



n. 88

publicado em abril/2018

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*USO DO ROMIPLOSTIM PARA O TRATAMENTO DA  
PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA IDIOPÁTICA (PTI)  
CRÔNICA E REFRATÁRIA EM ALTO RISCO  
DE SANGRAMENTO*



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

## Púrpura trombocitopênica idiopática (PTI)

A púrpura trombocitopênica idiopática, atualmente denominada como trombocitopenia imune primária (PTI), é uma doença autoimune (que ocorre quando o sistema de defesa do corpo ataca seus próprios tecidos e células) e de causa desconhecida. Geralmente benigna (branda e não progressiva), se caracteriza pela destruição elevada das plaquetas (componentes do sangue com importante papel na coagulação deste), o que leva à trombocitopenia (baixas contagens de plaquetas).

A doença é classificada como infantil ou adulta e aguda ou crônica, de acordo com a faixa etária do paciente e tempo de evolução. A PTI possui incidência estimada em 100 casos por um milhão de pessoas por ano, metade ocorrendo em crianças e a outra metade em adultos. Na população adulta a história natural de PTI tende à forma crônica em cerca de 90% dos casos.

O fator característico para o diagnóstico da doença é o sangramento por diminuição das plaquetas, comumente se manifestando como pequenos pontos vermelhos no corpo (petéquias), manchas avermelhadas maiores (equimoses), sangramentos do nariz (epistaxe) e das gengivas (gengivorragia) e aumento excessivo do fluxo menstrual (menorragia). Sangramentos do trato gastrointestinal e geniturinário são pouco frequentes e sangramento no interior do crânio é raro.

O risco de sangramento está ligado à gravidade da trombocitopenia e a outros fatores, tais como: idade, estilo de vida e uremia (elevação de uréia no sangue). Cabe ressaltar que o risco das complicações relacionadas ao tratamento podem ser maiores do que o sangramento em si, assim sugere-se que a intervenção medicamentosa seja reservada aos pacientes com trombocitopenia grave e sintomática.

## Como o SUS trata os pacientes com púrpura trombocitopênica idiopática (PTI)

O Ministério da Saúde definiu a linha de tratamento para os pacientes com PTI no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – PCDT, na seguinte abordagem:

### ***Terapia de primeira linha***

Corticosteroides estão indicados no tratamento inicial de adultos com sangramento grave assintomático ou com sangramentos sem repercussão clínica significativa. E a imunoglobulina humana intravenosa, está indicada para casos de sangramento mucoso com maior repercussão clínica.

### ***Terapia de segunda linha***

Quando o tratamento com corticosteroides e imunoglobulina humana falham, a esplenectomia (procedimento cirúrgico para remoção do baço ou parte dele) é a opção terapêutica de escolha. Ela também é indicada como recurso terapêutico para PTI crônica com necessidade de uso permanente de corticosteroides.

- O baço é o principal órgão responsável pela destruição plaquetária, além de conter cerca de 25% da massa linfóide envolvida na produção dos anticorpos.



**Terapia de terceira linha**

Recomendada para pacientes com PTI resistente, que apresentam sangramento persistente e grave, com necessidade de tratamento medicamentoso frequente e com falha à esplenectomia.

A linha de cuidados inclui tratamento com azatioprina ou ciclofosfamida, devendo realizar a permuta entre esses dois medicamentos, salvo se houver contraindicação. E no caso de falha de ambos os agentes, recomenda-se o tratamento com danazol e vincristina, conforme indicações.

## Medicamento analisado: romiplostim (NPLATE®)

A empresa Amgen Biotecnologia do Brasil Ltda.® solicitou à CONITEC a incorporação do romiplostim para o tratamento de pacientes adultos com PTI crônica, esplenectomizados, refratários aos tratamentos disponíveis e em alto risco de sangramento.

O romiplostim é um medicamento que age imitando no organismo a atuação do hormônio trombopoietina (hormônio glicoproteico produzido pelo fígado e rins que regula a produção de plaquetas pela medula óssea), atuando diretamente na produção de plaquetas pela medula óssea.

A Secretaria-Executiva da CONITEC analisou os estudos apresentados pela fabricante, avaliando as evidências científicas sobre eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário do romiplostim para PTI crônica e refratária em alto risco de sangramento.

Quanto à eficácia e segurança do medicamento na diminuição da incidência e na gravidade dos sangramentos pela PTI nos estudos analisados, não existiu diferença significativa para os eventos hemorrágicos nos pacientes em comparação às alternativas já disponíveis, havendo uma melhora considerável na taxa de resposta plaquetária global. Contudo, não foi possível avaliar se o medicamento ajuda a prolongar a vida, pois nenhum estudo avaliado disponibilizou dados sobre o efeito deste tratamento no aumento de anos de vida do paciente.

Em relação aos estudos de impacto orçamentário e custo efetividade com a inclusão do medicamento no SUS, apesar do demandante argumentar que a inclusão do romiplostim no SUS proporcionará economia de recursos ao SUS, a análise feita pela equipe técnica da CONITEC demonstrou que avaliação econômica apresentada não está adequada a proposta solicitada. Entre outras limitações que o modelo utilizado possui, estão os parâmetros e cálculos realizados para determinar o número de pacientes, nos quais não foram utilizados dados referentes aos pacientes com PTI crônica tratados pelo SUS.



## Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 65ª reunião ordinária, realizada em 04 de abril de 2018, recomendaram inicialmente pela não incorporação do romiplostim para o tratamento da Púrpura Trombocitopênica Idiopática (PTI) crônica em adultos refratários e em alto risco de sangramento no SUS. Considerou-se que, apesar de alguns dos estudos apresentados indicarem que o romiplostim contribuiu para a elevação da contagem de plaquetas, mais estudos de longo prazo são necessários para se obter maior conhecimento sobre os benefícios (eficácia) deste medicamento no tratamento da PTI crônica em relação às alternativas já disponíveis 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/Relatorios/2018/Relatorio\\_Romiplostim\\_Purpura\\_PTI\\_CP18\\_2018.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2018/Relatorio_Romiplostim_Purpura_PTI_CP18_2018.pdf) >



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

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