



APAHE®

Associação Portuguesa de Ataxias Hereditárias

Boletim Sobre Ataxias

janeiro - fevereiro 2024

Coordenação: Paulo J. R. Sousa

Sobre, como é viver com uma doença rara?

Não deve ser nada fácil.... Pensam uns.
Eu não gostava.... Pensam outros.
Coitados.... Dizem uns dos outros.

Escrevo, porque não tenho alternativas para dizer de qualquer outra forma o que sinto, o que tenho cá por dentro. Para além das vísceras como qualquer ser humano, que tem de viver com elas, também vivo com os sentimentos impregnados na medula, como raízes, coabitando no tutano da minha frágil existência, num coração enfraquecido de tanto conter...



Porque se trata da condição humana, também de vidas, em guerra, consigo próprias, não com ninguém em particular, mas com um inimigo invisível e implacável. Este é apenas um grito de esperança no fundo opaco, desta tela que separa todas as doenças raras do domínio das legislações, haja quem ouça, quem possa compreender e agir em conformidade.

Porque nos preocupamos com o tempo que nos resta, bem como na qualidade desse mesmo tempo, garantindo o aumento efetivo da qualidade de vida, com dignidade até ao fim. Esse tempo que se torna longo e fugaz no mesmo instante, de incertezas, constrangimentos vários, de esperança e de perda, dum futuro que continua longínquo. É muito importante que se pense em tempo por quem tem o seu desfeito, fazendo também pressão para que as políticas nacionais e internacionais sejam comuns nestas causas.

Somos poucos, raros, mas com familiares, amigos, cuidadores, Assistentes Pessoais, Comunidade de diferentes Terapeutas, Comunidade Científica de Médicos Investigadores e Médicos e Enfermeiros em Geral, que nos rodeia, todos juntos seremos mais fortes.

José Cação



2º ENCONTRO ANUAL COM CONSELHO CIENTÍFICO DA RD

No passado dia 9 de novembro, a RD PORTUGAL Associação Portuguesa de doenças raras, na qual a APAHE, é sócia cofundadora. Fomos convidados para participar na elaboração de um documento, que será entregue na tutela.

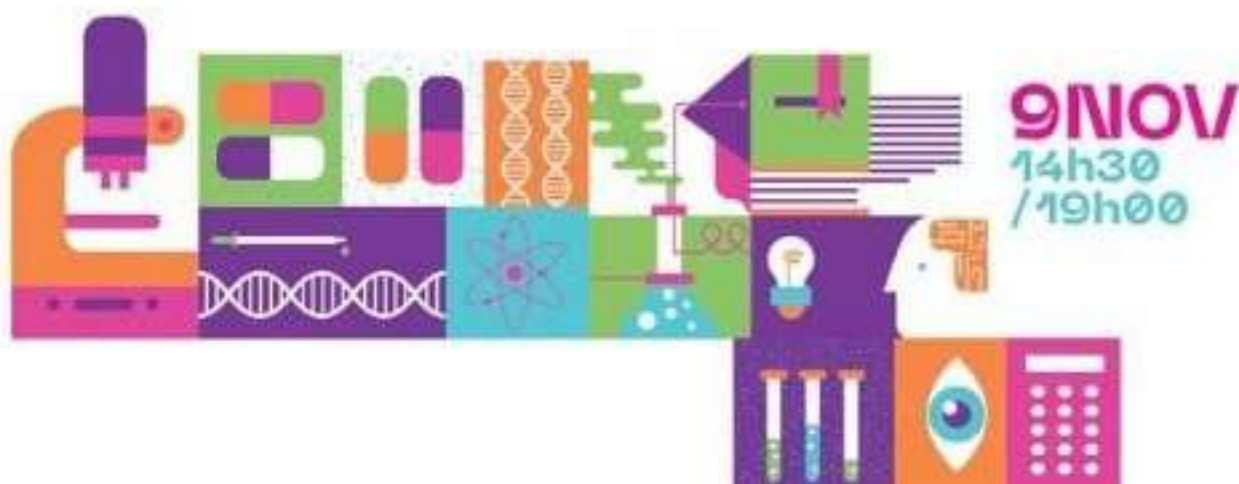
Trabalhámos no se seguinte modo:

Numa sala, facultada pelo hospital CUF TEJO, havia ao nosso dispor 8 mesas de trabalho; cada mesa tinha dois moderadores e 5 elementos de diferentes áreas, representantes de associações de doenças raras, médicos e farmacêuticos; durante 20 minutos os moderadores de cada mesa, faziam nos perguntas sobre o tema em discussão, Centros de Referência Hospitalar, após termos todos dado a nossa opinião, ideias de melhoria, avaliação dos mesmos...etc; se seguida os moderadores trocavam de mesa com as mesmas questões, só os intervenientes, eram outros, as questões feitas eram sempre dentro do mesmo tema só com perspetivas diferentes; após este trabalho, juntaram-se os oradores para unir respostas. Deste trabalho em conjunto, vai sair um texto que irá ser partilhado com as associações, depois será entregue à tutela.

Todos juntos criamos algo bom.

Reafirmo a frase, **JUNTOS SOMOS MAIS FORTES**

Célia Costa
Presidente da APAHE



Convenção Nacional de Saúde

(Este é o tempo de darmos passos largos para o futuro que queremos)

<https://www.youtube.com/watch?v=FAVaStP4hno>

1 – Eurico Castro Alves | Presidente da Convenção Nacional de Saúde (Médico)

- Portugal deve estar alinhado com a União Europeia;
- Permitir acesso rápido às tecnologias;
- Incurtar tempo de acesso a diagnósticos;
- Alargar acesso ao serviço de saúde;
- Rapidez | celeridade no acesso a uma panoplia de serviços.

2 – António Lacerda Sales | Alto Comissário para a Convenção Nacional de Saúde

- São os consensos que unem as pessoas;
- A digitalização na Saúde, vai trazer um SNS mais sustentável e vai melhorar a vida das pessoas;
- Melhoria entre os diversos setores da Saúde, publicos e privados;
- Parcerias publicoprivadas (garantindo sempre a segurança dos dados das pessoas, RGPD);
- Investir no sistema Nacional de Saúde, é estar a investir nas pessoas.

3 – Mário Campolargo | Secretário de Estado da Digitalização e Modernização Administrativa

- Espaço Europeu de dados de Saúde, ter o acesso em qualquer parte;
- Termos acesso à Investigação;
- Portugal é um lider em Saúde Digital, está bem plasmada;
- Sistemas seguros e centrados no cidadão;
- Inteligência Artificial;
- Modernização Administrativa; (Exemplo: Renovações Cartas de Condução – Recebe uma notificação automática, que vai permitir a revalidação automaticamente, sempre respeitando o RGPD (possível pela parceria entre o IMTT e o SNS).
- Facilidade na marcação | pedidos de Consultas, Receituários, atestados, alerta da toma de medicação, etc;

4 – Sandra Cavaca (Keynote Speaker) | Presidente da SPMS (Serviços Partilhados do Ministério da Saúde) <https://www.spms.min-saude.pt/2023/11/este-e-o-tempo-de-darmos-passos-largos-para-o-futuro-que-queremos-ter/>

Para a SPMS, a digitalização da Saúde não é apenas desmaterialização. É uma revolução que vai redefinir a forma como prestamos cuidados de saúde às pessoas. Ao avançarmos nesse caminho, tenho plena convicção de que estaremos a construir um sistema de saúde mais justo, mais equitativo e mais humano.

- Recolha e análise de dados em tempo real;
- Reforçar a capacidade de resposta do nosso sistema Nacional de Saúde;
- Transformação digital no setor da saúde, com mudanças e impactos no acesso das pessoas aos serviços de saúde;
- Investimentos no âmbito do Plano de Recuperação e Resiliência (PRR) – <https://recuperarportugal.gov.pt/>
- Alterar | Melhorar o parque informatico, software e hardware;
- Registo de Saúde eletrónico único - <https://www.spms.min-saude.pt/2020/07/registo-de-saude-eletronico/>



Painel de Discussão

Moderador: Eurico Castro Alves | Presidente da Convenção Nacional da Saúde
Cátia Pinto | Médica e Coordenadora da Unidade Saúde Digital Global e Relações Internacionais da SPMS

João Almeida Lopes | Presidente da Apifarma

Oscar Gaspar | Presidente da Associação Portuguesa de Hospitalização Privada

Paulo Gonçalves | União das Associações das Doenças Raras de Portugal (RD-Portugal)

Encerramento

Carlos Cortes | Bastonário da Ordem dos Médicos e Chairman da Convenção Nacional da Saúde

Manuel Pizarro | Ministro da Saúde

Notas:

Portugal está 30% abaixo da OCDE (Organização para a Cooperação e Desenvolvimento Económico).

A Saúde deverá ser a prioridade do novo governo.

Tudo isto é possível porque cada vez temos maior literacia .





Resumo das principais temáticas

Dr. Rui Ivo (INFARMED): o presidente do INFARMED fez o discurso de abertura deste evento, reforçando o papel crucial da inclusão da pessoa com doença nos processos de análise e avaliação dos produtos de saúde. Sublinhou a participação, desde 2007, de representantes de associações de doentes, nas reuniões do INFARMED, o que veio valorizar a produção de informação relevante no âmbito dos produtos de saúde. As pessoas que convivem com a doença são determinantes para o enriquecimento do processo, quando identificam as suas prioridades, relatam a sua experiência com a doença, e transmitem as vantagens e as desvantagens do novo medicamento, colaboração que ocorreu em 60 processos de avaliação de medicamentos. Para este fim foi nomeado um gestor totalmente dedicado ao projeto, o Dr. Pedro Faleiro, uma decisão relevante para promover a qualidade de todo este círculo vicioso de aprendizagem. A visão de o programa Incluir pretende reforçar a colaboração com as associações, com papel ativo e bem estabelecido, esforço que demonstrou bons resultados, em menos de um ano, com particular incidência para as atividades de fármaco-vigilância e de gestão da disponibilidade de medicamentos. Terminou a sua comunicação apresentando os agradecimentos à equipa Incluir, cujos objetivos têm sido altamente alcançados, merecendo um trabalho dedicado e profundo, nesta interação com os cidadãos que recebem de forma mais direta, os cuidados de saúde.



Dra. Ivana Silva (Agência Europeia do Medicamento): a experiência da pessoa com doença na ação do regulador assume uma extrema importância. E sendo a EMA (European Medicines Agency) um regulador da UE para os produtos de saúde, foi adequada a apresentação desta entidade. A EMA está incumbida de atribuições com excelência científica de avaliação e de supervisão de medicamentos, que visam o benefício da saúde pública e animal na União Europeia. Por um lado, facilita o acesso e o desenvolvimento aos medicamentos, avalia pedidos de autorização, mas não avalia todos os medicamentos, ensaios clínicos, dispositivos médicos, preço ou reembolso, publicidade, orientações de tratamento, aconselhamento médico e legislação. Tem uma monitorização centralizada da segurança do medicamento

e colabora com as partes interessadas, ou seja, as associações, os laboratórios, os centros de investigação. Comporta na sua orgânica interna as estruturas de decisão, as estruturas consultivas, o processo de avaliação de medicamentos, que engloba a participação de pessoas com doença, os profissionais de saúde e os académicos, promove as plataformas de diálogo, os eventos multilaterais, e o envolvimento do público. Desde 2000 que as pessoas com doença cooperam

como membros de um comitê peração foi alargada à gestão Covid-19. Estas pessoas com como representantes da sociedade com doença. As competências como peritos indicamentos, começaram a ter



com 87 representantes, atingindo um quantitativo de 769 em 2019, e 485 em 2021. Este contributo resultou numa reflexão adicional em 52% dos casos, em que 71% representaram a sua experiência da vida real, 42% ofereceram uma perspetiva diferente, 14% levantaram questões novas e, 20% das recomendações foram modificadas, o que atesta bem da importância deste tipo de envolvimento. Estas equipas estão integradas no grupo designado Patients and Consumer's Working Party (PCWP) e vieram transformar o ambiente de investigação clínica na UE, desde janeiro de 2022. A EMA tem objetivos mais alargados, como seja, o apoio a ensaios clínicos mais abrangentes e de melhor qualidade, incrementar os dados da experiência da pessoa com doença e identificar as preferências em relação aos medicamentos. As informações sobre o PCWP estão disponíveis no site da EMA: <https://www.ema.europa.eu/en/committees/working-parties-other-groups/chmp/patients-consumers-working-party>

Painel 1: Lições aprendidas de casos concretos



Dr. Filipe Calinas (Centro Hospitalar Universitário de Lisboa Central-Capuchos): trata-se de um médico especialista em hepatologia que relevou a importância do esclarecimento, aconselhamento e motivação sobre as doenças no fígado. Chamou a atenção para a importância dos exames complementares, da vigilância e dos tratamentos. A sua equipa é pioneira na consulta descentralizada no GAT In-Mouraria para PUD (Pessoas que Usam Drogas), que teve início em 10 de setembro de 2020, relevando que os indicadores expressam uma melhoria em ganhos

de saúde. Este projeto teve continuidade na Associação Ares Pinhal. É um projeto em que o médico se desloca ao doente, por meio de um transporte específico, devidamente equipado e com técnicos de saúde habilitados, para o rastreio do vírus da hepatite C, que pode ocorrer em qualquer cidadão, mas que tem uma prevalência bastante elevada na população PUD. Este projeto tem demonstrado as suas próprias especificidades e exigências, contudo os resultados têm sido muito animadores, o que comprova a valorização destas parcerias, entre o meio hospitalar e as associações de doentes.

Dra. Ana Rute Sabino (Associação SERaro): este testemunho revelou-se muito interessante, no que respeita à troca de experiências entre pessoas doentes, cujas práticas têm demonstrado resultados muito animadores, mesmo em casos onde a doença ainda não tem um tratamento eficaz. Foi relatado o caso de um pai com um filho que apresenta um quadro de doença rara, porém sem diagnóstico, e que entrou em contacto com a associação. Mesmo sem o diagnóstico, falando com outros doentes, este facto determinou uma mudança de vida da criança com a doença e dos seus familiares, o que acabou por ser bastante positivo. A recolha de informação de diferentes origens é fundamental para que se formem redes de aconselhamento com melhorias substanciais no seu ritmo de vida, como por exemplo, um doente que ia às consultas hospitalares 10 vezes por ano, passou a ir apenas duas vezes. A experiência desta associação reforçou o papel determinante do contacto com o exterior e a facilitação dos canais de informação, concluindo que a voz do doente é crucial junto dos organismos de decisão, que visam a melhoria da vida dos doentes.



Dr. Jorge Correia (Laboratório Roche): esta apresentação começou por abordar as relações institucionais do laboratório Roche. Seguidamente exemplificou-se como se pode transformar a retórica em realidade, através da candidatura ao projeto financiado por este laboratório, designado Bolsas de Cidadania, como forma de enaltecer a responsabilidade social das empresas, das associações não-governamentais, de modo que a sociedade possa usufruir dos benefícios para a saúde. Desde 2015, que as Bolsas de Cidadania já financiaram 50 vencedores, num valor aproximado de 500 mil euros, nas suas nove edições, com benefícios inteiramente direcionados para os cidadãos. Os projetos vencedores são devidamente monitorizados, de acordo com os objetivos que se propuseram alcançar. A submissão destes projetos por parte das associações, ocorre em fevereiro e março de cada ano, e os prémios dão a possibilidade de acesso aos projetos da UE: <https://www.corporate.roche.pt/topic/bolsas-de-cidadania>



Dra. Sónia Correia (Farmácia Aliança): esta experiência veio relatar os princípios práticos de uma farmácia comunitária, cujos serviços farmacêuticos estão orientados para a comunidade em geral, valorizando e disponibilizando os serviços farmacêuticos, que trazem benefícios para a saúde. Estas práticas revelaram um elevado potencial em cuidados de saúde pública, uma resposta imediata por parte de um profissional de saúde, a acessibilidade e a disponibilidade para os cidadãos. Ficou uma máxima, dos tempos da formação na faculdade: acrescentem sempre valor ao vosso trabalho e ao vosso atendimento. Foram identificadas as várias áreas de intervenção na saúde e as campanhas que têm tido um impacto muito positivo na população. De certa forma interessante, foi a assunção do investimento em homeopatia e naturopatia por parte desta farmácia.

As outras áreas de relevo na atividade farmacêutica desta empresa orientam-se para a sensibilização da autovigilância e autocontrolo da doença, ajuda nos cuidados formais e informais, com a criação de materiais formativos e informativos, reforçando que os cidadãos terão mais saúde, com a supervisão farmacêutica, a vigilância e planos institucionais e de prevenção.

Dra. Margarida Oliveira (INFARMED): a Avaliação das Tecnologias de Saúde (ATS) é uma ferramenta primordial que visa maximizar os ganhos em saúde e a qualidade de vida dos cidadãos, bem como garantir a sua sustentabilidade e a utilização eficiente dos recursos públicos em saúde, para além de monitorizar a utilização e a efetividade das tecnologias, reduzir os desperdícios e as ineficiências, promover e premiar o desenvolvimento de inovação relevante, e promover o acesso equitativo às tecnologias de saúde. A ATS realiza-se desde 1999, para os medicamentos, e desde 2007, no âmbito dos processos de avaliação prévia, ou seja, antes da decisão de financiamento e como instrumento de apoio à decisão. Mais recentemente, em 2015, passaram também a ser abrangidos os dispositivos médicos. Voltou a ser reforçada a importância do envolvimento das pessoas com doença e das associações, concretamente a valorização do registo no projeto Incluir, para recolha de contributos: <https://www.infarmed.pt/web/infarmed/cidadaos/registo>



Painel 2: Importância da capacitação para a cidadania na saúde

Dra. Cristina Vaz de Almeida (Instituto Superior de Psicologia Aplicada): a literacia em saúde faz parte da nossa vida, sendo necessário quebrar as barreiras e conduzir a uma maior inclusão e cuidados equitativos. Reforçar a parceria global complementada por parcerias multisectoriais, porque a literacia em saúde salva vidas. A complexidade dos conceitos técnicos e a origem das fontes, são aspetos determinantes para a condução da literacia em saúde. Devemos sempre privilegiar as fontes credíveis, como sejam os médicos, os investigadores, os académicos, os laboratórios, em detrimento das fontes falaciosas, muitas vezes provenientes de amigos, familiares, bloggers e redes sociais. A comunicação em saúde deve ser assertiva, clara, simples, para facilitação da literacia em saúde, sendo importante a interseção entre o conhecimento, as capacidades e os atributos na área da saúde, assim como ouvir o cidadão em miniassembleias, e dar-lhe a voz. Levar em conta as ações patentes na sigla FORTE: Fazer, Observar, Repetir, Treinar e Envolver. Aconselha-se a consulta do site da Sociedade Portuguesa da Literacia em Saúde, e particularmente o Guia de Recursos Sobre a Dor: <https://splspportugal.com/>



Dra. Ana Rita Goes (NOVA-Escola Nacional de Saúde Pública) ana.goes@ensp.unl.pt: a importância de passarmos dos conceitos à prática, visando a saúde como um recurso essencial para a cidadania, uma vez que todos os cidadãos têm o direito e o dever de participação nos cuidados de saúde. Para esta participação é necessário maior capacitação e desenvolvimento de conhecimentos e competências, para aumentar os níveis de literacia na população, como forma de aceder, compreender, avaliar, utilizar, os recursos dos sistemas de saúde de forma cada vez mais eficiente. A literacia em saúde pode ser funcional ou básica, interativa ou comunicativa e crítica. A básica consiste na aquisição de competências necessárias para obter informação sobre saúde e aplicar esse conhecimento. A literacia interativa exige um conjun-

to de competências mais avançadas, que permitem processar e compreender diferentes formas de comunicação, aplicar esse novo conhecimento a novos contextos, por forma a interagir com outros parceiros e ajudar na tomada de decisões. A literacia crítica já requer competências mais avançadas que permitam fazer uma análise crítica da informação, de modo a ser utilizada para exercer controlo sobre situações e eventos da vida que tenham impacto na saúde. Neste sentido, a Escola Nacional de Saúde Pública desenvolve programas de formação, dirigidos às Associações de Doentes, permitindo que estas tenham acesso a um conjunto de conhecimentos fundamentais à sua atividade, para que exerçam uma participação ativa e significativa no sistema da saúde. A Academia para a Capacitação das Associações de Doentes (ACAD), visa capacitar as Associações de Doentes com novas competências e ferramentas de gestão e intervenção social.

Dr. Pedro Faleiro (INFARMED) associacoes.doentes@infarmed.pt; incluir@infarmed.pt : a evolução do conhecimento da pessoa com doença no INFARMED, tem sido um dos princípios orientadores na gestão das competências que estão atribuídas a esta entidade. Uma vez mais foi relevada a importância para o registo no projeto Incluir, para melhor consolidação, desenvolvimento e evolução da gestão dos medicamentos e produtos de saúde. A base de dados tem atualmente 328 contactos para serem objeto futuro de ações de capacitação. Este modelo está plenamente integrado num plano de comunicação aprovado, com endereço eletrónico próprio, fórum, newsletter, e redes sociais. As novas áreas de envolvimento são a fármaco-vigilância e o desenvolvimento de medicamentos, com particular atenção para a rutura de stock de certos medicamentos, as dificuldades de acesso aos mesmos e em geral, as falhas de medicamentos. Pretende-se alargar o agregado de Associações de Pessoas com Doença (ADP) de forma capacitada para novos processos, com reforço desses conteúdos.



Dra. Érica Viegas (INFARMED): no encerramento deste evento foi enaltecida a ampla participação das associações e foi feito um breve resumo de todas as apresentações, que serviu para consolidação dos tópicos principais desenvolvidos neste evento. Finalmente foram endereçados os agradecimentos a todos os presentes.

Conclusão: Numa primeira abordagem podemos dizer que este tipo de eventos tem um interesse muito abrangente para a vida das associações de doentes, pelo que a APAHE deve estar sempre presente. Em segundo lugar, reconhece-se a importância da literacia em saúde e a necessidade de sensibilizar as associações e os doentes para esta área tão fundamental. E neste sentido, devemos atender sempre à qualidade das fontes para obter a informação e os conhecimentos necessários para que as associações possam estar bem integradas nos canais de comunicação em saúde. Por outro lado, é essencial que a APAHE seja parte do projeto Incluir do INFARMED, para se tornar num futuro próximo, uma associação capacitada, assim como é crucial, entrar em contacto com a Escola Nacional de Saúde Pública da Universidade Nova de Lisboa, mais concretamente com a Academia para a Capacitação das Associações de Doentes, no sentido de acompanhar o estado da arte no processo de gestão de saúde, através da aquisição de novas competências.



Célia Costa
Presidente da APAHE
Carlos Neves
Vice-presidente da APAHE

Associação Portuguesa das Indústrias Farmacêuticas

Atrair Investimento em Saúde-Viver Melhor

Culturgest, 8 de novembro de 2023



Este evento decorreu no pequeno auditório da Culturgest, com a participação de diversas entidades ligadas ao setor da saúde, e particularmente, algumas associações de doentes, que contou com a presença da APAHE. Os grandes objetivos deste encontro estão focalizados na necessidade de atrair mais investimento para as empresas da saúde, de rever a legislação europeia que leva já 20 anos, tornar confiantes as nossas empresas, em outras partes do mundo, discutir as

novas propostas e o seu impacto nos Estados-Membros da União Europeia, e desenvolver a área da inovação dos medicamentos.

Após uma breve introdução, teve a palavra o Prof. Armando Monteiro, da Confederação Empresarial de Portugal, cuja comunicação se resume aos seguintes pontos: o sistema de saúde deve contar com a participação de todos; não estamos preparados para responder a ameaças globais; a necessidade de reindustrialização da União Europeia; repensar a estratégia farmacêutica para a União Europeia, na busca da liderança global; o problema do cidadão português, que tem que esperar mais tempo, que um cidadão da União Europeia; a criação de um centro de excelência, em Portugal, para a realização de ensaios clínicos; a boa notícia sobre o reforço de recursos humanos para o IFARMED, até ao final do ano; o Plano de Recuperação e Resiliência (PRR), apenas comporta 1383 milhões, o que corresponde a 0,6% do total do PRR para a área da saúde, apenas; a média do investimento em saúde, na OCDE está 30% acima do que é feito em Portugal; o mercado da saúde representa 10% do Produto Interno Bruto (PIB) mundial; previsão do aumento das despesas públicas para a saúde até 2030; os países emergentes, como a China e a Índia, enfrentam uma nova realidade e desafios para a saúde, com a ascensão da classe média; a importância determinante das novas tecnologias para a cura das doenças, por exemplo, a terapia genética, a nanotecnologia, as vacinas, etc.

A segunda comunicação esteve a cargo do Dr. José Almeida Bastos, Médico e ex-dirigente Internacional da Indústria Farmacêutica, que nos trouxe os seguintes pontos relacionados com os contextos para o investimento na indústria da saúde: as implicações do ecossistema da inovação, o acesso a preços adequados e equilibrados, a necessidade do retorno para as empresas prosseguirem o seu esforço de investimento, a continuidade dos reduzidos níveis de colaboração e de cooperação entre as empresas e universidades, para a alavancagem de projetos de investigação; o quadro geral não é favorável, face ao muito tempo que se perde, a baixa atratividade e concorrência múltipla, no setor da indústria da saúde; para elucidação mais consistente, foi apresentado o panorama do número de patentes registadas, no setor da saúde, em 2022, para se concluir da fraca atratividade de Portugal (o número de patentes): Alemanha (24684), França (10900), Reino Unido (5697), Itália (4864), Portugal (312) (European Patent Office, 2022); a situação dos ensaios clínicos em Portugal: dificuldade de recrutamento de doentes; a nova regulação europeia para os ensaios clínicos, 2395 ensaios submetidos, sendo autorizados 1298, respeitantes à fase 3, o que corresponde a 29% do total dos ensaios clínicos; os Estados Membros que estão envolvidos em

ensaios clínicos multinacionais: Portugal apenas com 4% do total de novos pedidos, situando-se abaixo da Grécia, da Roménia e da Hungria; a necessidade de investir num cluster de Biofarma, mas será que existem condições? A ausência de objetivos para a Biofarma, no plano estratégico da AICEP; afinal em que ponto nos encontramos e o que queremos; o diagnóstico está feito, há muito tempo, mas insiste-se na formação de grupos de trabalho para refazer o diagnóstico.

Após estas duas comunicações foi apresentado um painel para o debate, sobre Atrair Investimento, composto pelos seguintes elementos:

Nuno Sousa, vice-presidente AICIB – Agência Investigação Clínica e Inovação Biomédica: colocar na agenda o investimento que transforme o valor; existe uma visão provinciana que a academia não pode trabalhar com a indústria e vice-versa. Necessidade de promover uma cultura científica e a criação de valor económico na área da saúde, e adotar as melhores práticas, estabelecidas a nível nacional e internacional.

Luís Rebelo de Sousa, Administrador da Agência para o Investimento e Comércio Externo de Portugal (AICEP): a necessidade da comunidade em geral, refletir o que deve ser dependente dos ciclos políticos ou não; a saúde é um setor estruturante, e deve ser alvo de políticas públicas de longo prazo; a questão de escala para o desenvolvimento do setor; a necessidade de estabelecer parcerias com os Estados-Membros da EU; o reforço interno significativo nas atividades empresariais para saúde; o papel das empresas em complementaridade ao Estado, e onde se pode alavancar a iniciativa privada; sem estes objetivos não se pode pensar a nossa posição no seio da EU.

José Zorro Mendes, ISEG: Portugal consegue arrastar anualmente, 25500 milhões euros, na a saúde, cujo indicador até nos é bastante favorável; a externalidade positiva da saúde, que é conseguir maiores níveis de produtividade; o problema do Orçamento de Estado que reside na diferença entre o valor orçamentado e o valor executado, pois somente uma média de 53% é que foi executado, nos últimos anos; os privados só investem se tiverem condições favoráveis a esse investimento: a lei da fixação dos preços, a fiscalidade, a burocracia, a incerteza regulatória, as posições contraditórias da EU, e a falta de dimensão atroz, como se pode constatar pelo Valor Acrescentado Bruto (VAB), do setor da saúde, a título comparativo, a Suíça produz 24000 milhões de euros, e Portugal 500 milhões, ou seja, Portugal não tem uma dimensão forte; a aprovação de uma substância ativa para um medicamento, demora em média 426 dias na EU, enquanto nos EUA este período é bem inferior.

António Donato, Associação Portuguesa da Indústria Farmacêutica (APIFARMA): os programas Portugal 2020 e 2030 não contemplam as empresas farmacêuticas, atendendo a que o VAB farmacêutico é superior ao da indústria automóvel e aeroespacial; em Espanha este setor é um dos pilares do plano estratégico para a indústria farmacêutica, como se vê nas exportações do setor, em Espanha com um valor de 22000 milhões euros, e Portugal com 2000 milhões euros; 60% dos docentes e investigadores do Ensino Superior, nunca tiveram contacto com as empresas farmacêuticas; a perda e atração de talento é multidisciplinar, devendo-se apostar na procura de talentos fora da UE; necessidade de políticas e planos que apoiem os setores mais produtivos, como é o caso da indústria farmacêutica.



ATRAIR INVESTIMENTO EM SAÚDE
VIVER MELHOR

Se queremos a Europa na primeira linha da inovação, temos de garantir que os decisores políticos aprovam uma legislação que traga investigação, emprego e crescimento

NATHALIE MOLL

Seguidamente, ao intervalo, assistimos a outro painel para debater o tema Viver Melhor, com os seguintes participantes:

Filipa Costa, direção da API-FARMA: o preço do medicamento é sempre o grande problema; as reuniões do grupo de trabalho estão a decorrer com normalidade e o relatório sairá brevemente; não é verdade que para Portugal, os novos medicamentos vêm sempre com preços elevados; a importância da diferenciação dos medica-

mentos com valor terapêutico e económico, particularmente, aqueles que fazem os doentes voltar à sua vida normal; a maior parte dos medicamentos que entram em Portugal, chegam por um valor mínimo; necessidade de identificar as prioridades, pois há muito consenso, mas é importante investir em mais centros de serviços prestados, mais componente industrial, e agir e fazer acontecer.

Jorge Seguro Sanches-Partido Socialista, Deputado AR Grupo Parlamentar Saúde: esperança na dinâmica do trabalho do grupo para reestruturação do SNS; a importância do planeamento e da comunicação; a fixação administrativa de preços pode sofrer alteração nas instâncias da UE; o envolvimento da sociedade civil e de todos os intervenientes; o reconhecimento da enorme diferença, entre o PRR para a saúde em Portugal e em Espanha; o cluster deste setor, não tem o valor desejado.

Ana Paula Martins, presidente do Centro Hospitalar Universitário de Lisboa Norte (Santa Maria): parece que estamos em modo de sobrevivência, mas não é verdade; duplicar o número de ensaios clínicos nos próximos cinco anos, e suas implicações; Instituto de Medicina Molecular que se fundiu com o Instituto Gulbenkian para a Ciência; 240 milhões de euros em medicamentos neste

ATRair INVESTIMENTO EM SAÚDE VIVER MELHOR

apifarma
ASSOCIAÇÃO PORTUGUESA DA INDÚSTRIA FARMACÉUTICA

Os sectores específicos da Saúde têm ligações com outros sectores e arrastam toda a Economia por isso é desejável que haja um forte investimento em saúde

JOSÉ ZORRO MENDES

centro hospitalar, 22 milhões recursos humanos e 21 milhões em recursos clínicos; o desejo de continuar a tratar os doentes com as melhores terapêuticas, a necessidade da comparticipação dos medicamentos; o sucesso no tratamento de muitos doentes oncológicos, por liderança do Dr. Luís Costa; a receção de doentes oriundos de outros hospitais e do setor privado porque esgotaram os seus plafonds; é fundamental avaliar os doentes face aos custos elevados dos medicamentos e tratamentos.

Rui Ivo, presidente do Instituto Nacional da Farmácia e do Medicamento (INFARMED): a regulação da proteção da saúde pública; a atração de recursos humanos é funda-

mental, mas é necessário ter condições para os manter; as 46 vagas a serem preenchidas até final do ano; 44% dos fármacos aprovados pela European Medicines Agency (EMA); as entidades nacionais não devem apoiar os medicamentos vindo da EMA em catadupa; o relatório da OCDE saiu hoje, sendo muito interessante fazer a sua análise; o processo de aprovação, acessibilidade e preço do medicamento; a reorganização do SNS, e a possibilidade de um doente, de um hospital, pode ir a outro hospital.

Ana Sampaio, Associação Portuguesa da Doença Inflamatória do Intestino (APDI): a desconfiança entre todos os intervenientes, as informações que não são partilhadas; a necessidade do trabalho cooperativo e colaborativo; as associações de doentes não têm acesso aos dossiers; dar parecer sobre um medicamento, mas de que forma, uma vez que se desconhece o medicamento; falta planeamento das tarefas e respetiva coordenação; os consentimentos informados são extensos e os doentes têm muito desconhecimento; a dificuldade dos ensaios clínicos porque os hospitais julgam que o doente é seu; o ensaio está a decorrer em outro hospital e como é que o doente se desloca; a língua inglesa como uma dificuldade acrescida para os doentes, pois deve haver mais informação em português; as associações são cada vez mais profissionais, não andamos a vender a caneca, as canetas e os porta-chaves; o objetivo é integrar todos os intervenientes; os doentes são melhor tratados nos grandes hospitais, preferindo assim, fazer grandes deslocações; o problema dos tempos mortos na tomada de decisão, enquanto o doente vai piorando o seu estado de saúde; os medicamentos são caros mas não debatemos o preço; o IFARMED é uma entidade bastante recetiva às associações de doentes; o importante projeto do INFARMED no que respeita à medicação de proximidade.



Em jeito de conclusão, podemos afirmar que há muito trabalho a fazer no quadro do desenvolvimento, investigação e reforço das atividades empresariais no setor da saúde em Portugal, quando este representa um VAB muito significativo e com possibilidades de crescimento. Os interesses deste setor são muito compartilhados pelos diversos intervenientes, havendo necessidade de muita cooperação e colaboração organizativa, mas torna-se necessário identificar e especificar muito bem, o modelo e as áreas de expansão deste setor em Portugal, em face da múltipla concorrência e competitividade mundial. O grande obstáculo, de décadas, em não conseguirmos congregarmos as sinergias empresariais e académicas, torna-se num fator com elevada expressão resistente, no que diz respeito à consecução de metas e objetivos primordiais, quer em termos nacionais, quer internacionais, tão fundamental para a candidatura a financiamentos para Investigação e Desenvolvimento de grande dimensão, como é por exemplo o caso de uma bolsa da European Research Council (ERC). Para finalizar, sem dúvida, que todos os intervenientes estão identificados com os principais desafios e oportunidades do investimento em saúde, e a qualidade individual e institucional é reveladora de elevada competência, porém, ficou no ar uma ideia muito concreta: é crucial ligar efetivamente todos os elos desta corrente.

Carlos Paiva Neves
Vice-presidente da APAHE

The International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)
IRDiRC, Hôpital Chales-Foix, 7 Avenue de la République, 94200 Ivry-sur-Seine,
França

Investigação Futura sobre Doenças Raras 2017–2027: Uma perspetiva da IRDiRC

**Autores: Christopher P. Austin, Christine M. Cutillo, Lilian P.L. Lau, Annelie-
ne H. Jonker, Ana Rath, Daria Julkowska, David Thomson, Sharon F. Terry,
Béatrice de Montleau, Diego Ardigò, Virginie Hivert, Kym M. Boycott, Gareth
Baynam, Petra Kaufmann, Domenica Taruscio, Hanns Lochmüller, Makoto
Suematsu, Carlo Incerti, Ruxandra Draghia-Akli, Irene Norstedt, Lu Wang,
Hugh J.S. Dawkins.**

Objetivos da IRDiRC para 2017-2027

Objetivo 1: Todos os doentes que recorram a cuidados médicos com uma suspeita de doença rara serão diagnosticados, no prazo de um ano, se a sua perturbação for conhecida na literatura médica. Todos os indivíduos atualmente não diagnosticáveis entrarão numa cadeia de diagnóstico e investigação coordenada a nível mundial. Dados recentes indicam que cerca de metade dos indivíduos com uma suspeita de doença rara não estão diagnosticados, enquanto os que receberam um diagnóstico esperam, em média, 5 a 6 anos, tendo sido observados atrasos de diagnóstico de várias décadas. A introdução clínica de novos métodos de diagnóstico, como a sequenciação de nova geração, permitiu que o tempo de resposta do laboratório fosse tão curto, como várias semanas para diagnosticar algumas das doenças raras com uma base molecular conhecida. Cada doença rara não diagnosticada representa uma oportunidade para abrir uma nova área de conhecimento biológico, pelo que, à medida que aumenta o número de novos genes e variantes patogénicas identificados, aumenta também o rendimento do diagnóstico. Chegou a altura de os investigadores, os médicos e os doentes de todo o mundo compreenderem coletivamente, a etiologia do vasto número de doenças raras, darem o impulso final para permitir o diagnóstico de todas as doenças raras e facilitarem o acesso dos doentes a um diagnóstico eficaz. Na próxima década, o IRDiRC irá trabalhar em conjunto, para implementar um sistema através do qual os doentes com uma suspeita de doença rara de base molecular conhecida, sejam diagnosticados no prazo de um ano, após a apresentação inicial a um profissional de saúde, em vez de se confrontarem com uma odisseia de diagnóstico que dura anos. Os desafios para atingir este objetivo são principalmente operacionais, envolvendo a sensibilização do público e dos médicos, o encaminhamento eficiente dentro do sistema médico, e a necessidade de uma partilha radicalmente mais eficiente de conhecimentos, e dados de diagnóstico entre profissionais e investigadores de todo o mundo.



IRDiRC
INTERNATIONAL
RARE DISEASES RESEARCH
CONSORTIUM

Conferência no INFARMED

INFARMED and advanced therapy medicinal products from innovation to patients
(O INFARMED e os medicamentos de terapia avançada da inovação aos doentes)

10 de novembro de 2023

Resumo dos tópicos principais

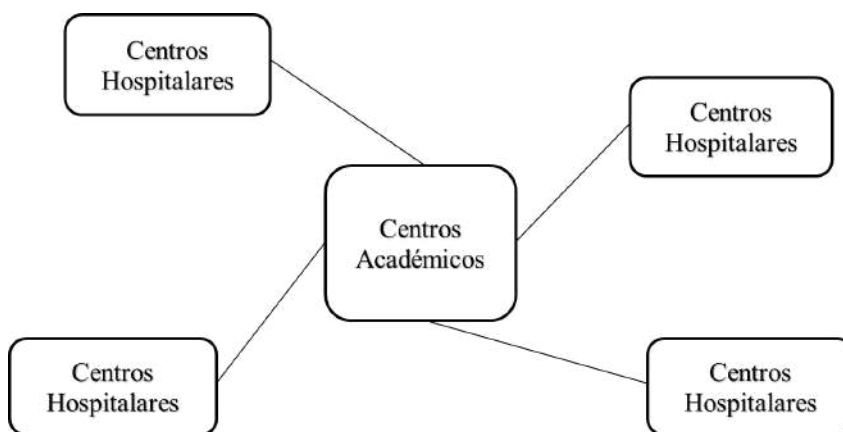
Abertura pelo presidente do INFARMED, Dr. Rui Ivo: os desafios da revisão regulatória na UE para os novos medicamentos, focalizando a importância destes avanços científicos, particularmente a terapia genética, em prol dos doentes.

O Prof. Miguel Forte, presidente-eleito da Sociedade Internacional de Terapia Celular e Genética: tomou a palavra e reforçou a importância determinante dos avanços da ciência, em geral, e em particular para a área da saúde.



Prof. Bruce Levine, da Universidade da Pensilvânia: projetos na área do tratamento do cancro e medicamentos indicados para o tratamento de doentes adultos com linfoma, medicamentos à base de células T, geneticamente modificadas ex vivo (refere-se a experiências ou medições efetuadas em ou sobre tecidos de um organismo num ambiente externo com uma alteração mínima das condições naturais); a aprovação da terapia genética nos EUA; A terapia celular adotiva, também conhecida como imunoterapia celular, é uma forma de tratamento que utiliza as células do nosso sistema imunitário para eliminar o cancro; os desafios da imunoterapia em tumores sólidos; a próxima geração de CAR (Chimeric Antigen Receptor/Recetor de Antígeno Quimérico): As células CAR-T são células produzidas em laboratório derivadas das células mais importantes do nosso sistema

de defesa, as células T; engenharia de células ex vivo; desafios na definição da população de células de origem; rápida evolução das ferramentas; as células CAR vão para além da oncologia; as células T CAT in vivo (são aquelas em que os efeitos de várias entidades biológicas são testados em organismos ou células inteiras e vivas, geralmente animais, incluindo o homem, e plantas) tratam lesões cardíacas; o modelo



hub-and-spoke, é um método de organização que envolve a criação de um campus principal (hub), que recebe os maiores investimentos em recursos e fornece os serviços médicos mais intensivos, complementado por campus satélites (spokes), que oferecem serviços mais limitados em locais distribuídos pelo mercado servido. As necessidades básicas de cuidados de saúde são satisfeitas a nível local através das instalações satélites da rede, mas nos casos em que são necessárias intervenções médicas mais intensivas, os doentes são encaminhados para o campus principal ou centro para tratamento.

