

Análise feita ao período 2007-2014

Infarmed estuda consumo de medicamentos órfãos em Portugal

Isabel Tovar

Direção de Informação e Planeamento Estratégico do Infarmed

Foto: Mário Amorim / Infarmed Notícias

De acordo com a Agência Europeia de Medicamentos (EMA), estima-se que existam entre cinco mil e oito mil doenças raras, afetando entre 6 a 8 por cento da população da União Europeia (EU), ou seja, entre 27 a 36 milhões de pessoas.¹

O investimento necessário à investigação de medicamentos para tratar estas doenças pode ser desproporcionado em relação ao retorno esperado do ponto de vista económico, por ser destinado a um número restrito de doentes.

Assim, para promover a investigação e desenvolvimento de novos medicamentos, a União Europeia aprovou o Regulamento (CE) n.º 141/2000 relativo a medicamentos órfãos.

Segundo o artigo 3.º deste regulamento, um medicamento órfão é aquele que

se destina ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de uma patologia que ponha a vida em perigo, seja cronicamente debilitante e que afete até cinco em cada 10 mil pessoas, ou uma patologia que ponha a vida em perigo, seja gravemente debilitante ou seja grave e crónica, sendo pouco provável que, sem incentivos, a comercialização desse medicamento possa gerar receitas que justifiquem o investimento necessário. Em ambos os casos é necessário que não exista já um método satisfatório de diagnóstico, prevenção ou tratamento autorizado na UE, ou, caso exista, que o medicamento em questão ofereça um benefício significativo àqueles que sofram dessa patologia.

O Regulamento (CE) n.º 141/2000 veio criar incentivos à investigação e desenvolvimento de medicamentos

órfãos, assim como à sua introdução no mercado, contribuindo de forma significativa para o aumento da investigação na área das doenças raras.

O número de medicamentos com a designação de medicamento órfão tem vindo a aumentar desde 2002. De acordo com a EMA, em 2014 obtiveram esta designação 14 medicamentos².

Em Portugal a utilização dos medicamentos órfãos é efetuada essencialmente em meio hospitalar, motivo pelo qual se considerou importante apresentar uma análise da evolução de consumos destes medicamentos nos hospitais do Serviço Nacional de Saúde (SNS) entre 2007 e 2014.

Com base nos dados reportados pelos hospitais, (gráfico 1) observa-se que a despesa dos hospitais do SNS com

Evolução da despesa com medicamentos órfãos em meio hospitalar (2007-2014)

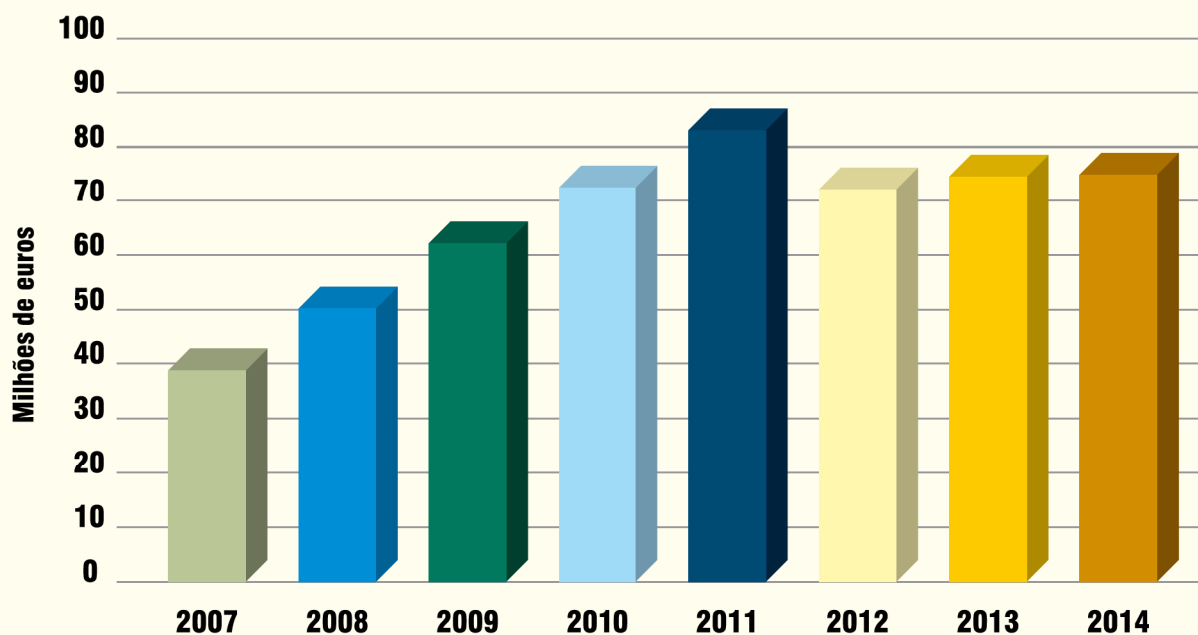


Gráfico 1

Distribuição dos encargos hospitalares com medicamentos órfãos por patologia (2014)

