainda não concluída cujas provas preliminares conhecidas permitem presumir a respectiva utilidade clínica, de tal modo que se justifique a sua utilização por doentes ou grupos de doentes com patologias graves e ou de evolução progressiva antes da concessão da AIM.

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- Quando, mediante justificação clínica, sejam considerados **imprescindíveis ao tratamento ou ao diagnóstico de determinadas patologias**;
 - Medicamentos com benefício clínico bem reconhecido; *consideram-se medicamentos com benefício bem reconhecido, nomeadamente, os medicamentos constantes do formulário hospitalar nacional de medicamentos ou de listagem a emitir pelo INFARMED.*
 - Medicamentos com provas preliminares de benefício clínico, incluindo os que se encontram em fase final de avaliação na União Europeia.
- Quando se destinam exclusivamente **a investigação e ensaios clínicos.**

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

Novo Estatuto do Medicamento (em fase de aprovação)

- **Autorização de utilização especial (Artigo 93º)**
- **a)** Mediante justificação clínica, sejam considerados imprescindíveis à prevenção, diagnóstico ou tratamento de determinadas patologias;
- **b)** Sejam necessários para dar resposta à propagação, actual ou potencial, de agentes patogénicos, toxinas, agentes químicos, ou de radiação nuclear, susceptíveis de causar efeitos nocivos;
- **c)** Em casos excepcionais, sejam adquiridos por serviço farmacêutico ou farmácia de oficina e dispensados a um doente específico.

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

Autorização excepcional (Artigo 94.º)

- O INFARMED pode autorizar, por razões fundamentadas de saúde pública, ainda que abrangidas pelo disposto no artigo anterior, a comercialização de medicamentos que não beneficiem de autorização ou registo válidos em Portugal ou que não tenham sido objecto de um pedido de autorização ou registo válido.

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- OLSS (open label safety study)
- "named-patient based study"
- ATU nominativo.
- ATU "de cohorte"
- EAP
- *compassionate use*
- *expanded access program*

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- Harmonizam das regras europeias, definindo um padrão de regras comum referentes a:
 - Condições de utilização
 - Condições de distribuição
 - Potenciais beneficiários destes novos medicamentos antes da AIM
- Facilitam e melhoram a igualdade de acesso pelos cidadãos dos vários estados membros
- Aumentam a transparência entre os Estados Membros no que diz respeito à disponibilidade de tratamentos.
- Pretendem satisfazer as legítimas expectativas dos doentes em relação ao uso compassivo de medicamentos.
- Aproximam as legislações dos diferentes Estados Membros no que diz respeito às boas práticas clínicas.

Acesso a medicamentos experimentais em situações de falência terapêutica

- O medicamento experimental tem de ser disponibilizado a pessoas com uma doença crónica, gravemente debilitante ou que a põem em risco de vida e que não pode ser tratada com outro medicamento aprovado na UE.
- Um programa de uso compassivo é destinado a um grupo de doentes – em consequência do estipulado no Artigo 83 – e não a doentes individuais – Artigo 5 da Directiva 2001/83/EC.
- O medicamento a utilizar está a ser sujeito a ensaios clínicos na UE ou noutra país ou tem em curso um pedido centralizado de autorização de introdução no mercado