



n. 100

publicado em julho/2018

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*FÓRMULA METABÓLICA ISENTA
DE METIONINA PARA
HOMOCISTINÚRIA CLÁSSICA*



RELATÓRIO PARA 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>

Homocistinúria Clássica (HCU)

A HCU é uma doença causada por uma alteração genética que leva a um erro na transformação de um aminoácido chamado metionina (presente nas proteínas de alimentos consumidos), levando a um acúmulo tóxico desse aminoácido e de seus derivados no organismo, entre eles, a homocisteína.

Trata-se de uma doença de caráter hereditário (transmitida de pai para filho) e de curso lento e progressivo, que afeta todos os sistemas do corpo e cujas primeiras manifestações surgem nas crianças ainda pequenas, com manifestações clínicas inespecíficas como atraso de crescimento e do desenvolvimento neuropsicomotor. Sem diagnóstico e tratamento precoce, o paciente com HCU pode apresentar problemas de visão, escoliose (deformação na coluna), redução da densidade mineral dos ossos (DMO), tromboembolismo, acidentes vasculares cerebrais, retardo mental, manifestações psiquiátricas, entre outras.

No Brasil, existem pelo menos 80 pacientes diagnosticados, e o subdiagnóstico ou diagnóstico tardio acontecem com frequência, uma vez que a doença não está inclusa no Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN).

Como o SUS atua no tratamento da Homocistinúria Clássica

A HCU pode ser classificada em três formas: responsiva, não-responsiva e com resposta intermediária à piridoxina (vitamina B6). O tratamento recomendado para pacientes responsivos é o uso de piridoxina 10 mg/Kg/dia, evitando-se dose acima de 500 mg/dia. Para os pacientes não responsivos, não há evidência científica suficiente sobre o benefício do uso a longo prazo. Todos os pacientes que apresentam deficiência metabólica da enzima cistationina β -sintase (CBS), devem receber suplementação de ácido fólico e vitamina B12.

O tratamento dietético deve ser considerado para os pacientes que não atingiram níveis ideais de homocisteína, com a suplementação de piridoxina. A dieta pode ser usada como único tratamento ou como terapia adjuvante juntamente com a piridoxina e/ou betaína (substância que auxilia na absorção de proteínas, cálcio, vitamina B12 e ferro).



Tecnologia analisada: Fórmula metabólica isenta em metionina

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE), solicitou à CONITEC a incorporação de fórmula metabólica isenta em metionina para homocistinúria clássica. A fórmula metabólica isenta em metionina (FMIM), costuma ser usada em pacientes não responsivos à piridoxina a fim de suprir as necessidades metabólicas evitando o acúmulo de homocisteína.

De acordo com a Resolução da Diretoria Colegiada da ANVISA (RDC) Nº 27, de 6 de agosto de 2010, que dispõe sobre as categorias de alimentos e embalagens isentos e com obrigatoriedade de registro sanitário, as fórmulas isentas de metionina são isentas de registro. A quantidade de FMIM a ser utilizada varia conforme o peso do paciente e sua dieta, além de ser variável conforme a fórmula utilizada.

Os estudos selecionados para compor este relatório apresentam várias limitações, quanto ao delineamento e ao pequeno número de participantes. Foram encontrados apenas 3 estudos de observação de pacientes em uso da FMIM, que avaliaram alguns indicadores de controle da doença. Não foram avaliados estudos que demonstrassem o uso da FMIM e o aumento de sobrevida e qualidade de vida em pacientes com HCU. Quanto à segurança, não foram identificados efeitos indesejados com o uso da FMIM.

Em relação aos custos com a inclusão desse medicamento no SUS e considerando os dados obtidos na avaliação econômica, a principal limitação dessa avaliação é a incerteza quanto à população elegível ao tratamento devido à falta de dados publicados no Brasil. Essa incerteza reflete a grande amplitude nos gastos estimados para os cenários avaliados.

Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 67ª reunião ordinária, realizada em 14 de junho de 2018, consideraram a dificuldade no diagnóstico, as fragilidades encontradas nas evidências disponíveis e a ausência de dados para os desfechos considerados clinicamente relevantes como limitações para a tomada de decisão. De forma que ainda permanecem incertezas em relação à efetividade da fórmula no retardo da progressão da doença.

Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente, por unanimidade a não incorporação no SUS da fórmula metabólica isenta de metionina para homocistinúria clássica no SUS.

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/consultas-publicas> >

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

< http://conitec.gov.br/images/Consultas/2018/Relatorio_FormulaMetabolicalsentametionina_Homocistinuria_CP36_2018.pdf >



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

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS