28 de fevereiro de 2020,

Caros membros da comunidade AME,

Dando sequência a sua recente solicitação a respeito de maiores informações sobre eventual programa de uso compassivo da Roche para a medicação experimental risdiplam, gostaríamos de notificar o seguinte:

Embora tenham ocorrido importantes avanços no tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) nos últimos anos, reconhecemos haver ainda várias necessidades médicas não atendidas para a comunidade e pacientes que vivenciam condições graves e que podem não ter acesso a um tratamento satisfatório ou aos estudos clínicos em andamento.

Como consequência dessa necessidade, temos o prazer de informar que a Roche iniciou um programa global de uso compassivo para risdiplam em países onde as leis e regulamentações aplicáveis permitem tais programas e que atendam aos critérios baseados na política da empresa. O programa de uso compassivo permite que os pacientes que enfrentam as necessidades médicas mais urgentes e não têm outras opções de tratamento possam ter acesso às nossas terapias experimentais antes que as mesmas recebam aprovação regulatória.

Naqueles países onde o programa de uso compassivo já está em curso ou será implementado, a Roche atualmente disponibiliza a pacientes com a necessidade médica mais urgente, AME Tipo 1, a oportunidade de acesso ao risdiplam com base na decisão do médico assistente. No caso específico do Brasil, o programa de uso compassivo de risdiplam para pacientes com AME tipo 1 foi desenhado de acordo com as nossas possibilidades regulatórias e legislativas, e atualmente encontra-se aberto para inclusão de um número limitado de pacientes. Cientes de que os pacientes com outros tipos de AME também enfrentam situações de risco de vida, o programa eventualmente será expandido para pacientes com AME tipo 2 quando a apresentação do pedido de registro desta indicação de risdiplam for apresentada à autoridade regulatória de cada país.

É importante destacar que o programa de uso compassivo para medicamentos em investigação deve sempre estar de acordo com as normas aplicáveis, incluindo as leis e regulamentos específicos de cada país, ou seja, variações locais para o programa poderão ocorrer. Recomendamos que as pessoas interessadas em acessar o risdiplam via uso compassivo discutam suas opções com seu médico assistente. A decisão de se candidatar ao programa deve ser feita pelo médico assistente. Caso o programa de uso compassivo para risdiplam seja por este considerado a melhor indicação para o paciente, as solicitações devem ser enviadas pelo médico à filial local da Roche.

Alcançar o acesso amplo e sustentável através da aprovação regulatória e integral cobertura é a nossa prioridade. Neste sentido, estamos colaborando com as autoridades de saúde, agências governamentais e outras partes interessadas em todo o mundo com o objetivo de disponibilizar risdiplam a todos os pacientes que possam se beneficiar do tratamento o mais rápido possível.

Antecipamos os nossos agradecimentos por sua colaboração e seguimos à disposição para fornecer maiores informações sobre nossos programas.

Atenciosamente,

Roche Produtos Químicos e Farmacêuticos