



n. 116

publicado em dezembro/2018

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*GALSUFASE PARA O TRATAMENTO DE  
PACIENTES COM MUCOPOLISSACARIDOSE  
TIPO VI (SÍNDROME DE MAROTEAUX-LAMY)*



# 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](http://conitec.gov.br)>

# Mucopolissacaridose tipo VI (Síndrome de Maroteaux-Lamy)

Mucopolissacaridose (MPS) é uma doença rara e hereditária caracterizada por falta ou deficiência de enzimas (proteínas que auxiliam as reações químicas que ocorrem 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. Na MPS VI, os casos mais graves costumam desenvolver baixa estatura, alterações faciais, problemas nos ossos ou articulações, pressão sobre a coluna, mal funcionamento do pulmão e do coração, alterações nos olhos, infecções respiratórias e nos ouvidos constantes, a doença pode ainda levar à óbito, geralmente por problemas no coração e no pulmão.

## Como o SUS atua no controle e tratamento da mucopolissacaridose tipo VI

Não existe tratamento curativo para a MPS VI. 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.

## Tecnologia analisada: galsufase

A BioMarin Brasil Farmacêutica solicitou à CONITEC a incorporação da galsufase como tratamento para mucopolissacaridose tipo VI. O medicamento galsufase é de uso intravenoso, capaz de atuar substituindo a função da enzima deficiente nas pessoas com a doença. Por isso, tem se mostrado como uma alternativa de tratamento para MPS VI. O medicamento possui registro na ANVISA e é o único disponível no Brasil para esta condição.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante que avaliavam as evidências científicas sobre eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário da galsufase. Foi avaliado um estudo do tipo ensaio clínico de fase III, que avaliou 39 indivíduos, com MPS VI, divididos em dois grupos, um utilizando a galsufase e outro sem o medicamento, sendo que todos os participantes apresentaram idade superior a 7 anos. No estudo foi demonstrado algum ganho com o uso da galsufase em relação à capacidade em percorrer certa distância (teste de caminhada), entretanto, não houveram diferenças importantes nos resultados que avaliaram testes pulmonares, de dor, inchaço ou movimento das articulações, o nível de energia física ou a capacidade de realização de atividade monitorada.

Com a análise, concluiu-se que o estudo apresentou algumas limitações na seleção dos pacientes, pois o processo de escolha destes não foi bem descrito, e havia muita diversidade entre o grupo que utilizou o medicamento em relação ao que não fez o uso. O principal resultado da pesquisa, o teste da caminhada, estava abaixo do valor considerado como significativo, de acordo com a referência do próprio estudo.

Em relação aos custos com a incorporação do medicamento galsufase no SUS, o impacto orçamentário seria inicialmente de R\$ 255 milhões, sendo que, após 5 anos o valor seria reduzido em R\$ 121 milhões. A principal limitação da pesquisa é o pressuposto de que o medicamento aumentaria o tempo de vida para a pessoa doente, entretanto, não há estudos



suficientes para comprovar esta afirmação, e este fato pode aumentar os valores apresentados em todas as análises econômicas, gerando assim uma maior incerteza sobre qual seria o impacto orçamentário desta incorporação.

## Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do Plenário da CONITEC, presentes na 70ª reunião ordinária, realizada em 29 de agosto de 2018, consideraram que o demandante apresentou apenas um único estudo, e que este apresentou alguns erros durante a sua execução, tornando-se difícil afirmar que o medicamento é capaz de melhorar o estado clínico do paciente. Além disso, não foram apresentadas evidências que apontem um maior tempo de vida para aqueles que utilizaram a galsulfase, além das limitações na análise econômica apresentada.

Sendo assim, o Plenário da CONITEC recomendou inicialmente pela não incorporação no SUS da galsulfase como tratamento para a Mucopolissacaridose Tipo VI.

A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 20 dias.

## Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública, entre os dias 05 e 24 de outubro de 2018. Foram recebidas 1.266 contribuições, sendo 128 técnico-científicas e 1.138 sobre experiência ou opinião. A maioria das participações se posicionou de forma contrária à recomendação inicial da CONITEC. Os principais argumentos utilizados se relacionavam a efetividade do medicamento, a ausência de alternativa terapêutica disponível e a melhoria da qualidade de vida do paciente. As contribuições que abordaram a avaliação econômica, citaram principalmente as particularidades das doenças raras, a possível redução do custo de complicações e hospitalizações, e as críticas à análise de custo-efetividade apresentadas no relatório técnico. Além disso, a empresa fabricante encaminhou nova proposta de preço para incorporação da tecnologia, juntamente com nova versão do impacto orçamentário. 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 galsulfase para a terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose tipo VI (deficiência de N-acetilgalactosamina 4-sulfatase), mediante os seguintes condicionantes:

- 1 - protocolo de uso da galsulfase 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 galsulfase para a terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de mucopolissacaridose tipo VI (deficiência de N-acetilgalactosamina 4-sulfa), no âmbito do SUS, mediante os seguintes condicionantes:

- 1 - protocolo de uso da galsulfase 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\\_Galsulfase\\_MPS\\_VI.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Relatorio_Galsulfase_MPS_VI.pdf).



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

**CONITEC** Comissão Nacional de  
Incorporação de  
Tecnologias no SUS