

I JORNADAS TERAPEUTICAS
**Acesso a medicamentos
experimentais
em situações de falência
terapêutica**

Abril 2006

***“Ensaio clínico de investigação,
programas de acesso alargado e
aspectos éticos da utilização de
medicamentos experimentais”***

João Oliveira

(IPOFG – Lisboa)

Dois casos-de-figura:

- Continuação do tratamento de doentes que participaram em ensaio clínico.
- Alargamento da utilização do medicamento aos outros doentes.

Lei 46/2004

Artº 39º

.....

2 - Após a conclusão do ensaio, o medicamento experimental deve, até à sua introdução no mercado, ser disponibilizado gratuitamente pelo promotor ao participante, desde que o investigador considere indispensável a continuação da sua utilização pelo mesmo e não existam alternativas terapêuticas.

Acesso alargado

O acesso alargado a medicamentos decorre do direito dos cidadãos a cuidados de saúde eficazes.

*“All effective treatment
must be free”*

Archibald Cochrane

Desespero

- Financiamento
- Organização
- Ética

Financiamento

- **Universalidade e gratuidade dos serviços de saúde.**
 - Se não, para muitos doentes, a única forma de se fazerem tratar é participar num ensaio clínico.

“... os doentes de SIDA fizeram as estruturas políticas e médicas dos EUA tomarem consciência dos imensos riscos aos quais se expunham seres humanos a contarmos com a morte, para obterem alívio”

Wall Street Journal, 28.12.88

“o aligeiramento das regras da FDA sobre a investigação é uma estratégia política, levada a cabo por uma administração liberal, cuja propensão não é ajudar os doentes de sida mas utilizar a epidemia para aligeirar as regulamentações sobre medicamentos e maximizar os lucros da indústria farmacêutica”

Annas, G. 1993

Ética

Doentes desesperados considerados
como voluntários para ensaios,
“sem nada a perder”.

Que escolhas ?

- As escolhas pedidas aos doentes são limitadas:
 - Geralmente consistem numa única opção que o profissional preparou e apresentou em termos simplistas.

(isto pode adequar-se à fragilidade do doente mas está longe de configurar um exercício de autonomia individual).

Organização

Confusão entre investigação e
prática assistencial.

O objectivo de um ensaio clínico

Não é “dispensar um tratamento. É responder a uma questão científica, de forma a que o produto seja disponibilizado a todos logo que a eficácia e a inocuidade estejam estabelecidas2

Fauci, A. (in Palca, Science 1989)

Participação em ensaios clínicos

O direito a participar em ensaios
clínicos decorre do espírito de
solidariedade.

Participação em ensaios clínicos

A vontade de participar num ensaio clínico não pode estar condicionada pelo facto de ser a única forma de aceder a medicamentos eficazes.

A avaliação de medicamentos

implica procedimentos diferentes da
prática clínica habitual

- finalidades

- doente

A Gulf

- *“Between the scientific measurements based on RCTs and the benefit measurements ... in the community, there is a gulf which has been much underestimated.”*
- *“Those patients participating in RCTs are nearly always selected ...”*

Archibald Cochrane, 1971

A MEDICALIZAÇÃO DA INFORMAÇÃO

- Restringir o aleatório e as decisões intuitivas.
- Objectivar e demonstrar resultados.
- Basear as decisões no conhecimento
 - Das necessidades dos doentes (sistemas de classificação).
 - Dos meios utilizados (levantamento e caracterização dos processos).
 - Dos resultados (sobrevida, qualidade de vida...).

DESAFIO

- Acelerar a investigação clínica.
- Manter a qualidade científica e ética.

Excessos opostos

- Excesso de prudência por parte dos reguladores.
- Excesso de imprudência por parte dos fabricantes e dos doentes.

Algumas modificações

- Abreviar os estudos não-clínicos (carcinogenicidade e teratogenicidade).
- Combinar fase I e fase II.
- Uso de marcadores sub-rogados.
- Alargar critérios de inclusão na fase III.
- Não restringir os tratamentos concomitantes.

Critérios alargados

- Vantagens:
 - recrutamento mais rápido
 - maior validade externa (segundo alguns).
- Desvantagens:
 - População heterogénea
 - Maior dificuldade em demonstrar utilidade (efeito “diluído”)
 - Eventual aplicação a doentes que não beneficiam.

MAS...

Nem todos os doentes reúnem
os critérios de inclusão

PROCEDIMENTOS “PARALELOS”

- A meio caminho entre o ensaio e o tratamento por um medicamento aprovado.
- Contribuem pouco para o conhecimento da eficácia (permitem completar conhecimentos sobre a toxicidade).
- Exigem controlo rigoroso da dispensa.
- Podem retardar o desenvolvimento de um ensaio controlado.

Ultrapassado?

O tempo em que nenhuma
terapêutica era satisfatória.

Ainda se justifica?

- Pretender o acesso a todo e qualquer produto, a qualquer custo.
- ACT UP:
 - *“o ensaio de um medicamento também é tratamento”*

Lei 46/2004

Artº 39º

.....

2 - Após a conclusão do ensaio, o medicamento experimental deve, até à sua introdução no mercado, ser disponibilizado gratuitamente pelo promotor ao participante, desde que o investigador considere indispensável a continuação da sua utilização pelo mesmo e não existam alternativas terapêuticas.

Lei 46/2004

Artº 39º

...

3 - Para efeitos do disposto no número anterior, deve o investigador:

- a) Obter o consentimento livre e esclarecido do participante ou do seu representante legal;
- b) Apresentar relatório clínico justificativo da necessidade de continuação do tratamento;
- c) Comunicar ao INFARMED, no prazo mais curto possível, a continuação da administração do medicamento em causa;
- d) Informar o responsável pela unidade de saúde da continuação da administração do medicamento;
- e) Notificar ao INFARMED os acontecimentos adversos que ocorram no decurso da administração do medicamento.