Questões-chave no desenvolvimento da terapia celular; desafios na aplicação da terapia celular aos doentes: os biomarcadores preditivos; a viabilidade financeira.

Prof. Luís Pereira de Almeida, Faculdade de Farmácia da Universidade de Coimbra: a terapia génica e a sua evolução desde há 150 anos; de Gregor Mendel (1822-1884) ao primeiro ensaio clínico; os genes são potenciais novos medicamentos? Terapia in vivo e ex vivo; vetores virais para terapia génica; tradução clínica da terapia génica: adição de genes, silenciamento de genes, edição e reparação de genes; Dissertação para obtenção do grau de Mestre no Instituto Universitário Egas Moniz, Maria Botelho Velho Cabral Rocha, Instituto Universitário Egas Moniz, 14 de dezembro de 2022, Doença de Machado-Joseph: abordagem terapêutica e de terapia génica: A doença de Machado-Joseph (DMJ) ou ataxia espinocerebelar 3 (SCA3), é uma doença neurodegenerativa, pertencente ao grupo das doenças de poliglutamina (poliQ).



Molecularmente é causada pela expansão de uma repetição CAG (Citosina, Adenina e Guanina) na região codificante do gene ATXN3. Esta é a ataxia mais comum herdada de forma dominante. Relativamente a Portugal, este é um país com elevada prevalência desta doença. No continente representam 56 % de todas as ataxias Autossómicas Dominantes, correspondendo a uma prevalência de 3,1/100000 habitantes, e de 41,6/1000000 habitantes na região dos Açores. Caracteriza-se pelo seu aparecimento tardio, entre os 35 e os 40 anos, e pela perda progressiva das funções

motoras. Apesar da causa monogénica da doença, a sua fisiopatologia permanece indefinida. A mutação resulta numa proteína dobrada de forma atípica que agrega e afeta várias funções celulares, incluindo a transcrição do RNA, a homeostase da proteína e a transmissão sináptica. Atualmente, não há cura para a DMJ, no entanto, a crescente compreensão da patogénese da doença oferece diferentes caminhos para potenciais terapêuticas. Esta dissertação tem como objetivo realizar uma revisão narrativa sobre a abordagem terapêutica e terapia genética na Doença de Machado-Joseph (DMJ). Numerosos estudos têm-se focado no desenvolvimento de tratamentos que visam a doença em diferentes estágios, pre-

venindo a agregação de proteínas, aumentando a depuração de proteínas mutantes e combatendo os mecanismos de disfunção celular. Nos últimos anos, também tem havido um foco crescente no desenvolvimento de terapias genéticas, sugerindo que, no futuro, essa doença debilitante possa ser prevenida. estratégias de silenciamento de genes para SCA3, injetando Ataxina-3 mutante; edição genética CRISPR, que consiste numa técnica de engenharia genética em biologia molecular, através da qual os genomas dos organismos vivos podem ser modificados); os trabalhos de Emmanuelle Charpentier e Jennifer Doudna, Nobel da Química, em 2020, pelo método de edição do genoma, que veio revolucionar as ciências da vida; estudos sobre o sistema CRISPR/CAS9 tendo como alvo o gene ATXN3 (a tecnologia de edição de genes CRISPR/CAS9 permite modificações no genoma); os desafios e as estratégias alternativas; o Centro de Excelência de Terapia Génica, cujo principal objetivo é a criação de um polo de investigação e inovação em Terapia Génica, assente num Centro de Excelência (CoE) localizado na região Centro de Portugal - o GeneT, para capitalização da capacidade de Investigação, Desenvolvimento e Inovação já existente na Universidade de Coimbra.



Painel I: Translation of Innovation to Clinical Value (Translação da Inovação para o Valor Clínico)

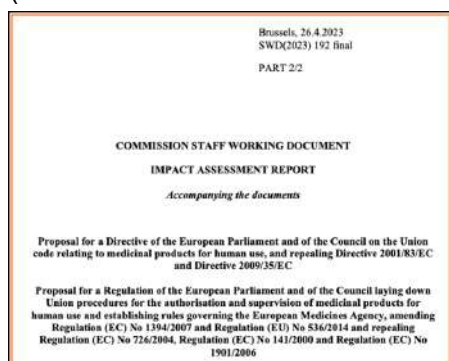


Maria Isabel Vieira, INFARMED: o comité para as terapias avançadas emite o primeiro parecer de certificação; PRiority MEdicines (PRIME) desde 2016 é um regime gerido pela Agência Europeia de Medicamentos (EMA) para reforçar o apoio ao desenvolvimento de medicamentos que visam uma necessidade médica não satisfeita. Este regime voluntário baseia-se numa maior interação e num diálogo precoce com os pesquisadores de medicamentos promissores, a fim de otimizar os planos de desenvolvimento e acelerar a avaliação, para que estes medicamentos possam chegar mais cedo aos doentes. Existem diferenças substanciais no número de produtos que se candidatam ao PRIME nas diferentes áreas terapêuticas, bem como na sua taxa de aceitação. Entre 2016 e 2021, os produtos oncológicos constituem a grande maioria dos pedidos (29%). A taxa global de sucesso dos pedidos de elegibilidade do PRIME é de 25%. A taxa de sucesso nas áreas terapêuticas varia, na sua maioria, entre 20 e 30%, com exceção das vacinas (taxa de sucesso de 55% em 11 candidaturas). A hematologia é também um caso excecional, uma vez que 57% das 30 candidaturas foram bem-sucedidas. No caso da neurologia, foram submetidos 49 produtos, sendo apenas aprovados 9, uma taxa de 18%. Uma das ataxias que foi considerada como necessidade médica não satisfeita, neste PRIME, é a ataxia de Friedreich.

Margarida Menezes Ferreira, Consultora Independente para ATMP's (Advanced Therapy Medicinal Products/Medicamento de Terapia Avançada): os medicamentos de terapia avançada (ATMP) são para uso humano baseados em genes, tecidos ou células. Oferecem novas oportunidades inovadoras para o tratamento de doenças e lesões. Em abril de 2020, o Comité das Terapias Avançadas (CAT) da EMA aconselhou os doentes e o público em geral a



terem cuidado com as terapias celulares não comprovadas. Esta medida surgiu na sequência do aparecimento de anúncios publicitários a terapias celulares como cura para doenças graves em toda a União Europeia no início de 2020. As boas práticas para o fabrico de terapias avançadas (GMP for ATMP's/Good Manufacturing Practice for Advanced Therapy Medicinal Products), abordam os novos e complexos cenários de fabrico utilizados para estes produtos. As diretivas promovem uma abordagem baseada no risco para o fabrico e ensaio destes produtos e asseguram que estes novos medicamentos são produzidos e controlados de forma consistente, de acordo com elevados padrões de qualidade, para benefício e segurança dos doentes. Preocupações quanto à reforma da legislação farmacêutica da EU, particularmente o desaparecimento do CAT (Committee for Advanced Therapies/Comité para as Terapias Avançadas); o Biological Working Party/Grupo de Trabalho Biológico (BWP) apresenta recomendações



aos comités científicos da Agência Europeia de Medicamentos (EMA) sobre todas as questões relacionadas direta ou indiretamente com os aspetos de qualidade e segurança dos medicamentos biológicos e biotecnológicos. Outra preocupação é relativa ao facto deste grupo de trabalho não ser totalmente representativo dos Estados-Membros da UE.

