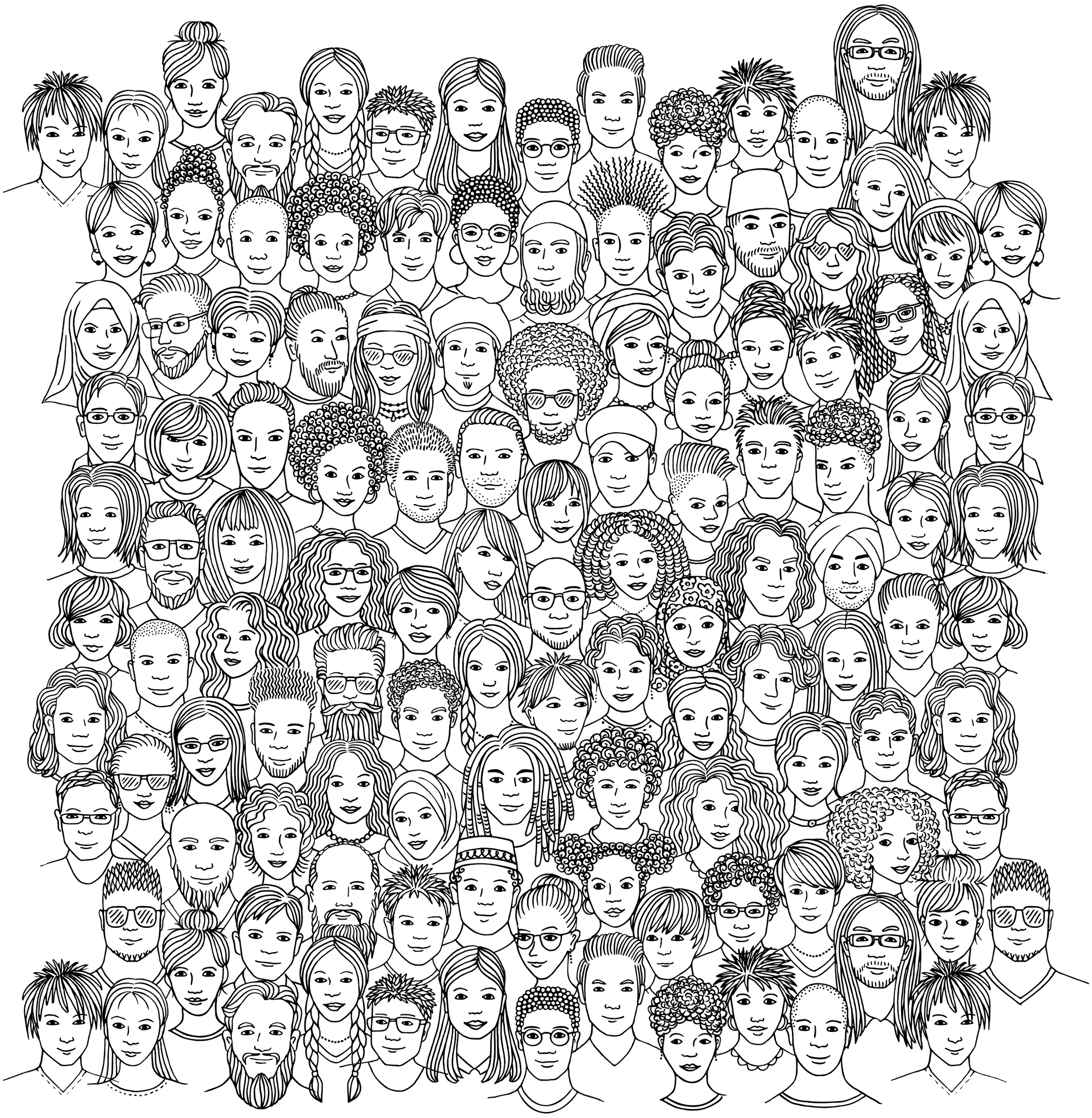
nº 207 • novembro | 2020



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

LUMACAFTOR/IVACAFTOR

PARA O TRATAMENTO DE PACIENTES COM FIBROSE CÍSTICA HOMOZIGÓTICA PARA A MUTAÇÃO F508DEL

Conitec

2020 Ministério da Saúde.
É permitida a reprodução parcial ou total desta obra, desde que citada a fonte e que não seja para venda ou qualquer fim comercial.
A responsabilidade pelos direitos autorais de textos e imagens desta obra é do Ministério da Saúde.

Elaboração, distribuição e informações
MINISTÉRIO DA SAÚDE
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovações em Saúde - DGITIS
Coordenação-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde - CGGTS
Coordenação de Incorporação de Tecnologias - CITEC
Esplanada dos Ministérios, bloco G, Edifício Sede, 8º andar
CEP: 70058-900 – Brasília/DF
Tel.: (61) 3315-2848
Site: http://conitec.gov.br/
E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório
COORDENAÇÃO DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS – CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

Elaboração do texto
Nayara Correa da Silva Marra

Revisão técnica
Andrea Brígida de Souza
Bruna Cabral de Pina Viana
Clarice Moreira Portugal
Fabiana Raynal Floriano
Getulio Cassemiro de Souza Júnior
José Octávio Beutel
Patrícia Mandetta Gandara

Layout e diagramação
Leo Galvão

Supervisão
Clementina Corah Lucas Prado – Coordenadora-Geral CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS
Vania Cristina Canuto Santos – Diretora DGITIS/SCTIE/MS

Conitec

Este documento é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – Conitec e foi elaborado numa linguagem simples, de fácil compreensão, para estimular a participação da sociedade no processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

As recomendações da Comissão 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 ou alteração da tecnologia analisada.

