

O PROCESSO DE DESENVOLVIMENTO DE MEDICAMENTOS ORFÃOS (MO)



1 INVESTIGAÇÃO INICIAL

Centra-se na identificação de alvo/s numa doença rara específica

- Selecção e optimização de moléculas candidatas com base em alvos celulares ou bioquímicos - Triagem de alta rentabilidade (HTS)
- Identificação do gene ou proteína que origina a doença
- Sequenciação do genoma
- Novas indicações de medicamentos existentes



2 ENSAIOS PRÉ-CLÍNICOS

Centram-se na análise de eficácia de moléculas candidatas, limites de doses, toxicidade e reações fora do alvo

- Testes in vitro, células isoladas
- Testes in vivo, em modelos animais
- Investigação da nova aplicação do fármaco

Pedido de autorização para ensaios clínicos às agências reguladoras do medicamento (EMA e FDA)



4 ENSAIOS CLÍNICOS

Os ensaios clínicos são conduzidos em quatro fases diferentes, servindo cada fase um objectivo específico para os investigadores:



3 ESTUDOS OBSERVACIONAIS

- Observação de características físicas e exames para conhecer a história natural da doença rara
- Podem durar vários anos e envolver centenas de participantes



FASE INICIAL: 1 ANO

FASE I

1 ano

1. Avaliação da segurança do fármaco
2. Molécula seleccionada passa a chamar-se fármaco
3. Primeiros testes num grupo limitado de pessoas voluntárias, adultas e saudáveis
4. Avaliação farmacocinética (como o corpo reage ao fármaco)
5. Estudo de intervalos de doses seguras
6. Registo de efeitos secundários e/ou adversos



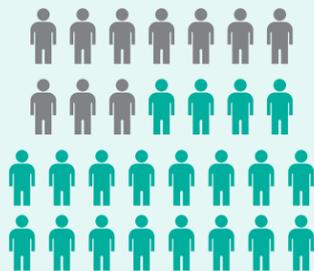
Apenas 1 em cada 10 moléculas nesta fase completa todo o percurso.

FASE TARDIA: 3-7 ANOS

FASE II

1 a 3 anos

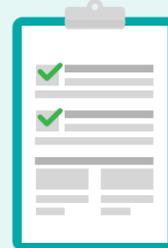
1. Fármaco testado pela primeira vez num grupo limitado de pessoas com a doença rara (30-60)
2. Estudo e avaliação de segurança e farmacocinética
3. Avaliação de dados



FASE III

2 a 4 anos

1. Confirmação da eficácia e segurança do fármaco num grupo maior de pessoas com a doença rara (100-200)
2. Ensaio multicentro: dezenas de hospitais envolvidos em todo o mundo
3. Recolha de informações de segurança
4. Possível criação de grupos adicionais de estudo com idades diferentes



FASE IV

AAM: Autorização de Acesso ao Mercado

1. Recolha de informações adicionais e apresentação dos resultados dos estudos
2. Recolha e apresentação de dados sobre a eficácia a longo prazo e impacto na qualidade de vida
3. Requisição de aprovação de acesso ao mercado baseada em resultados clínicos



O fármaco é aprovado pela EMA/FDA como MO. Segue-se o processo de decisão e reembolso (1-2 anos) pela Agência Nacional do Medicamento, em Portugal é o Infarmed. Após aprovação, o MO fica disponível para administração em pessoas com a doença rara.