



n. 54

publicado em maio/2017

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

informações sobre recomendações de incorporação
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

*LARONIDASE COMO TERAPIA DE
REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA NA
MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO I*



RELATÓRIO PARA A SOCIEDADE

Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC e foi elaborado numa linguagem simples, de fácil compreensão, para estimular a participação da sociedade no processo de avaliação de tecnologias em saúde que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

Todas as recomendações da CONITEC são submetidas à consulta pública pelo prazo de 20 dias. Após analisar as contribuições recebidas na consulta pública, a CONITEC emite a recomendação final, que pode ser a favor ou contra a incorporação/exclusão/alteração da tecnologia analisada.

A recomendação da CONITEC é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a CONITEC, acesse <conitec.gov.br>

Mucopolissacaridose tipo I

A mucopolissacaridose tipo I (MPS I) é uma doença hereditária rara, crônica e progressiva, que resulta de defeitos na função dos lisossomos, causada pela deficiência da atividade de uma enzima chamada alfa-L-iduronidase. Os pacientes apresentam comprometimento dos sistemas respiratório, nervoso, musculoesquelético, gastrointestinal (fígado e baço), cardiovascular, dentre outros. A sua incidência mundial é bastante variável, sendo estimada entre 0,69 e 1,66 casos a cada 100.000 nascimentos. Está associada a três formas clássicas, que diferem entre si com base na presença de comprometimento neurológico, na velocidade de progressão da doença e na gravidade do acometimento dos órgãos-alvo:

- Forma grave (Síndrome de Hurler): os pacientes costumam ser diagnosticados até os dois anos de idade, apresentam atraso de desenvolvimento cognitivo (aprendizagem) entre os 14 e 24 meses e estatura máxima de 1,10m. A história clínica é dominada por problemas respiratórios: a maioria das crianças apresenta história de infecção de vias aéreas, otite média recorrente (infecção do ouvido) e rinorreia (nariz escorrendo). É o tipo mais grave da MPS I, envolvendo ainda características faciais toscas, hepatoesplenomegalia (aumento do tamanho do fígado e do baço), valvulopatia cardíaca (doença que atinge as válvulas cardíacas), opacidade de córnea e manifestações musculoesqueléticas, como rigidez, contraturas e disostose múltipla (malformação congênita dos ossos). O óbito ocorre geralmente durante a primeira década de vida, por insuficiência cardíaca ou respiratória;
- Forma intermediária ou moderada (Síndrome de Hurler-Scheie): esses pacientes costumam apresentar sinais clínicos da doença entre os três e oito anos de idade. A baixa estatura final é importante. Quase todos apresentam inteligência normal e a sobrevivência até a idade adulta é comum;
- Forma atenuada (Síndrome de Scheie): os sintomas desses pacientes costumam iniciar entre os 05 e 15 anos de idade e progridem de forma lenta. O curso clínico é dominado por problemas ortopédicos e a altura final é normal ou quase normal, assim como o tempo de vida, que pode ser reduzido devido à doença cardíaca.

Como o SUS trata os pacientes com mucopolissacaridose tipo I

Não existe tratamento curativo para a MPS I. Não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde para a doença. O manejo clínico dos pacientes envolve equipe multidisciplinar e inclui intervenções para minimizar a deficiência enzimática, como transplante de células hematopoiéticas (TCTH) e terapia de reposição enzimática (TRE), conduzida com laronidase, enzima produzida por tecnologia de DNA recombinante (não disponível no SUS atualmente).



Medicamento analisado: laronidase

A empresa GENZYME DO BRASIL LTDA® solicitou à CONITEC a inclusão no SUS da laronidase para reposição enzimática na mucopolissacaridose tipo I. A laronidase é um medicamento para aplicação intravenosa com indicação aprovada pela ANVISA para pacientes com as formas Hurler e Hurler-Scheie da doença mucopolissacaridose I (MPS I) e para pacientes com a forma Scheie que apresentam sintomas de moderados a graves.

A CONITEC analisou os estudos sobre o medicamento. Treze estudos foram considerados no relatório técnico de recomendação, sendo nove ensaios clínicos controlados e randomizados e quatro revisões sistemáticas. Os quatro desfechos avaliados considerados de maior relevância foram: capacidade de flexão do ombro (reflete um efeito positivo nas doenças osteoarticulares), qualidade de vida, manifestações cardiológicas e doença ocular. O tratamento com laronidase mostrou benefício clinicamente significativo para o primeiro desfecho flexão do ombro. Para os outros desfechos avaliados, não foi possível determinar a existência de benefício.

O uso de laronidase foi considerado seguro, não se relatando efeitos indesejados importantes que pudessem comprometer o tratamento. Mas tão importante quanto a inclusão de laronidase ao SUS, é a recomendação de que sejam implementadas políticas de saúde e educacionais no Brasil, que permitam o diagnóstico precoce desses pacientes, a fim de possibilitar a realização de TCTH quando indicado, o início precoce da TRE, e o aconselhamento genético. Da mesma forma, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para a Doença deve estabelecer de forma clara os critérios para início e interrupção do tratamento.

Recomendação inicial da CONITEC

Na 55ª reunião ordinária, realizada no dia 04 de maio de 2017, o plenário da CONITEC recomendou preliminarmente a incorporação no SUS da laronidase para reposição enzimática em pacientes com mucopolissacaridose tipo I.

O assunto está agora em consulta pública para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema. Para participar, preencha o formulário eletrônico disponível em < <http://conitec.gov.br/index.php/consultas-publicas> >

O relatório técnico completo de recomendação da CONITEC está disponível em:

< http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2017/Relatorio_Laronidase_MucopolissacaridoseI_CP23_2017.pdf >



<http://conitec.gov.br> twitter: @conitec_gov app: conitec

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS