



n. 77

publicado em agosto/2018

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*EVOLUCUMABE PARA TRATAMENTO
DA HIPERCOLESTEROLEMIA
FAMILIAR HOMOZIGÓTICA*



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>

Hipercolesterolemia Familiar Homozigótica

A Hipercolesterolemia Familiar Homozigótica (HFHo) é uma doença genética e rara que tem como principal característica a presença de níveis muito elevados de colesterol no organismo. O colesterol é um tipo de gordura encontrada no organismo e importante para o seu funcionamento normal, presente nas células e órgãos do corpo, hormônios e ácidos biliares produzidos no fígado. A principal consequência da doença é o desenvolvimento de eventos cardiovasculares (infarto, derrame cerebral, insuficiência cardíaca e doença coronariana) em pessoas jovens, podendo levar à morte. Este tipo de hipercolesterolemia é chamada de homozigótica porque a alteração genética adquirida é herdada de ambos os pais.

O diagnóstico se dá por meio da avaliação de sintomas físicos, história familiar e resultados de exames. Os sinais podem ser diferentes em cada pessoa, e podem incluir manchas ou caroços amarelados na pele (xantomas), dor no peito, falta de ar e cansaço, sendo que algumas pessoas não apresentam nenhum sintoma físico. As pessoas com HFHo podem ter dificuldade em reduzir os níveis elevados de colesterol mesmo com o uso correto dos medicamentos.

Como o SUS trata os pacientes com Hipercolesterolemia familiar homozigótica

O Ministério da Saúde tem uma diretriz clínica que orienta o cuidado de pacientes com hiperlipidemia familiar, mas não faz diferenciação entre pacientes que tem o colesterol elevado por condições diversas e aqueles com hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo). O tratamento recomendado pelo Ministério da Saúde através do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da dislipidemia é com medicamentos da classe das estatinas, porém não há previsão nesta diretriz em caso de falha a esse tratamento. Além de estatinas, a depender dos níveis de colesterol, pode-se considerar o uso de outros medicamentos, como fibratos e/ou ácido nicotínico. Pelo elevado risco de eventos cardiovasculares, os pacientes com HFHo devem ser acompanhados também na atenção especializada.

Medicamento analisado: evolucumabe

A empresa Amgen Biotecnologia do Brasil Ltda.® solicitou à CONITEC a incorporação do evolucumabe para o tratamento de hipercolesterolemia familiar homozigótica. O evolucumabe é um medicamento que atua de forma diversa aos demais medicamentos utilizados na hiperlipidemia, pois atua através da inibição de receptores que promovem a captação do colesterol no corpo, aumentando assim a sua eliminação. Possui aprovação pela ANVISA para esta indicação.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante que avaliavam a eficácia (benefício) e segurança (ocorrência de efeitos indesejáveis) do uso do evolucumabe em pacientes com hipercolesterolemia familiar homozigótica que não tiveram controle adequado do colesterol mesmo após o uso de estatinas de alta potência. A Secretaria Executiva da CONITEC realizou uma busca complementar, a fim de encontrar outros estudos possivelmente relevantes.

Dois artigos foram avaliados. Um deles demonstrou uma redução de cerca de 30% nas taxas de colesterol do tipo LDL em pacientes em uso do evolucumabe. No outro estudo, foi possível verificar somente a segurança do uso do medicamento, que foi considerada satisfatória. A avaliação geral da evidência científica mostra que há limitações importantes, em especial, o fato da população estudada não ser composta somente de pacientes com a doença homozigótica (cerca de metade da amostra em um dos estudos). Também não foram encontradas outras publicações que avaliem efeitos ou resultados de longo prazo, como diminuição do número de mortes, ou da ocorrência de eventos cardiovasculares (infartos, derrames (AVC) e insuficiência cardíaca)



Em relação aos custos com a inclusão desses medicamentos no SUS, trata-se de uma terapia com maior custo para o sistema, considerando os tratamentos já disponíveis no SUS, com estimativa de investimento de R\$ 31,2 milhões em cinco anos.

Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 62ª reunião ordinária, realizada em 07 de dezembro de 2017, consideraram que ainda há desafios para a identificação de pacientes homozigóticos na prática clínica, especialmente pela não realização, em muitos casos, do teste genético que permite o diagnóstico correto. Além disso, a evidência científica é limitada e os dados sobre o número de casos da doença ainda são escassos, o que gera grandes incertezas para se prever custos ao sistema. Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente, por unanimidade, não recomendar a inclusão do evolucumabe para tratamento de hipercolesterolemia familiar homozigótica no SUS.

A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 20 dias.

Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública entre os dias 18 de janeiro e 06 de fevereiro de 2018. Foram recebidas 55 contribuições, sendo 21 técnico-científicas e 34 sobre experiência ou opinião. Os principais argumentos citados nas contribuições foram sobre o contexto, eficácia, indicação, segurança e custos da tecnologia. Além disso a empresa fabricante do medicamento enviou nova proposta de preço. Desse modo, os resultados da consulta pública não alteraram o entendimento do plenário e a recomendação inicial da CONITEC foi mantida.

Recomendação final da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 69ª reunião ordinária, realizada nos dias 01 e 02 de agosto de 2018, recomendaram a não inclusão (incorporação) no SUS do evolucumabe para tratamento de hipercolesterolemia familiar homozigótica.

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 não incorporação do evolucumabe para tratamento de pacientes com hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo), 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/Recomendacao/Relatorio_Evolucumabe_HipercolesterolemiaHomozigoticaFamiliar.pdf.



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

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS