



n. 93

publicado em maio/2018

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*ELTROMBOPAGUE OLAMINA NO TRATAMENTO DA
PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA IDIOPÁTICA (PTI)*



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>

Púrpura trombocitopênica idiopática

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 idiopáticae

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 é recomendada para pacientes com PTI resistente, que apresentam sangramento persistente e grave, com necessidade de tratamento medicamentoso frequente e com falha à esplenectomia. Inclui tratamento com azatioprina ou ciclofosfamida, devendo-se 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: eltrombopague olamina

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE), solicitou à CONITEC a incorporação de eltrombopague olamina para o tratamento de Púrpura trombocitopênica idiopática (PTI) crônica.

O eltrombopague olamina é um ativador do receptor da trombopoietina (hormônio produzido pelo fígado e rins que regula a produção de plaquetas pela medula óssea). É utilizado para aumentar o número de plaquetas no sangue que ajudam a reduzir ou prevenir sangramentos, interage como o transporte de pequenas moléculas transpondo a barreira física da membrana e inicia a sinalização para a trombopoietina.

Esta interação estimula o aumento e a separação da classe das células da medula óssea que aumenta e mantém o número de plaquetas, reduz sangramentos e diminui a necessidade de outras medicações.

A Secretaria-Executiva da CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante que avaliavam as evidências científicas sobre eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário de eltrombopague olamina para o tratamento de Púrpura trombocitopênica idiopática (PTI) crônica em relação a terapias já disponíveis no SUS (corticoides, imunoglobulina e imunossuppressores azatioprina, ciclofosfamida, danazol e vincristina), sendo selecionados ao final 06 estudos. A análise de sobrevida (tempo de vida a mais após o tratamento) não foi incluída em nenhum estudo. Os resultados avaliados foram a melhora significativa dos eventos de sangramento, a resposta geral no número de plaquetas, a qualidade e duração da resposta, necessidade de terapia de resgate e efeitos adversos.

Os resultados dos estudos não puderam ser avaliados de forma agregada, visto a grande diferença entre os medicamentos comparados e pacientes selecionados, além de outras limitações dos estudos que reduzem a confiança dos resultados. Apesar das evidências científicas mostrarem que houve melhoras laboratoriais, não foi observado o mesmo impacto quanto a melhora da condição clínica. Também foi questionado sobre o efeito quanto ao uso prolongado do medicamento, a sustentabilidade de resposta e o aumento dos efeitos adversos com o tempo, em especial por se tratar de pacientes crônicos.

Em relação aos custos com a inclusão desse medicamento no SUS, considerando os dados obtidos na avaliação econômica e de análise de sensibilidade realizada (a fim de observar quais as consequências da variação em cada parâmetro sobre o resultado final da análise), o impacto orçamentário da incorporação de eltrombopague olamina pode variar de, aproximadamente, R\$ 16 a R\$ 78 milhões no primeiro ano e, de R\$ 179 a R\$ 560 milhões ao longo dos cinco anos após a incorporação no SUS.



Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 66ª reunião ordinária, realizada em 09 de maio de 2018, consideraram que os estudos apresentados apontam que ainda há incertezas quanto a maior eficácia do medicamento em relação às alternativas já disponíveis.

Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente a não inclusão de eltrombopague olamina para o tratamento de Púrpura Trombocitopênica Idiopática (PTI) crônica 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_EltrombopagueOlamina_PTI_CP_27_2018.pdf >



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

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS