

Deliberação N.º 139 /CD/2014

O Estatuto do Medicamento, aprovado e publicado pelo decreto-lei n.º 176/2006, de 30 de agosto, na sua redação atual, estabelece que a Autoridade Nacional do Medicamento e Produtos de Saúde, I. P. (INFARMED, I.P.) pode autorizar a utilização em Portugal de medicamentos não possuidores de qualquer uma das autorizações previstas nesse decreto-lei.

Assim, e considerando que:




- É necessário ter em conta a evolução cada vez mais rápida da ciência e das terapias que permitem o acesso a novas abordagens terapêuticas;
- Do ponto de vista da saúde pública poderá ser necessária a utilização de medicamentos que se encontram em desenvolvimento num grupo de doentes que sofram de uma doença crónica ou gravemente debilitante ou de uma doença considerada potencialmente mortal e que não possam ser satisfatoriamente tratados com um medicamento autorizado, ou caso não seja exequível o adiamento do tratamento até que o medicamento seja disponibilizado através de uma autorização de introdução no mercado;
- É necessário regular as condições de acesso a estes medicamentos, nomeadamente através de autorização de utilização excecional (AUE) apresentada por entidades hospitalares possuidoras de licença de aquisição direta de medicamentos.
- É também fundamental regulamentar a gratuidade de acesso a medicamentos que já detenham autorização de introdução no mercado, através de autorização de utilização excecional (AUE), por parte das entidades hospitalares do Serviço Nacional de Saúde.

Ao abrigo do disposto no n.º 3 do artigo 92.º do decreto-lei n.º 176/2006, de 30 de agosto, na sua redação atual, o Conselho Diretivo do INFARMED, I.P., delibera:

1. Aprovar o regulamento que define os termos e procedimentos de autorização de programa para acesso precoce a medicamentos em anexo à presente deliberação.
2. O presente Regulamento entra em vigor no dia seguinte ao da sua publicação na página eletrónica do INFARMED, I.P.

Lisboa, 06 NOV. 2014

O Conselho Diretivo

PRESENTE À SESSÃO DO	
C.D DE 06 NOV. 2014	
O Presidente	 FÚRIA CASTRO ALVES
O Vice-Presidente	 HELDER MOTA FILIPE
A Vogal	 PAULA DIAS DE ALMEIDA
ATA N.º 43/CD/2014	

## ANEXO

### **Regulamento relativo ao programa para acesso precoce a medicamento**

#### **Artigo 1.º**

##### **Objeto**

- 1- O presente regulamento estabelece os procedimentos e as condições do programa para acesso precoce a medicamentos para uso humano sem Autorização de Introdução no Mercado (AIM) em Portugal.
- 2 - O presente regulamento é ainda aplicável com as necessárias adaptações, aos medicamentos para uso humano com Autorização de Introdução no Mercado (AIM) em Portugal sem decisão de aquisição pelo Serviço Nacional de Saúde, os quais poderão ser fornecidos gratuitamente à entidade hospitalar pelo titular de AIM dos ou seu representante legal.

#### **Capítulo I**

### **Medicamentos para uso humano sem Autorização de Introdução no Mercado (AIM) em Portugal**

#### **Artigo 2.º**

##### **Âmbito da Autorização**

- 1- A autorização de programa para a utilização precoce do medicamento fica condicionada à verificação de que o medicamento, sem AIM em Portugal, tenha a sua eficácia e segurança de emprego demonstradas com base em resultados de ensaios clínicos precedentes, nomeadamente os realizados com vista a um pedido de AIM e desde que se possa presumir um benefício-risco favorável na utilização do medicamento.
- 2- Os medicamentos incluídos no âmbito do programa são medicamentos destinados apenas a serem utilizados em ambiente hospitalar.

3- O programa para acesso precoce não dispensa a apresentação, por parte de entidade hospitalar possuidora de licença de aquisição direta, de pedido de autorização excecional para doente específico (AUE).

### **Artigo 3.º**

#### **Exclusões**

Estão excluídos do âmbito de aplicação do presente regulamento os seguintes medicamentos:

- a) Medicamentos experimentais abrangidos pela Lei n.º 21/2014, de 16 de abril, conforme estipulado no n.º 2 do artigo 92.º do decreto-lei n.º 176/2006, de 30 agosto, republicado pelo decreto-lei n.º 128/2013;
- b) Medicamentos manipulados;
- c) Medicamentos homeopáticos;
- d) Medicamentos tradicionais à base de plantas;
- e) Medicamentos derivados do plasma humano selecionados ao abrigo dos concursos da Administração Central do Sistema de Saúde, I.P.

### **Artigo 4.º**

#### **Encargos com o medicamento**

Os medicamentos autorizados, no âmbito de uma AUE, através de programa para acesso precoce a medicamento, são fornecidos gratuitamente à entidade hospitalar pelo titular dos direitos de um medicamento, bem como os dispositivos médicos especificamente fornecidos para a respetiva administração.

### **Artigo 5.º**

#### **Requerimento**

1 - A utilização de medicamentos destinados ao tratamento, prevenção e diagnóstico de doenças raras ou graves ou extremamente debilitantes e que sejam imprescindíveis por não existirem alternativas terapêuticas satisfatórias autorizadas e a incluir em programa de utilização deve ser requerida ao Conselho Diretivo do INFARMED pelo titular dos direitos sobre o medicamento estabelecidos num Estado membro do Espaço Económico Europeu (EEE).

2 - O requerimento deve ser dirigido ao Presidente do Conselho Diretivo do INFARMED, I.P. e dele devem constar:

- i. Nome ou firma e domicílio ou sede do requerente;
- ii. Número de identificação atribuído pelo Registo Nacional de Pessoas Coletivas ou número fiscal de contribuinte, caso o requerente tenha a sua sede, domicílio ou estabelecimento principal em Portugal;
- iii. Nome proposto para o medicamento, no caso de existir, INN, ou código identificador;
- iv. Forma farmacêutica e composição quantitativa e qualitativa de todos os componentes do medicamento, designadamente substâncias ativas e excipientes, acompanhada, no caso de existir, da denominação comum, ou, na sua falta, da menção da denominação química;
- v. Indicação dos Estados membros em que tenha sido apresentado pedido de AIM para o medicamento em questão;
- vi. Caso o pedido de AIM não tenha sido ainda submetido, deverá ser indicada a data previsível de submissão do pedido de AIM;
- vii. Informação relativa ao estatuto regulamentar do medicamento, incluindo a utilização a título excecional e precoce do medicamento;
- viii. Estimativa do número de doentes elegíveis para tratamento com o medicamento.

3 - O requerimento é acompanhado dos seguintes elementos e documentos:

- a) Dossiê de medicamento ou dossiê de pedido de AIM, caso ainda não tenha sido apresentado ao INFARMED, I.P. ou à Agência Europeia do Medicamento (EMA);
- b) Caso o medicamento não seja fabricado em Portugal, autorização de fabrico do medicamento por parte do fabricante, no respetivo país ou certificado de Boas Práticas de Fabrico emitidas por Estado Membro da União Europeia ou com acordo de reconhecimento mútuo (MRA);
- c) Se aplicável, cópia de designação orfã, de acordo com o Regulamento (CE) n.º 141/2000, do Parlamento Europeu e do Conselho, de 16 de dezembro de 1999;
- d) Informação do medicamento para os profissionais de saúde ou, se disponível, o resumo das características do medicamento;

- e) Informação do medicamento para os doentes ou, se disponível, folheto informativo;
- f) Se aplicável, cópia dos aconselhamentos científicos que tenham sido prestados pelo INFARMED, I.P., pela EMA ou por outra autoridade competente de um Estado membro do EEE;
- g) Condições de utilização terapêutica e condições de recolha de informação devidamente aprovadas pela Comissão de Ética Competente, e que deverão incluir, pelo menos, os seguintes elementos:
  - 1) Âmbito do pedido:
    - Objetivo e fundamentação da utilização do medicamento no âmbito da autorização para acesso precoce;
    - Indicações terapêuticas;
    - População-alvo, incluindo os critérios de exclusão e inclusão;
    - Quantidade do medicamento a utilizar, incluindo a dose diária;
    - Número previsto de doentes a tratar.
  - 2) Resumo da segurança e eficácia do medicamento;
  - 3) Os procedimentos de recolha de informação, nomeadamente em matéria de:
    - Vigilância dos doentes;
    - Quantidades utilizadas do medicamento;
    - Efeitos adversos graves ou inesperados associados à utilização do medicamento;
    - Efeitos adversos não graves;
    - Efetividade do medicamento.
  - 4) Medidas de minimização de risco;
  - 5) Cuidados em populações especiais;
  - 6) Precauções com a administração concomitante com outros medicamentos e restrições;
  - 7) Condições para a utilização do medicamento, nomeadamente quanto ao seu manuseamento, dispensa e destruição.
- h) Consentimento informado em termos idênticos aos estabelecidos na Lei n.º 21/2014, de 16 abril, com as necessárias adaptações e devidamente aprovado pela Comissão de Ética Competente.

4- O INFARMED, I.P. pode solicitar emissão de parecer à Comissão Nacional de Farmácia e Terapêutica no âmbito da avaliação do pedido.

5- O INFARMED, I.P. pode solicitar informação adicional relativa à eficácia, segurança e fabrico do medicamento.

## Artigo 6.º

### Responsabilidades

1- Além de outras obrigações impostas por lei, o requerente de um programa para acesso precoce deve:

- a) Facultar às entidades dos serviços hospitalares envolvidas todos os dados químico-farmacêuticos, toxicológicos, farmacológicos e clínicos relevantes que garantam a relação benefício-risco favorável do medicamento, bem como as condições de utilização e de recolha de informação aprovadas pelo INFARMED, I.P.;
- b) Estabelecer e manter um sistema de segurança e vigilância no âmbito da autorização para acesso precoce mediante monitorização efetuada sob responsabilidade médica;
- c) Assegurar o cumprimento dos deveres de notificação, comunicação e de informação previstos no presente regulamento;
- d) Assegurar que os doentes abrangidos pelo programa de acesso precoce (sempre que clinicamente justificado) concluem o tratamento conforme as condições aprovadas pelo INFARMED, I.P. e de acordo com o previsto na presente deliberação;
- e) Submeter ao INFARMED, I.P. os relatórios estabelecidos no artigo 5.º, relativos a condições de utilização terapêutica e recolha de informação, conforme aprovados pelo INFARMED, I.P., com uma periodicidade semestral, podendo ser definida outra periodicidade em casos particulares.

2- O diretor clínico ou entidade equivalente da instituição hospitalar onde o medicamento vai ser dispensado ou administrado, mediante prévia autorização do respetivo órgão máximo de gestão e parecer da comissão de farmácia e terapêutica, deve solicitar ao INFARMED, I.P. um pedido de autorização de utilização excecional (AUE) para doente específico assegurando:

- a) O cumprimento das condições de utilização aprovadas pelo INFARMED, I.P.;
- b) A informação e esclarecimento ao doente ou ao seu representante;

- c) A obtenção do consentimento informado do doente;
- d) O cumprimento dos deveres de recolha, registo e notificação de reações e acontecimentos adversos;
- e) O registo rigoroso de todas as informações recolhidas durante a utilização do medicamento.

### **Artigo 7.º**

#### **Informação do medicamento**

A informação do medicamento destinada aos profissionais de saúde e doentes é redigida em língua portuguesa, exceto em situações devidamente justificadas e em que seja assegurada a devida informação aos profissionais de saúde e aos doentes.

### **Artigo 8.º**

#### **Rotulagem**

1- A rotulagem do acondicionamento secundário e, se possível, do acondicionamento primário deve conter, pelo menos, as seguintes indicações, preferencialmente em língua portuguesa:

- a) Nome do medicamento, seguido da denominação comum, das dosagens e forma farmacêutica;
- b) Modo e, se necessário, a via de administração;
- c) Prazo de validade/prazo de reanálise ou de utilização, incluindo mês e ano;
- d) Precauções particulares de conservação, quando for caso disso;
- e) Nome ou firma e domicílio ou sede do detentor dos direitos do medicamento;
- f) Número do lote de fabrico.

2- O medicamento é acompanhado de um documento em língua portuguesa, com os elementos previstos no número anterior, caso não seja possível a apresentação de rotulagem em língua portuguesa.



## **Artigo 9.º**

### **Conteúdo da Autorização**

A autorização para programa para acesso precoce a medicamento concedida ao abrigo do presente regulamento é comunicada ao requerente e dela devem constar:

- a) Identificação do titular da autorização de acesso precoce;
- b) Identificação do medicamento, incluindo nome, composição qualitativa e quantitativa em substância ativa e forma farmacêutica;
- c) Indicação do número de doentes a tratar;
- d) Previsão da quantidade de medicamento a utilizar;
- e) Informação do medicamento, condições de utilização e de recolha de informação, tal como aprovados pelo INFARMED, I.P.

## **Capítulo II**

### **Medicamentos com AIM sem decisão de aquisição pelo SNS**

## **Artigo 10.º**

### **Requerimento excepcional**

- 1 - De acordo com o disposto no n.º 2 do artigo 1.º do presente regulamento, a utilização de medicamentos deve ser requerida ao Conselho Diretivo do INFARMED, I.P. pelo titular de AIM do medicamento.
- 2- O requerimento deve ser dirigido ao Presidente do Conselho Diretivo do INFARMED, I.P. e dele deve constar:
  - i. Nome ou firma e domicílio ou sede do requerente;
  - ii. Número de registo;
  - iii. Número de identificação atribuído pelo Registo Nacional de Pessoas Coletivas ou número fiscal de contribuinte, caso o requerente tenha a sua sede, domicílio ou estabelecimento principal em Portugal;
  - iv. Nome do medicamento;
- 3 - O requerimento é acompanhado dos seguintes elementos e documentos:

- i) Condições de utilização terapêutica e condições de recolha de informação devidamente aprovadas pela Comissão de Ética Competente, e que deverão incluir, pelo menos, os seguintes elementos:
- 1) Âmbito do pedido:
    - Objetivo e fundamentação da utilização do medicamento no âmbito da autorização no Programa;
    - Indicações terapêuticas;
    - Estimativa do número de doentes elegíveis para tratamento com o medicamento.
    - População-alvo, incluindo os critérios de exclusão e inclusão;
    - Quantidade do medicamento a utilizar, incluindo a dose diária;
  - 3) Os procedimentos de recolha de informação, nomeadamente em matéria de:
    - Vigilância dos doentes;
    - Quantidades utilizadas do medicamento;
    - Efeitos adversos graves ou inesperados associados à utilização do medicamento;
    - Efeitos adversos não graves;
    - Efetividade do medicamento.
  - 4) Medidas de minimização de risco;
  - 5) Cuidados em populações especiais.
- 4- O INFARMED, I.P. pode solicitar emissão de parecer à Comissão Nacional de Farmácia e Terapêutica no âmbito da avaliação do pedido.

### **Artigo 11.º**

#### **Monitorização**

- 1- As AUE concedidas no âmbito do presente capítulo poderão manter-se válidas se a fundamentação clínica apresentada pela instituição hospitalar for considerada válida pelo INFARMED, I.P., podendo ser solicitada emissão de parecer à Comissão Nacional de Farmácia e Terapêutica.
- 2 – Cabe ao titular de AIM a manutenção do tratamento aos doentes admitidos ao abrigo do presente programa, nas condições autorizadas pelo INFARMED, I.P.,

exceto nos casos em que a sua AIM tenha sido suspensa por razões de qualidade, segurança ou eficácia.

### **Capítulo III**

#### **Disposições finais**

#### **Artigo 12.º**

##### **Vigência da Autorização**

- 1 – A vigência da autorização para programa para acesso precoce a medicamento concedida ao abrigo do presente regulamento caduca no prazo de 6 meses ou caso o número de doentes incluídos no protocolo seja alcançado.
- 2 - A autorização pode ser renovada mediante requerimento submetido ao INFARMED, I.P.
- 3 – Deverá ser assegurado pelo requerente a manutenção do tratamento aos doentes admitidos em programa de acesso precoce, nas condições autorizadas pelo INFARMED, I.P. e previstas nesta deliberação, exceto nos casos em que a sua utilização tenha sido suspensa por questões ligadas à sua qualidade, segurança ou eficácia.
- 4 – Mensalmente, o titular da autorização comunica ao INFARMED, I.P. o número de doentes incluídos nas condições de utilização e as quantidades utilizadas.
- 5 – O INFARMED, I.P. deve suspender por um prazo de 90 dias, ou revogar a autorização para acesso precoce a medicamento, sempre que o medicamento seja suscetível de apresentar risco para a saúde pública, nomeadamente na emergência de novos dados ou da interpretação dos mesmos, na sequência da avaliação de dados de farmacovigilância, ou quando esteja desconforme com as condições da respetiva autorização.
- 6 – A autorização do programa de acesso precoce caduca quando haja decisão de decisão final de comparticipação ou de avaliação prévia.
- 7- As AUE concedidas no âmbito de programa de acesso precoce poderão manter-se válidas se a fundamentação clínica for aceite pelo INFARMED, I.P..

### **Artigo 13.º**

#### **Farmacovigilância**

Aos medicamentos autorizados no âmbito deste regulamento aplicam-se as regras e responsabilidades definidas na alínea a) do n.º 4 e n.º 6 do artigo 170.º, artigos 171.º e 172.º do decreto-lei n.º 176/2006, de 30 de agosto, na redação atual.

### **Artigo 14.º**

#### **Dever de Comunicação**

As entidades prestadoras de cuidados de saúde comunicam ao INFARMED, I.P. o consumo do medicamento através do código hospitalar nacional do medicamento (CHNM) atribuído pelo INFARMED, I.P., de acordo com a Portaria n.º 155/2007, de 31 de janeiro e a Deliberação n.º 103/CA/2007, de 1 de março.

### **Artigo 15.º**

#### **Norma Revogatória**

Com a aprovação do presente regulamento, ficam revogados todos os regulamentos e circulares informativas emitidos pelo INFARMED, I.P. que se revelem contrários às disposições agora previstas.