Martina Schussler-Lenz, Paul Ehrlich Institute, Alemanha: trata-se de um instituto federal responsável pelos medicamentos para uso humano e veterinário, garantindo a segurança dos medica-

mentos ou a fármaco-vigilância. da investigação ao mercado, os ATMP aprovados e o acesso dos doentes, numa perspetiva regulamentar: os doentes na UE têm níveis diferentes de acesso a terapias inovadoras; são necessários pagamentos inovadores para aceder aos ATMP; isenção da autorização de introdução no mercado centralizada que dá poder aos Estados-Membros; o ciclo de vida dos medicamentos/ATMP; são necessários mais dados dos doentes em ensaios clínicos; provas sólidas na autorização de introdução no mercado (provas clínicas, ensaios aleatórios controlados RCT [Randomized Controlled Trials/Ensaio Clínico Aleatório Controlado], dados estatisticamente convincentes e clinicamente relevantes, os mesmos princípios para os ATMP); envolvimento dos doentes e dos médicos na avaliação risco-benefício dos ATMP; referência ao site da EFPIA (European Federation of Pharmaceuticals Industries and Associations), 2022.

Painel 2: Deploying clinical value to patient benefit (Implementação do valor clínico em benefício dos doentes)

Cláudia Furtado, INFARMED: avaliação e equilíbrio dos ATMP's: farmacoterapêutico e económico; elevada incerteza clínica, indicadores de substituição, número reduzido de doentes, elevada incerteza económica (maior dificuldade de reembolso em países com baixo PIB), preço elevado, pagamentos adiantados, custos administrativos, envolvimento dos doentes, pagamentos condicionados. O ICER (Institut for Clinical and Economic Review/Instituto para a Análise Clínica e Económica) dos EUA que se esforça por trazer estas decisões consequentes sobre os preços e o acesso às intervenções de saúde para o exterior, com os doentes à mesa, onde todos nós podemos ter um debate baseado em provas sobre os benefícios que uma nova intervenção de cuidados de saúde proporciona aos doentes e às suas famílias, e sobre a forma como devemos tentar alinhar as nossas despesas para garantir que obtemos o máximo de saúde possível com os dólares disponíveis.



Francisco dos Santos, Crioestaminal: esta empresa incorpora o maior grupo europeu da área das células estaminais, o grupo FAMICORD, que conta com a confiança de mais de 600 mil famílias e que já contribuiu para mais de 200 tratamentos com células estaminais do sangue do cordão umbilical, 10 dos quais realizados em crianças portuguesas; desenvolvimento de produtos avançados de terapia celular; existência de portfolio de ATMP's, e CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization/Organização de Desenvolvimento e Fabrico por Contrato) para investigadores e clínicos; Investigação e Desenvolvimento centrado nas terapias celulares, laboratório de terapias celulares. Com os elevados custos e a vasta gama de equipamento necessário para o desenvolvimento da atividade, esta empresa, pode estabelecer parcerias com uma CDMO ou uma CMO (Contract Manufacturing Organization/Organização de Fabrico por Contrato) pode ajudar as empresas farmacêuticas a introduzir novos produtos ou fórmulas no mercado, sem investir em infraestruturas adicionais para os suportar.



Filipa Moita, Hematology Department, IPO-Lisboa: impacto clínico da terapia com células CAR-T; linfoma difuso de grandes células B (Linfócito B ou célula B é um tipo de linfócito que constitui o sistema imunológico. Ele tem um importante papel na imunidade humoral e é um essencial componente do Sistema imune adaptativo. A principal função das células B é a produção de anticorpos contra antígenos); como administrar terapias com células CAR-T a todos os possíveis candidatos? Encargos financeiros e complexidade do procedimento, equipa multidisciplinar.

Mencía de Lemus Belmonte, Spinal Muscular Atrophy Foundation (FundAME): SMA Europa, três terapias aprovadas: ASO, Spinraza, 2017, Molécula pequena, Risdiplam 2021, Zolgensma, 2020; medicamentos com custos muito elevados; como é que esta situação pode ser melhorada? Algumas ideias: maior envolvimento, apoio e intercâmbio com os organismos de HTA (Health Technology Assessment/Avaliação de Tecnologias de Saúde) e de reembolso (entidades reguladoras, clínicos especializados, representantes dos doentes); reconhecimento por parte da entidade reguladora do que está a acontecer a jusante; aumento da transparência nas negociações de preços e de reembolso; desenvolvimento de novos métodos para reembolsar os ATMP's; recolha de RWD (Real-World Data) que são dados relacionados com o estado de saúde dos doentes e/ou com a prestação de cuidados de saúde, recolhidos por rotina a partir de uma série de fontes, por exemplo, dados derivados de registos de saúde eletrónicos, dados de pedidos de indemnização médica, dados de registos de produtos ou doenças e dados recolhidos de outras fontes (como tecnologias de saúde digitais) que podem informar sobre o estado de saúde; também ajudar na tomada de decisões de reembolso: o apoio aos proprietários de registos, o acesso atempado e equitativo, como prioridade para todos os intervenientes.

Conclusão

Este encontro organizado pelo INFARMED revelou-se muito apropriado para as associações de doentes, considerando, não somente, o elevado valor do seu conteúdo científico, mas também sob a perspetiva organizacional das diversas entidades nacionais e internacionais, hospitalares, empresariais e institucionais. As atividades que estão atribuídas a todas estas entidades, revelam-se exigentes e complexas, acrescido da necessidade de estabelecer canais de relacionamento, que permitam uma agilização eficiente nos fluxos de competências e procedimentos inter pares, com responsabilidades na investigação e desenvolvimento, comercialização, regulamentação e disponibilização das novas terapias avançadas. A elevada dimensão da produção de conhecimento, em geral, e na área das ciências da vida, em particular, exige cada vez mais, um esforço de convergência, cooperação e organização, para garantir o acesso das terapias avançadas, no mais curto prazo, cumprindo os critérios de segurança e de eficiências das mesmas. Sem dúvida que as associações de doentes assumem gradualmente, um papel preponderante neste diálogo multiorganizacional.



Célia Costa
Presidente da APAHE
Carlos Neves
Vice-presidente da APAHE