

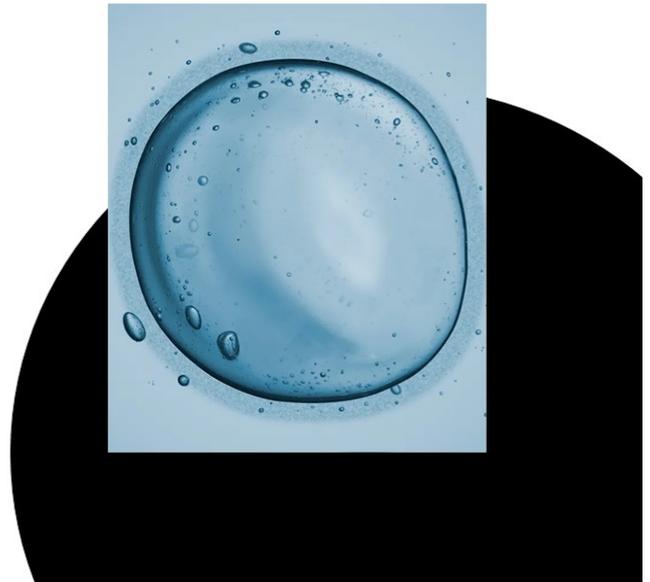
Newsletter

Life Sciences & Healthcare

28 de fevereiro: O Dia Mundial das Doenças Raras



About Law.
Around People.



Tendo sido criado em 2008, o **Dia Mundial das Doenças Raras** é comemorado todos os anos no último dia do mês de Fevereiro. Com o objetivo de sensibilizar para o tema premente que são as doenças raras e o respetivo impacto para todos nós – indivíduo, família e sociedade – este é um dia celebrado em mais de 80 países. É importante fazer menção à **EURORDIS-Rare Diseases Europe** pois foi esta aliança não governamental, sem fins lucrativos, que criou esta iniciativa. Combinando em si mais de 700 associações de doenças raras, de mais de 60 países, estas associações trabalham juntas para melhorar a vida dos 30 milhões de pessoas com doenças raras na Europa.

A própria Organização Mundial da Saúde afirma que “*As doenças raras apresentam desafios fundamentalmente diferentes dos das*

doenças mais comuns, especialmente para o diagnóstico. O pequeno número de pacientes, a logística envolvida para alcançar pacientes amplamente dispersos, a falta de biomarcadores validados e de pontos finais substitutos, e a falta de perícia clínica e de centros especializados, tudo isto apresenta barreiras significativas.”

Começando como uma breve **definição de doenças raras**, estas são patologias que na sua globalidade afetam milhões de pessoas em todo o mundo e que devido às suas características não são atrativas para a indústria farmacêutica, o que levou a uma situação deficitária no que diz respeito ao número de alternativas terapêuticas existentes. Citando a Ordem dos Enfermeiros Portuguesa, uma doença rara pode ser considerada como “*as doenças crónicas,*

graves e degenerativas que colocam em risco a vida dos doentes e que têm uma prevalência inferior a cinco casos por cada 10.000/pessoas.”

Intrinsecamente ligado ao tema deste dia temos os medicamentos órfãos. Sendo de difícil de definição, podemos nos socorrer dos diplomas normativos que contemplam esta matéria.

De acordo com o Regulamento B REGULAMENTO (CE) Nº 141/2000 do Parlamento Europeu e do Conselho de 16 de Dezembro de 1999, relativo aos medicamentos órfãos, temos como ponto de partida de definição de “medicamento órfão” o artigo 2º do presente Regulamento. Sendo este artigo bastante abrangente – pois remete a definição para todo o Regulamento – somos então obrigados a, do demais descrito pelo legislador europeu neste diploma, definir por nós o que se entende por “*medicamento órfão*”.

Assim sendo, socorrendo-nos primeiramente do artigo 3º - sob a epígrafe Critérios de designação – podemos então daí extrair que **medicamento órfão** é aquele que deve ter certas e determinadas características cumulativas – a saber:

- *Se destina ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de uma patologia na Comunidade que ponha a vida em perigo ou seja cronicamente debilitante e que afete até cinco pessoas em 10 mil no momento em que o pedido é apresentado OU se destina ao diagnóstico, prevenção*

ou tratamento de uma patologia na Comunidade que ponha a vida em perigo, seja gravemente debilitante ou seja grave e crónica, e que é pouco provável que, sem incentivos, a comercialização desse medicamento na Comunidade possa gerar receitas que justifiquem o investimento necessário; -- primeiro requisito

- *E (dai se dizer que são dois critérios cumulativos) Não existe qualquer método satisfatório de diagnóstico, prevenção ou tratamento de tal patologia que tenha sido autorizado na Comunidade OU, caso exista, que o medicamento em questão oferece um benefício significativo àqueles que sofram dessa patologia.*

Contudo, não nos podemos ficar por esta designação positiva de medicamento órfão tendo, ainda, de nos socorrer do artigo 5º - - do *supramencionado* Regulamento, sob a epígrafe *Procedimento de designação e de retirada* – para daí extrair os critérios negativos.

Ora, o nº 12 do artigo 5º do referido Regulamento aponta então para as situações **em que um medicamento órfão possa ser retirado do Registo Comunitário de Medicamentos Órfãos** – a saber: i) *A pedido do promotor;* ii) *Desde que se comprove, antes da concessão de autorização de introdução no mercado, que os critérios estabelecidos no artigo 3º deixaram de estar preenchidos no que se refere a esse medicamento;* iii) *No final do período de exclusividade de mercado*

fixado no artigo 8º (do Regulamento aqui analisado)

Por mais que seja um projeto louvável o decisor político – nacional e internacional – sabe que este tipo de procedimento farmacêutico é bastante dispendioso para o promotor. Tendo isto em mente tem vindo a criar incentivos e apoios a todos aqueles que pretendem desenvolver e criar este tipo de medicamentos.

O Regulamento B REGULAMENTO (CE) Nº 141/2000 do Parlamento Europeu e do Conselho de 16 de Dezembro de 1999, tem, no seu conteúdo normativo, medidas de apoio e incentivo para quem queira investigar, desenvolver e promover este tipo de medicamentos.

O artigo 6º apresenta a possibilidade de pedir apoios, por parte do promotor, no que toca aos medicamentos órfãos.

Em primeiro lugar, é permitido ao promotor de um medicamento órfão a solicitação de um parecer – antes da apresentação de um pedido de AIM – da Agência Europeia do Medicamento sobre a realização dos testes e ensaios necessários para comprovar a qualidade, segurança e eficácia de tal medicamento

Em segundo lugar, presente no nº2 do artigo 6º, a **Agência Europeia dos Medicamentos** deve estabelecer um procedimento relativo ao desenvolvimento de medicamentos órfãos que abranja um apoio de ordem regulamentar à

definição do conteúdo do pedido de autorização

Para além disto, e articulando com o nº2 do artigo 7º do respetivo Regulamento, é proporcionado pela União Europeia a atribuição anual à Agência Europeia do Medicamento de uma contribuição especial que deve ser utilizada apenas para compensar o não pagamento total ou parcial das taxas devidas ao abrigo das regras comunitárias

Outros incentivos que o Regulamento prevê podem ser encontrados no artigo 9º onde se prevê uma elegibilidade de certos incentivos – quer a nível nacional quer a nível europeu – de apoio à investigação, desenvolvimento e introdução no mercado de medicamentos órfãos especificando os apoios às pequenas e médias empresas.

Apesar de serem estes os incentivos e apoios diretamente expressos no Regulamento é também entendimento generalizado que o próprio período de exclusividade de mercado – presente no artigo 8º do Regulamento de 10 anos desde a autorização de introdução no mercado do medicamento órfão – é considerado um apoio económico. O legislador europeu previu que caso a um medicamento órfão seja concedida uma AIM ou se todos os Estados-Membros tiverem concedido autorizações de introdução no mercado nos termos dos procedimentos de reconhecimento mútuo relativa à aproximação das disposições legislativas, regulamentares e administrativas respeitantes aos medicamentos, sem prejuízo do disposto no

direito de propriedade intelectual, ou em qualquer outra disposição de direito comunitário, intelectual ou em qualquer outra disposição de direito comunitário, a Comunidade e os Estados-Membros abster-se-ão de aceitar durante um período de 10 anos qualquer outro pedido de autorização de introdução no mercado, ou de conceder uma autorização de introdução no mercado, ou de dar seguimento a um pedido de extensão de uma autorização de introdução no mercado já existente, em relação a um medicamento similar com a mesma indicação terapêutica.

Departamento de Life Sciences da SRS Legal



Key contact

Ana Menéres

Sócia

ana.meneres@srslegal.pt

Conheça a Equipa:

