



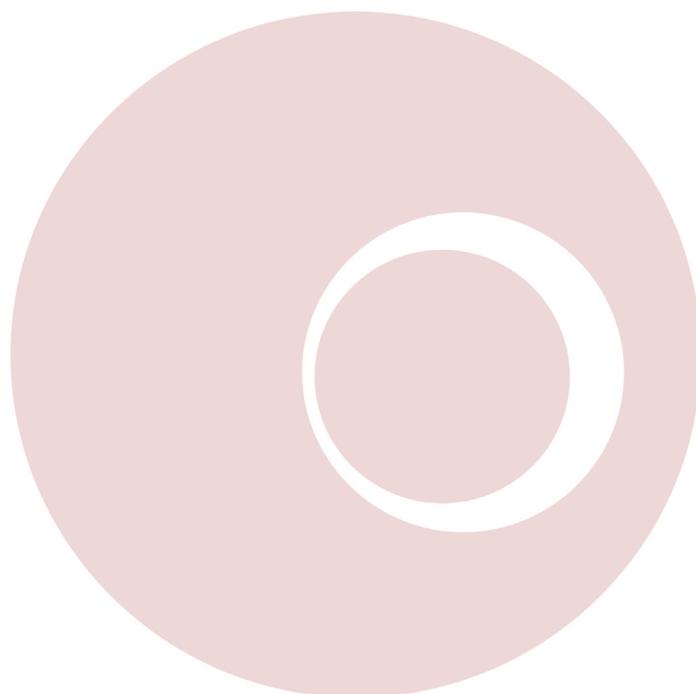
n. 156

publicado em junho/2019

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*ALFA-ALGLICOSIDADE COMO TERAPIA DE  
REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA NA DOENÇA DE POMPE*



# 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)>

## O que é doença de Pompe (DP)?

A DP ou glicogenose tipo II é um distúrbio neuromuscular hereditário que causa fraqueza muscular progressiva em pessoas de todas as idades. Caracteriza-se pela deficiência da enzima alfa-glicosidase ácida, que faz a quebra do glicogênio (fonte de energia do organismo). A falta ou redução desta enzima faz o glicogênio se acumular dentro das células, causando a destruição do tecido muscular.

O principal sintoma da DP é a fraqueza muscular, mas também estão incluídas outras manifestações, como: dificuldades respiratórias e alimentares, e atraso no desenvolvimento motor. Na forma precoce da doença, quando os sintomas aparecem até 12 meses de vida, é observado o aumento do tamanho do coração. A DP não tem cura, mas pode ser controlada por meio de tratamento multidisciplinar, que visa garantir a qualidade de vida do paciente.

## Como os pacientes com doença de Pompe são tratados no SUS?

Atualmente não há tratamento medicamentoso para a DP no SUS e o diagnóstico dessa doença não está incluído no Programa Nacional de Triagem Neonatal. Como alternativa terapêutica, o paciente deve ser acompanhado por equipe especializada, com sessões de fisioterapia, cirurgias das contraturas articulares, suporte nutricional e alimentar, além de cuidados respiratórios e, quando necessário a traqueostomia.

## Tecnologia analisada: alfa-glicosidase

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE) solicitou à CONITEC a avaliação para incorporação do medicamento alfa- $\alpha$ -glicosidase como terapia de reposição enzimática (TRE) na doença de Pompe.

A alfa- $\alpha$ -glicosidase 50 mg injetável, aprovada pela ANVISA, é uma enzima humana que auxilia na quebra do glicogênio para que o mesmo seja eliminado.

As evidências científicas, analisadas pela CONITEC, apresentaram benefícios relacionados ao uso deste medicamento nos casos precoces da doença. Em pacientes que iniciaram o tratamento com TRE até um ano de idade, foram observadas melhorias na capacidade cardíaca e funcional, além do aumento na sobrevida e no tempo para início da ventilação mecânica. A avaliação econômica apresentada indicou que uma possível incorporação da alfa- $\alpha$ -glicosidase no SUS representaria um impacto orçamentário que pode variar entre R\$ 15,7 milhões e R\$ 78,9 milhões por um período de cinco anos na DP precoce e R\$ 613,78 milhões e R\$ 1,02 bilhões por um período de cinco anos na DP tardia.

## Recomendação inicial da CONITEC

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 76ª reunião ordinária, realizada nos dias 03 e 04 de abril de 2019, consideraram que a alfa- $\alpha$ -glicosidase para a forma precoce da DP demonstrou diminuição do tempo em que paciente necessitava iniciar o uso da ventilação mecânica e também aumentou o tempo de vida do paciente.

Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente a inclusão (incorporação) no SUS da alfa- $\alpha$ -glicosidase como terapia de reposição enzimática (TRE) na doença de Pompe para pacientes de idade de início de sintomas  $\leq$  12 meses.



O assunto está agora em consulta pública para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas). Para participar, preencha o formulário eletrônico disponível em:  
< <http://conitec.gov.br/index.php/consultas-publicas> >

O relatório técnico completo de recomendação da CONITEC está disponível em:  
< [http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relatorio\\_alfa-arglicosidase\\_Pompe\\_CP\\_33\\_2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relatorio_alfa-arglicosidase_Pompe_CP_33_2019.pdf) >



<http://conitec.gov.br>

twitter: @conitec\_gov

app: conitec

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