



n. 109

publicado em agosto/2018

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*SAPROPTERINA PARA O TRATAMENTO DA
FENILCETONÚRIA*



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>

Fenilcetonúria

A fenilcetonúria (FNC) é uma doença caracterizada por defeito da enzima fenilalanina hidroxilase (PAH), enzima do corpo responsável em metabolizar um aminoácido importante para o corpo e obtido através da alimentação, a fenilalanina (FAL). A FNC atinge homens e mulheres na mesma proporção, sendo classificada em FNC clássica, FNC leve ou hiperfenilalaninemia (HFA) não-FNC. A doença quando não tratada caracteriza-se por atraso do desenvolvimento neuropsicomotor, retardo mental e crises convulsivas, devido ao acúmulo dos níveis de fenilalanina no corpo.

O diagnóstico de FNC 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 neste aminoácido. O objetivo da terapia nutricional é deixar os níveis de fenilalanina no sangue dentro dos níveis terapêuticos, evitando o desenvolvimento do quadro clínico ou o agravamento das manifestações clínicas, 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 a forma sintética da tetrahydrobiopterina (BH4), um cofator produzido pelo corpo que atua no metabolismo da fenilalanina de forma auxiliar. Observa-se que cerca de 30% dos pacientes com FNC respondem ao uso da sapropterina, podendo assim, obter benefícios com o seu uso na redução dos níveis sanguíneos de fenilalanina, permitindo um 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 (FCN).

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/Relatorios/2018/Relatorio_Sapropterina_Fenilcetonuria_CP43_2018.pdf >



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

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS