



n. 114

publicado em dezembro/2018

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*ALFAELOSULFASE PARA O TRATAMENTO
DA MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO IVA
(SÍNDROME DE MORQUIO A)*



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 IVa (Síndrome de Morquio A)

Mucopolissacaridose ou MPS é o termo utilizado para denominar um grupo de doenças raras e hereditárias caracterizada por falta ou deficiência de enzimas (proteínas que auxiliam as reações químicas que acontecem no organismo) importantes na digestão de determinados tipos de açúcares no organismo (os mucopolissacarídeos). Por conta dessa deficiência, as pessoas com a doença apresentam alguns distúrbios no funcionamento de seus órgãos, podendo apresentar diferentes graus de comprometimento de sua saúde. A síndrome de Morquio apresenta-se com algumas variações clínicas, que inclui formas graves com rápida progressão a formas leves com o diagnóstico apenas na fase adulta. São características da doença as deformidades ósseas, aumento do tamanho da cabeça maior que o esperado para a idade, baixa estatura, lábios e gengivas espessados, rigidez das articulações e frequentes infecções respiratórias. A doença é muito rara, estima-se que no Brasil existam 183 pacientes com este diagnóstico.

Como o SUS trata os pacientes com Síndrome de Mórquio A

Não existe tratamento curativo para MPS tipo IVa. Até o momento, o SUS oferece tratamentos para os sintomas da doença, por meio de procedimentos previstos na Política Nacional de Atenção às Pessoas com Doenças Raras. O manejo clínico dos pacientes envolve equipe multidisciplinar com atividades como fisioterapia e fonoaudiologia, uso de medicamentos sintomáticos, intervenções cirúrgicas e específicas de acordo com o caso.

Medicamento analisado: alfaelosulfase

A empresa BioMarin Brasil Farmacêutica solicitou à CONITEC a inclusão no SUS do alfaelosulfase para o tratamento de pacientes com mucopolissacaridose IVa ou (síndrome de Morquio A).

A alfaelosulfase é um medicamento de uso intravenoso capaz de atuar substituindo a função da enzima deficiente nas pessoas com MPS IVa e tem se mostrado como uma alternativa de tratamento. O medicamento possui registro na ANVISA.

A CONITEC analisou os estudos sobre o medicamento e considerou que a evidência apresentada pelo demandante sobre o benefício da alfaelosulfase é bastante frágil, não permitindo embasar de forma consistente as vantagens reais da utilização desta tecnologia. No único estudo avaliado para o medicamento, as características dos pacientes nos grupos estudados (com e sem o medicamento) tinham diferenças importantes, o que dificulta a avaliação dos resultados e da possível melhoria na qualidade de vida que o tratamento possa oferecer.

Em relação à avaliação dos custos relacionados à incorporação, observou-se que, a população estimada nos cálculos apresentados parecia menor do que o número real de pacientes a serem tratados. Mesmo com essa estimativa inferior, a análise apontou um custo significativo para a inclusão da alfaelosulfase no SUS.

Recomendação inicial da CONITEC

Na 70ª reunião ordinária, realizada no dia 29 de agosto de 2018, o Plenário da CONITEC considerando as limitações das evidências científicas e da avaliação de custos recomendou inicialmente a não inclusão no SUS da alfaelosulfase em pacientes com Mucopolissacaridose IVa (ou síndrome de Morquio A).



A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 20 dias.

Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública, realizada entre os dias 11 e 30 de outubro de 2018. Foram recebidas 1.331 contribuições, sendo 114 técnico-científicas e 1.217 contribuições sobre experiência ou opinião. A grande maioria das participações, de ambos os tipos, se posicionou de forma contrária à recomendação inicial da CONITEC. Os principais argumentos utilizados se relacionavam experiências positivas com o medicamento, sua eficácia e melhora da qualidade de vida dos pacientes.

As duas únicas contribuições favoráveis à recomendação inicial da CONITEC que não preencheram o formulário de forma errônea consideraram que o medicamento não é custo-efetivo, que sua incorporação pode interferir nos esforços de busca por uma nova terapia mais eficaz e custo-efetiva, realmente melhorando a qualidade de vida dos pacientes, e que a tecnologia poderia ser incorporada apenas se fossem estabelecidos mais critérios para esta. Além disso, o fabricante, também demandante da proposta, fez diversos comentários nos quais salientou a importância da incorporação do medicamento, fez sugestões de alteração do texto do relatório e apresentou uma nova proposta de preço. Desse modo, o plenário da CONITEC entendeu que houve argumentação suficiente para alterar sua recomendação inicial.

Recomendação final da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 73ª reunião ordinária, realizada nos dias 05 e 06 de dezembro de 2018, recomendaram a inclusão (incorporação) no SUS da alfaelosulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A), mediante os seguintes condicionantes:

- 1 - protocolo de uso da alfaelosulfase estabelecido pelo Ministério da Saúde;
- 2 - atendimento e tratamento restritos a hospitais que integrem a Rede Nacional de Pesquisa Clínica;
- 3 - registro dos dados clínicos e farmacêuticos em sistema nacional informático do SUS;
- 4 - uso ad experimentum (reavaliação em 3 anos);
- 5 - laudo próprio para dispensação do medicamento;
- 6 - fornecimento aos respectivos hospitais; e
- 7 - negociação para redução significativa de preço.

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 da alfaelosulfase para pacientes com mucopolissacaridose tipo IVa (MPS IVa; síndrome de Morquio A), no âmbito do SUS, mediante os seguintes condicionantes:

- 1 - protocolo de uso da alfaelosulfase estabelecido pelo Ministério da Saúde;
- 2 - atendimento e tratamento restritos a hospitais que integrem a Rede Nacional de Pesquisa Clínica;
- 3 - registro dos dados clínicos e farmacêuticos em sistema nacional informático do SUS;
- 4 - uso ad experimentum (reavaliação em 3 anos);



- 5 - laudo próprio para dispensação do medicamento;
- 6 - fornecimento aos respectivos hospitais; e
- 7 - negociação para redução significativa de preço.

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



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

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS