

## Doenças Raras: "Nem todos os medicamentos inovadores são melhores do que os já existentes"

SOCIEDADE | 28.02.2018 às 13h55



**Marcos Borga**

Há dez anos que se comemora a 28 de fevereiro o Dia Mundial das Doenças Raras. Este ano sob o tema da investigação. Fomos ouvir o investigador e presidente do Comité dos Medicamentos Órfãos, da Comissão Europeia, Bruno Sepodes, que defende uma negociação coletiva, a nível europeu, do preço dos medicamentos



SARA SÁ  
Jornalista

**B**runo Sepodes é professor e investigador na Faculdade de Farmácia da Universidade de Lisboa e presidente do Comité dos Medicamentos Órfãos (COMB), da Comissão Europeia, desde 2012. Um trabalho que cumpre em regime *pro bono*, já que este comité é composto por voluntários, não remunerados – um caso único na Comissão Europeia. Ainda, por designação do INFARMED, representa Portugal no Comité dos Medicamentos de Uso Humanos e no Comité de Terapias Avançadas.

### **O que é um medicamento órfão?**

É um produto que se destina ao tratamento de doenças raras – o que, na Europa, é definida como qualquer doença que afeta menos de cinco indivíduos em dez mil cidadãos europeus.

### **A avaliação destes medicamentos é feita de forma separada. Porquê?**

A Comissão Europeia criou um regulamento no ano 2000 que define uma série de incentivos para a produção/investigação em doenças raras. Estes medicamentos passaram a ser chamados de “medicamentos órfãos”, porque ninguém tinha à partida interesse em desenvolvê-los. A realidade hoje é um bocadinho diferente. A ideia da Comissão era tornar mais vantajosa o trabalho nesta área. Criou o COMB, desenvolveu aconselhamento científico gratuito para pequenas empresas e academia e a preços mais baixos para as grandes empresas e o mais importante: dez anos de exclusividade de mercado. Ou seja, quando aparece um produto, este tem exclusividade durante dez anos. Se for um medicamento pediátrico, ficam com doze anos de exclusividade. Tudo isto para incentivar a investigação nesta área. Nos EUA uma estratégia de incentivo que foi adotada na década de 80, durante o aparecimento da sida, possibilitou o aparecimento do primeiro medicamento para o VIH.

### **Estes benefícios representam uma poupança para as empresas?**

Para as empresas é uma enorme poupança. Sobretudo o aconselhamento científico, porque permite poupar tempo e dinheiro em ensaios clínicos mal desenhados, por

exemplo. Nos últimos anos tem havido um crescimento enorme na quantidade de medicamentos órfãos que entram no mercado.

### **Em que áreas?**

Oncologia, neurologia e doenças metabólicas. Mas continua a haver falta de investimento em algumas áreas. Mundialmente, são 350 milhões de pessoas com doenças raras. Quando falamos em medicamento órfão, a primeira coisa que vem à cabeça é o preço. Mas temos de pensar em todo o trabalho que está por trás desse desenvolvimento. Por outro lado, há investigação feita para doenças raras que pode depois ser utilizada noutras patologias mais comuns. Por exemplo, as estatinas, o fármaco anti-colesterol mais prescrito do mundo, começaram por ser desenvolvidas para tratar uma doença rara, a hipercolesterolemia familiar – o que até deu um prémio Nobel. Há doenças raras cuja investigação gerou conhecimento para outras doenças mais prevalentes.

---

PUBLICIDADE

### **Já há resultados, em Portugal, destes incentivos europeus?**

É com muito prazer que vejo empresas portuguesas a aparecerem no comité com propostas, mas ainda falta mais. Falta a investigação na área da saúde ser canalizada para resolver problemas já identificados na área da terapêutica. Não chega caracterizar proteínas, recetores vias moleculares. É preciso perceber como podemos levar o medicamento ao doente mais rapidamente. E esta ligação só pode acontecer através da ligação direta entre as universidades, a agência nacional e a europeia. Se olharmos para os financiamentos, até 2015 o FP7 deu 620 milhões de euros para investigação nesta área. Falta ainda ligação entre mundo académico e a realidade clínica. Não imagina o prazer que me deu ver pedidos de autorização, usando artigos científicos, de mecanismos que ajudei a esclarecer. É um prazer único.

### **Mas o preço destes medicamentos continua a ser preocupante.**

A grande questão é que os sistemas de saúde, além de pagarem medicamentos órfãos caros, também passaram a ter de pagar medicamentos para doenças que afetam muitos indivíduos a preços muito elevados. E isto é comportável? Não. É por não ser sustentável que tem havido um trabalho tremendo para conseguirmos promover uma negociação de preços adequada. Tem de haver colaboração europeia nisso. É diferente 12 estados ou 27

negociarem em bloco, em vez de cada estado tratar da sua negociação de preço. Isto é muito importante para o futuro.

### **Estamos num ponto de viragem?**

A perspetiva é a de que em 2022 o mercado farmacêutico de medicamentos órfãos seja metade do total. Entre 2017 e 2022 haverá um aumento de 12% ao ano. Não tenho boas notícias: os custos não vão diminuir. Mas vai haver mais competição e isso pode levar a baixar os preços – já está a acontecer.

### **Como é o acesso para os doentes portugueses?**

Portugal está bem. Os nossos doentes têm acesso à melhor terapêutica disponível. E também é preciso perceber que nem toda a terapêutica inovadora é necessariamente melhor do que a que já existe. Portugal não está na situação de muitos outros países europeus. E é fantástico como é que tendo passado pelas dificuldades financeiras que passamos não diminuámos a qualidade do tratamento que oferecemos aos nossos doentes. É um caso de estudo. Há casos pontuais, mas temos de ser justos. A forma como nos reerguemos disso é pioneira.

---