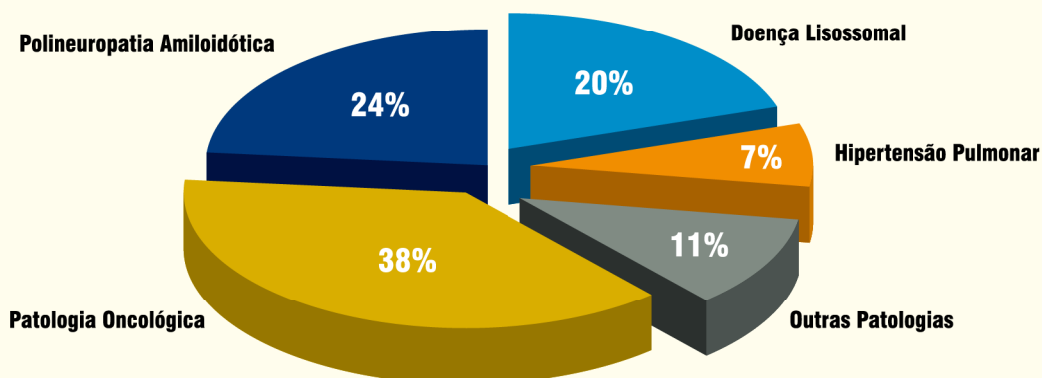


Gráfico 2

medicamentos órfãos tem apresentado um aumento ao longo dos últimos anos, tendo apenas decrescido de 2011 para 2012 devido à perda da designação de órfão pelo Imatinib (em abril de 2012). Entre 2007 e 2014 o aumento da despesa com medicamentos órfãos foi de 94 por cento, tendo atingido em 2014 o valor de 74,9M euros, representando cerca de 7,8 por cento dos encargos hospitalares com medicamentos nesse ano.

A análise dos medicamentos órfãos por indicação terapêutica (gráfico 2) reflete que a área terapêutica com maior peso nos encargos de 2014 foi a oncológica, com um peso de 38 por cento, sendo seguida pela polineuropatia amiloidótica (DCI Tafamidis) com 24 por

cento e as doenças lisossomais com 20 por cento. A despesa relativa à hipertensão pulmonar foi de 7 por cento, tendo diminuído relativamente a 2013, devido à perda da designação de órfão pelo medicamento Bosentano, em abril de 2014. As “outras patologias” incluem 27 medicamentos, correspondendo a 11 por cento dos encargos com medicamentos órfãos.

Analisando o gráfico 3, a área terapêutica com maior peso na despesa foi sempre a oncológica, tendo havido um decréscimo de 2011 para 2012, como já tinha sido referido, devido à perda de designação de órfão pelo Imatinib. O Imatinib foi o medicamento com maior peso na despesa com medicamentos

órfãos até 2011, representando o consumo deste medicamento cerca de 2 por cento face ao consumo total de medicamentos em meio hospitalar.

A segunda área com maiores encargos corresponde à das doenças lisossomais (dentro desta área, as DCI mais representativas são a Galsulfase e a Alglucosidase α), tendo sido esta última ultrapassada pela Polineuropatia Amiloidótica (DCI Tafamidis) em 2014.

Destes breves análises conclui-se que existe um incremento da despesa com medicamentos órfãos devido à aprovação de medicamentos com a designação de órfãos e ao aumento da sua acessibilidade nos hospitais do SNS.

Evolução dos encargos hospitalares com medicamentos órfãos por patologia (2007-2014)

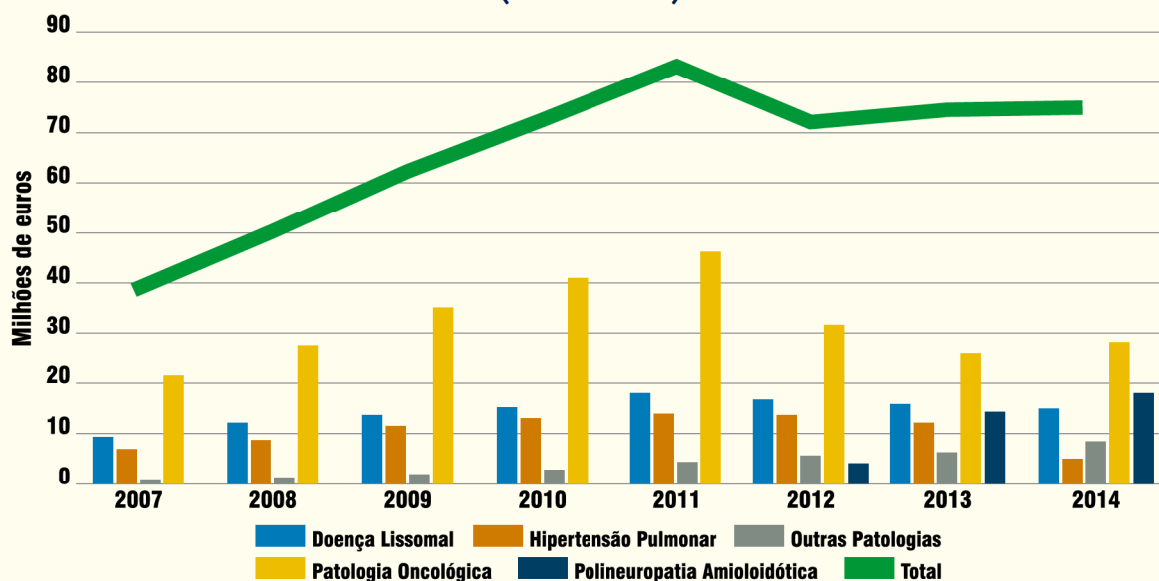


Gráfico 3

Fonte de dados: CHNM

¹ Medicines for rare diseases. Disponível em: <http://www.ema.europa.eu>

² European public assessment reports – Orphan Medicines. Disponível em: <http://www.ema.europa.eu>