



n. 109

publicado em novembro/2018

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*SAPROPTERINA PARA O TRATAMENTO
DA FENILCETONÚRIA*



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>

Fenilcetonúria

A fenilcetonúria (FNC) é uma doença genética rara, caracterizada por defeito da enzima fenilalanina hidroxilase (PAH), que é uma enzima do corpo responsável em metabolizar um aminoácido importante e obtido por meio da alimentação, a fenilalanina (FAL). A doença atinge homens e mulheres na mesma proporção, sendo classificada em clássica, leve ou hiperfenilalaninemia (HFA) não-FNC. A doença quando não tratada é caracterizada pelo atraso do desenvolvimento neuropsicomotor (atraso do desenvolvimento do sistema nervoso, do aspecto psicológico e do desenvolvimento e da coordenação motora), retardo mental e crises convulsivas, devido ao acúmulo dos níveis de fenilalanina no corpo.

O diagnóstico deve ser feito no período neonatal. O Estatuto da Criança e do Adolescente (ECA), de 1990, determinou que hospitais e outros estabelecimentos de atenção à saúde façam exames que visem o diagnóstico e terapia de anormalidades no metabolismo do recém-nascido (RN), como também a orientação dos pais. Em 2001, foi criado e implantado o Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) e a triagem para FNC faz parte do programa desde seu início.

A prevalência de FNC varia de acordo com a população analisada, sendo influenciada por fatores genéticos e pela eficácia dos programas de triagem neonatal.

Como o SUS atua no controle e tratamento de fenilcetonúria

O principal tratamento consiste em dieta restrita em fenilalanina e uso de fórmula metabólica rica em aminoácidos, vitaminas e minerais e isenta de fenilalanina. O objetivo da terapia nutricional é deixar os níveis de fenilalanina no sangue dentro dos níveis adequados, evitando o desenvolvimento do quadro clínico ou o agravamento dos sintomas, devendo ter início imediatamente após o diagnóstico e ser realizada por toda a vida.

Tecnologia analisada: sapropterina

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, solicitou à CONITEC a incorporação de sapropterina para tratamento de fenilcetonúria. A sapropterina é uma cópia sintética da tetrahydrobiopterina (BH4). A BH4 é uma substância produzida pelo organismo que atua no metabolismo da fenilalanina gerando um aminoácido chamado tirosina. Esse medicamento diminui os níveis de fenilalanina elevados no sangue. Observou-se que cerca de 30% dos pacientes respondem ao uso da sapropterina, podendo assim, obter benefícios com o seu uso na redução dos níveis sanguíneos de fenilalanina, permitindo o melhor controle da doença.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante buscando comparar se o uso de dicloridrato de sapropterina, isolado ou associado à dieta e uso de fórmula metabólica é eficaz e seguro quando comparado ao uso de dieta e fórmula metabólica em pacientes com FNC. Nos estudos avaliados, constatou-se dificuldade na avaliação conjunta dos resultados, contudo, na análise individual, observou-se que nos pacientes responsivos à sapropterina houve uma redução importante nas concentrações sanguíneas de FAL. Por conta da diversidade dos estudos avaliados, considerou-se tratar-se de uma recomendação fraca a favor da inclusão da sapropterina no SUS.

O impacto orçamentário calculado para o tratamento levando em consideração o custo anual das intervenções e a projeção do número de pacientes por intervenção, a incorporação da sapropterina geraria um impacto orçamentário incremental de aproximadamente R\$ 79,3 milhões em 2019 e R\$ 299,7 milhões após 5 anos.



Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do Plenário da CONITEC, presentes na 69ª reunião ordinária realizada em 02 de agosto de 2018, diante das informações adicionais apresentadas, consideraram que, apesar da população-alvo da atual proposta estar restrita aos pacientes com FCN clássica e leve, não foram apresentadas novas e robustas evidências, além do alto custo que a tecnologia representa frente ao benefício esperado.

Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente, pela não incorporação no SUS da sapropterina para fenilcetonúria.

A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 21 dias.

Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública entre os dias 21 de agosto e 10 de setembro de 2018. Foram recebidas 919 contribuições, sendo 63 técnico-científicas e 856 sobre experiência ou opinião. Os principais argumentos são sobre melhora na qualidade de vida, tais como a diminuição dos sintomas, a melhora da dieta e boa tolerância ao medicamento. A empresa fabricante informou que irá negociar o preço do medicamento. Desse modo, o plenário da CONITEC alterou a recomendação inicial.

Recomendação final da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 72ª reunião ordinária, realizada nos dias 7 e 8 de novembro de 2018, recomendaram a inclusão (incorporação) no SUS do dicloridrato de sapropterina para o tratamento de mulheres com fenilcetonúria, com teste de responsividade positivo ao medicamento, e que estejam no período pré-concepcional ou em período gestacional.

Decisão final

Com base na recomendação da CONITEC, o Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela incorporação do dicloridrato de sapropterina no tratamento da fenilcetonúria mediante negociação de preço e conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

O relatório técnico completo de recomendação da CONITEC está disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Relatorio_Sapropterina_Fenilcetonuria.pdf.



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

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS