

## RELATÓRIO DE AVALIAÇÃO PRÉVIA DO MEDICAMENTO PARA USO HUMANO EM MEIO HOSPITALAR

DCI – Amifampridina

| N.º Registo | Nome Comercial | Apresentação/Forma Farmacêutica/Dosagem | PVH | PVH com IVA | Titular de AIM      |
|-------------|----------------|-----------------------------------------|-----|-------------|---------------------|
| 5336532     | Firdapse       | 100 comprimidos doseados a 10 mg        | *   | *           | BioMarin Europe Ltd |

\* Os preços foram comunicados aos Hospitais do Serviço Nacional de Saúde

Data do relatório: 01/03/2018

Data de autorização de utilização: 28/12/2017

Duração da autorização de utilização – 2 anos

Estatuto quanto à dispensa – Medicamento Sujeito a Receita Médica Restrita, alínea b) do Artigo 118º do Decreto-Lei n.º 176/2006, de 30 de agosto

Medicamento órfão: Sim ☒ Não ☐

Classificação Farmacoterapêutica: 2.13.2 Medicamentos utilizados no tratamento sintomático da doença do neurónio motor

Código ATC: N07XX05 amifampridine

Indicações Terapêuticas constantes do RCM: Tratamento sintomático da síndrome miasténica de Lambert-Eaton (LEMS) em adultos.

Indicações terapêuticas para as quais foi solicitada avaliação - todas as indicações aprovadas (vide secção anterior).

Indicações terapêuticas para as quais esta avaliação é válida - todas as indicações para as quais foi solicitada avaliação (vide secção anterior).

Nota: Algumas informações respeitantes ao medicamento podem ser revistas periodicamente. Para informação atualizada, consultar o [Infomed](http://infomed.gov.pt).

### 1. CONCLUSÕES DA AVALIAÇÃO

No que diz respeito à avaliação farmacoterapêutica, uma vez que não tem alternativa terapêutica (nenhum outro medicamento tem esta indicação clínica no RCM e o medicamento em avaliação foi considerado medicamento órfão), a 3,4-diaminopiridina tem valor terapêutico pela eficácia que evidencia. É considerada em todas as normas de terapêutica da síndrome miasténica de Lambert-Eaton.

Na avaliação económica, os valores custo-efetividade incrementais associados à introdução do medicamento Firdapse (amifampridina) no arsenal terapêutico, assim como os resultados do impacto orçamental, foram considerados aceitáveis, depois de negociadas condições para utilização pelos hospitais e entidades do SNS, tendo em atenção as características específicas do medicamento e da doença em causa.

## 2. AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA

|                                       |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           |
|---------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Propriedades farmacológicas</b>    | <p>A amifampridina bloqueia os canais de potássio dependentes da voltagem, prolongando assim a despolarização da membrana celular pré-sináptica. O prolongamento do potencial de ação melhora o transporte de cálcio para o interior das terminações nervosas. O consequente aumento das concentrações de cálcio intracelular facilita a exocitose de vesículas que contêm acetilcolina, o que por sua vez melhora a transmissão neuromuscular.</p> <p>Melhora a força muscular e a amplitude do potencial de ação muscular composto em repouso (CMAP) numa diferença média ponderada geral de 1,69 mV (IC 95 % 0,60 a 2,77).</p> <p>Para informação adicional sobre o perfil farmacológico e farmacocinético, consultar o RCM disponível no <a href="#">Infomed</a>.</p> |
| <b>Comparador selecionado</b>         | Melhor terapêutica de suporte                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                             |
| <b>Valor terapêutico acrescentado</b> | <p>É reconhecido valor terapêutico acrescentado a Firdapse, já que é o único medicamento com indicação na no tratamento sintomático da síndrome miasténica de Lambert-Eaton. Assim, a amifampridina é o medicamento de primeira linha no tratamento sintomático da síndrome miasténica de Lambert-Eaton.</p> <p>Valor Terapêutico pela eficácia na melhoria da miastenia própria da síndrome e, na melhoria da disfunção autonómica (valor secundário). Apresenta boa tolerabilidade.</p>                                                                                                                                                                                                                                                                                 |

## 3. AVALIAÇÃO ECONÓMICA

|                             |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
|-----------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Termos de comparação</b> | Amifampridina vs. melhor terapêutica de suporte                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                |
| <b>Tipo de análise</b>      | Análise de custo-utilidade                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                     |
| <b>Vantagem económica</b>   | De acordo com as conclusões farmacoterapêutica e farmacoeconómica, e atendendo aos resultados de custo efetividade incremental e do impacto orçamental, que foram considerados aceitáveis, depois de negociadas condições para utilização pelos hospitais e entidades do SNS, tendo em atenção as características específicas dos medicamentos e da doença em causa, admite-se a utilização do medicamento em meio hospitalar. |

## 4. CONDIÇÕES CONTRATUAIS

O acesso do medicamento ao mercado hospitalar foi objeto de um contrato entre o INFARMED I.P. e o representante do titular de AIM, ao abrigo do disposto no n.º 11 do art. 4.º e no art. 5.º, do Decreto-Lei n.º 195/2006, de 3 de outubro, na sua redação atual.

---

## 5. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

---

1. Resumo das características do medicamento Firdapse
2. Gilhus N E (Autoimmune Diseases 2011 (doi: 10.4061/2011/973808));
3. Lindquist S, & Stangel M (Neuropsychiatric Disease and Treatment 2011; 7: 341-349);
4. Titulaer M J et al. (Lancet Neurol 2011; 10: 1098 – 1107).