A recomendação final é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde - SCTIE/MS, que decide sobre quais tecnologias em saúde serão disponibilizadas no SUS.

Para saber mais sobre a Conitec, acesse:
conitec.gov.br

LUMACAFTOR/IVACAFTOR PARA O TRATAMENTO DE PACIENTES COM FIBROSE CÍSTICA HOMOZIGÓTICA PARA A MUTAÇÃO F508DEL

O que é Fibrose Cística Homozigótica?

A Fibrose Cística (FC) ou mucoviscidose é uma doença genética causada por alterações no gene chamado CFTR, provocando um desequilíbrio na concentração de cloro e sódio nas células que produzem as secreções do corpo, como muco e suor (glândulas exócrinas). As mutações são classificadas de acordo com as alterações do gene CFTR, sendo a mais frequente e de maior gravidade a mutação F508del. Esta por sua vez, afeta os órgãos reprodutores, pâncreas, fígado, intestino e pulmões. Os sintomas e sinais são infecções pulmonares, insuficiência respiratória, má digestão, sinusite crônica, presença de gordura nas fezes, tosse persistente e com muco, massas moles no nariz, febre e perda de peso, podendo diminuir assim a qualidade e expectativa de vida do paciente. O diagnóstico é realizado por meio de exames clínicos e laboratoriais. A doença não tem cura, mas o diagnóstico e o tratamento precoce podem trazer melhora para a qualidade de vida desses pacientes.

Como os pacientes com fibrose cística são tratados no SUS?

Os pacientes são tratados de acordo com os Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística – Manifestações Pulmonares e Insuficiência Pancreática, publicados em setembro de 2017, que orientam os critérios para diagnóstico e tratamentos ofertados no SUS.

O tratamento das manifestações pulmonares inclui programa de fisioterapia respiratória, suporte nutricional, tratamento precoce das infecções respiratórias e fluidificação das secreções. São utilizados os medicamentos alfadornase e tobramicina. Para tratar pacientes com insuficiência pancreática é recomendado o uso de enzimas pancreáticas. Recomenda-se monitorizar a resposta terapêutica com controle clínico periódico, com avaliação pela equipe assistente a cada consulta. Esses tratamentos visam induzir e manter a melhora dos sintomas, aumentando assim a qualidade de vida do paciente.

Medicamento analisado: lumacaftor/ivacaftor

A Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda solicitou à Conitec a avaliação de incorporação de lumacaftor/ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística homozigótica para a mutação F508del. O medicamento lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) é indicado para tratamento de fi-

brose cística em pacientes com 6 anos de idade ou mais que apresentam a classificação da mutação F508del. As duas substâncias ativas do medicamento agem na proteína CFTR, a lumacaftor aumenta a quantidade de proteína normal CFTR e a ivacaftor ajuda a proteína com funcionamento anormal a funcionar corretamente. A Conitec analisou os estudos que trataram dos resultados esperados (eficácia), segurança e impacto orçamentário desse medicamento, comparando com o tratamento que o SUS já disponibiliza. Considerou a qualidade dos estudos insuficientes e pouco relevantes, além de não haver dados de melhora de sobrevida do paciente. Estimou-se um impacto orçamentário, acumulado em 5 anos, de R$ 917 milhões a mais de R$ 2 bilhões em 3 cenários.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação do lumacaftor/ivacaftor para o tratamento da fibrose cística de pessoas com idade $\geq$ 6 anos que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR (*cystic fibrosis transmembrane conductance regulator*). Esse tema foi discutido durante a 88ª reunião ordinária da Comissão, realizada nos dias 7, 8 e 9 de julho de 2020. Na ocasião, o Plenário considerou o custo do medicamento muito alto, a necessidade de um exame de genotipagem específico e as incertezas relaciona-

das à eficiência, à manutenção do uso a longo prazo e à sua interrupção.

O assunto esteve disponível para consulta pública nº 37, durante 20 dias, no período de 12/08/2020 a 31/08/2020, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 12.304 contribuições, sendo 388 técnico-científicas e 11.916 contribuições sobre experiência ou opinião. Dentre as contribuições de experiência ou opinião, 94,79% discordavam da recomendação preliminar da Conitec sobre a não incorporação da tecnologia. No entanto, o Plenário considerou que os resultados sobre a eficácia do lumacaftor/ivacaftor não se mostravam fortes o suficiente paraincoporação no âmbito do SUS. Além disso, os custos para a incorporação, tendo como parâmetro a efetividade, ainda se mostravam muito elevados, mesmo com a proposta de redução de preços apresentada pelo demandante. 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

A Conitec, durante a 92ª reunião ordinária, realizada nos dias 04 e 05 de novembro de 2020, recomendou a

não incorporação no SUS do Lumacaftor/Ivacaftor para o tratamento da fibrose cística em pacientes com 6 anos de idade ou mais que são homozigotos para a mutação F508del no gene CFTR. Na ocasião, o Plenário entendeu que os resultados sobre a eficácia do lumacaftor/ivacaftor não foram suficientemente comprovados, assim como o incremento dos custos em relação à sua efetividade e o impacto orçamentário, considerados muito elevados.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, o Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde no uso de suas atribuições legais, decidiu pela não incorporação do Lumacaftor/Ivacaftor para tratamento de fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais que são homozigotos para a mutação F508del, no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR), no âmbito do SUS.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/20201203 _ Relatorio _ Lumacaftor _ Ivacaftor _ para _ Fibrose _ Cistica _ 579.pdf.