

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

ALFARURIOCTOCOGUE PEGOL PARA
TRATAMENTO DE PACIENTES COM
HEMOFILIA A

2021 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 Inovação 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

Adriana Prates Sacramento

Andrija Oliveira Almeida

Clarice Moreira Portugal

Luiza Nogueira Losco

Odete Amaral da Silva

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Bruna Cabral de Pina Viana

Élida Lúcia Carvalho Martins

Getulio Cassemiro de Souza Júnior

José Octávio Beutel

Marina Ongaratto Fauth

Patrícia Mandetta Gandara

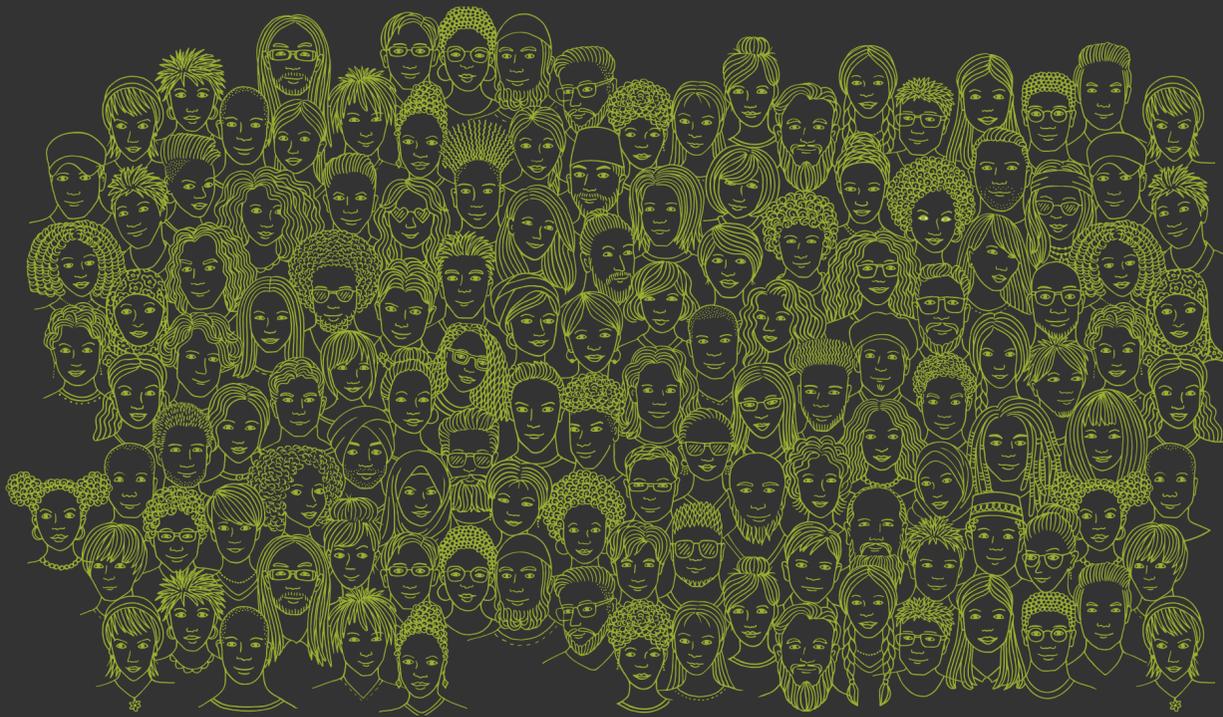
Tatiane Araújo Costa

Layout e diagramação

Leo Galvão

Supervisão

Vania Cristina Canuto Santos – Diretora DGITIS/SCTIE/MS



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

ALFARURIOCTOCOGUE PEGOL PARA TRATAMENTO DE PACIENTES COM HEMOFILIA A

O que é a hemofilia A?

A hemofilia A é uma doença hereditária ligada ao cromossomo X, que é transmitida (na maioria dos casos) por mães portadoras da mutação genética. Essa condição de saúde atinge majoritariamente os homens e se caracteriza por uma perda ou disfunção na capacidade de coagulação sanguínea, isto é, na capacidade do sangue de se tornar menos líquido para evitar perdas sanguíneas e reparar eventuais danos nos órgãos (por exemplo, no caso de ferimentos). Há dois tipos de hemofilia: a hemofilia A e a hemofilia B. Enquanto a hemofilia do tipo A se relaciona a uma deficiência no fator coagulante VIII (FVIII), a hemofilia do tipo B está ligada a uma diminuição no fator coagulante IX.

A gravidade da hemofilia A é estabelecida em função do nível de atividade do FVIII que o paciente possui. Dessa forma, ela pode ser classificada como leve, moderada ou grave. O risco de hemorragia depende do nível de gravidade da doença e da idade do paciente.

Nas formas mais graves dessa condição de saúde (aproximadamente 50% dos casos), uma das manifestações clínicas mais frequentes é a hemorragia musculoesquelética, que leva a episódios de sangramento nas articulações,

como nos tornozelos, cotovelos e joelhos. Em geral, os sangramentos ocorrem sem causa aparente, em especial na musculatura da parte inferior das pernas, das nádegas e da articulação entre a coxa e o quadril. Quando isso ocorre repetidamente em uma mesma articulação, pode se dar uma degeneração progressiva e um conseqüente aumento da dificuldade de executar atividades da vida cotidiana. A frequência desses episódios aumenta com a idade.

