Apelo público para acesso imediato às terapias inovadoras, dos pacientes portugueses com Fibrose Quística

A Associação Nacional de Fibrose Quística (ANFQ) e a Associação Portuguesa de Fibrose Quística (APFQ) apelam por uma maior agilidade no acesso dos pacientes portugueses às terapias inovadoras, aprovadas pela Agência Europeia do Medicamento.

De 16 a 22 de novembro de 2020 celebra-se a Semana Europeia da Fibrose Quística, iniciativa criada pela Federação Europeia de Fibrose Quística (CF Europe) e que tem por objetivo divulgar a doença, impulsionar a investigação científica e apelar ao **acesso a todas as ferramentas terapêuticas disponíveis,** para melhorar a qualidade e esperança de vida destes pacientes.

A Fibrose Quística é uma doença genética, hereditária e rara. Contudo, trata-se da doença genética grave mais frequente na Europa. Afeta todo o organismo, mas os sistemas respiratório e gastrointestinal são os mais gravemente afetados. É uma doença crónica e degenerativa, em que ocorre uma deterioração progressiva dos pulmões.

De acordo com o relatório anual mais recente do Registo Europeu de Fibrose Quística (*European Cystic Fibrosis Patient Registry – Annual Report 2017)*, existem perto de 50.000 pessoas com Fibrose Quística (FQ) na Europa. No entanto, o prognóstico destas pessoas difere consoante o país em que residem. Os cerca de **400 pacientes residentes em Portugal** encontram-se **em desvantagem**, sendo dos últimos países da União Europeia que até ao momento, **não têm acesso generalizado às terapias inovadoras**.

O processo de avaliação para financiamento destes medicamentos inovadores (moduladores do CFTR) arrasta-se em Portugal, desde 2016. Até agora, têm sido submetidos para avaliação, todos os moduladores desenvolvidos (Kalydeco®, Orkambi® e Symkevi®). Em 2019, surgiu a terapia tripla (Kaftrio®) com resultados revolucionários para a maioria das pessoas com FQ. Este medicamento foi aprovado em tempo *record* pelas entidades competentes – *Food and Drug Administration* e *European Medicines Agency*.

Em ensaios clínicos, o Kaftrio® demonstrou melhorar significativamente a função pulmonar de pessoas com FQ, permitindo-lhes respirar mais livremente e melhorando a sua qualidade de vida geral. A *Cystic Fibrosis Medical Association* (Reino Unido) descreveu o tratamento referido como mostrando evidência de ser potencialmente "transformador de vidas". **David Ramsden, diretor executivo do *Cystic Fibrosis Trust***, disse: "O licenciamento do Kaftrio® hoje marca uma mudança radical no tratamento

da FQ". O tratamento conhecido como "terapia de combinação tripla" recebeu luz verde pelos reguladores europeus em 21/8/2020. **A partir dessa data, milhares de pacientes com FQ, do *NHS* em Inglaterra (equivalente ao SNS), começaram a beneficiar deste tratamento. Posteriormente, outros países europeus aprovaram o seu financiamento.**

Em Portugal, chegamos ao final de 2020 sem nenhum dos processos terminados. O tempo é determinante na FQ. Quantos transplantes poderiam ter sido atrasados ou evitados desde 2016? Quantos óbitos? Quantos adolescentes poderiam ter evitado a deterioração clínica? Todo o tempo de espera burocrático é sinónimo de perda progressiva e irreversível da capacidade respiratória.

É necessário conseguir a igualdade de acesso e o tratamento adequado para todos os doentes com Fibrose Quística, na Europa.

Apelamos a que todos os doentes elegíveis tenham acesso imediato aos medicamentos disponíveis em condições clínicas favoráveis, para poderem retirar o benefício máximo proporcionado pelos fármacos (Kalydeco®, Orkambi®, Symkevi® e Kaftrio®)**.**

Mais de 80% dos pacientes portugueses são actualmente elegíveis para a terapêutica disponível mais eficaz (terapia tripla), capaz de melhorar significativamente o seu prognóstico – nenhum teve ainda acesso a esta medicação em Portugal.

A actual crise global despoletada pela pandemia de Covid-19 veio sublinhar esta urgência. Urge garantir que as pessoas com FQ se encontrem nas melhores condições físicas possíveis, fazendo elas parte dos grupos de risco conhecidos. Deverá ser assegurado o correto seguimento clínico e o maior rigor no controlo de infecções cruzadas.

Encontramo-nos num momento revolucionário na FQ, fruto do esforço colaborativo das associações de pacientes, médicos e investigadores. **Necessitamos do apoio administrativo e político para garantir que os pacientes portugueses têm acesso ao tratamento mais diferenciado e que este é equitativo em todo o território nacional, na Europa e no Mundo.**

ANFQ
Associação Nacional de Fibrose Quística

APFQ

www.anfq.pt | www.apfq.pt

#FQPortugal #NãoPodemosEsperarMais