De acordo com os dados preliminares do Perfil das Coagulopatias Hereditárias de 2019, disponíveis na página eletrônica da Federação Brasileira de Hemofilia, estima-se a ocorrência de 1 caso de hemofilia A para cada 5.000 a 10.000 nascidos do sexo masculino. Esse quantitativo permite considerar a hemofilia A como uma doença rara. Em 2019, havia o registro de 10.821 indivíduos com hemofilia A no país, 98% deles em indivíduos do sexo masculino. Dados de uma pesquisa da Federação Mundial de Hemofilia revelam que, também em 2019, o Brasil apresentava a terceira maior população com hemofilia A dentre os 115 países investigados.

Como os pacientes de hemofilia A são tratados no SUS?

Segundo o Manual de Hemofilia do Ministério da Saúde, o tratamento dos pacientes com hemofilia A grave e moderada requer a administração direta do FVIII na corrente

sanguínea. Ela pode ser feita tanto sob demanda (após a ocorrência de uma hemorragia) quanto para manter os níveis adequados do FVIII no sangue (aplicação profilática), de forma a prevenir a ocorrência dos episódios hemorrágicos. Nos casos considerados leves, são utilizados medicamentos que diminuem o calibre dos vasos sanguíneos e inibem a dissolução de coágulos, o que contribui para diminuir os sangramentos quando ocorrem episódios hemorrágicos.

Todos os pacientes devem ser cadastrados no registro nacional de coagulopatias hereditárias (Hemovida Web-Coagulopatias). Nele são registradas informações sobre o uso dos medicamentos e a participação dos pacientes nos programas de prevenção.

Os concentrados de FVIII podem ser classificados de duas formas: produtos com meia-vida padrão e produtos com meia-vida estendida. Basicamente, os produtos com meia-vida estendida são degradados mais lentamente do que aqueles com meia-vida padrão, ficando disponíveis por mais tempo na corrente sanguínea. Atualmente, o Programa de Coagulopatias do Ministério da Saúde disponibiliza apenas o FVIII recombinante com meia-vida padrão. Isso acaba por contribuir negativamente para que os pacientes se mantenham no tratamento com a regularidade necessária, já que para manter os níveis minimamente adequados do FVIII, são necessárias de duas a três aplicações semanais.

Sendo assim, a disponibilidade de um produto com meia-vida estendida, como é o caso do alfarurioctocogue pegol, poderia melhorar a adesão ao tratamento por parte desses pacientes. Por fim, vale lembrar que o cuidado integral prestado a esses pacientes deve promover a saúde física, o bem-estar psicossocial e a qualidade de vida.

Medicamento analisado: alfarurioctocogue pegol

Quando comparado às outras opções disponíveis no SUS, o alfarurioctocogue pegol mostrou-se como uma alternativa segura e eficaz tanto no tratamento preventivo, quanto no tratamento sob demanda. A eficácia também foi observada no seu uso durante a realização de cirurgias até o momento da alta, tanto em cirurgias de grande quanto de menor porte, principalmente aquelas realizadas em articulações.

Em relação aos custos, verificou-se que o uso do alfarurioctocogue mostrou-se mais econômico do que o do alfaoctocogue – medicamento disponível hoje no SUS – no tratamento preventivo (R\$ 2.032,80), sob demanda (R\$ 362,82) e no seu uso em procedimentos cirúrgicos (R\$ 497,72). Esses valores se referem ao custo por evento de tratamento.

No que diz respeito ao impacto desses custos para o orçamento público, levando-se em conta a soma dos usos

preventivo, cirúrgico e para tratamento de episódios de sangramento em curso, estima-se uma possível economia de R\$ 8.868.842,10 a ao longo de 5 anos.

Essas estimativas, porém, podem estar subestimadas, já que há certo grau de incerteza em relação ao peso médio da população e à quantidade de medicamento a ser utilizada. Isso porque o cálculo das dosagens a serem utilizadas é feito com base no peso do paciente.

Perspectiva do paciente

A chamada pública para participar da Perspectiva do Paciente ficou disponível no período de 19/01/2021 a 02/02/2021. Quatorze pessoas se inscreveram. A indicação dos representantes titular e suplente para trazer um relato da sua experiência em relação ao tema foi feita a partir de sorteio.

Durante a apreciação inicial do tema na 5ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada no dia 12/05/2021, o participante iniciou o seu testemunho declarando não possuir qualquer tipo de vínculo com a indústria. Disse ter hemofilia A grave e ressalta que houve um grande avanço na indústria farmacêutica. Ele lembrou algumas terapias anteriormente por ele utilizadas, como o crioprecipitado (pequenos “flocos” ricos em fator VIII extraídos de plasma humano), o uso de FVIII por demanda (devido à ocorrência de sangramentos) e de fator VIII plasmático (obtido do

plasma de doadores). Relatou que hoje o tratamento profilático é feito três vezes por semana e que é possível à pessoa com hemofilia trabalhar e estudar, bem como ter uma “vida plena”, mesmo com essa condição clínica.

Todavia, referiu dificuldades nesse processo. Contou que tem 35 anos e sofre de hemorragias articulares por conta da hemofilia. Nesse sentido, colocou que se o tratamento em avaliação estivesse disponível outrora no SUS, teria sido um diferencial em sua trajetória. Isso porque ele não teria sofrido com sequelas e lesões que tem ainda hoje por causa da hemofilia. De acordo com o paciente, em 1999, o FVIII ainda era muito defasado no Brasil e os pacientes precisavam esperar a ocorrência de um sangramento para que ele fosse aplicado.

Sendo assim, finalizou sua fala com a afirmação de que, caso o medicamento seja incorporado ao SUS, ele será de grande valia para a comunidade hemofílica em todo o Brasil, sobretudo pelo acesso facilitado em virtude da diminuição da quantidade de infusões.

Veja [aqui](#) o vídeo da 5ª Reunião Extraordinária da Conitec.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação no SUS do alfarurioctocogue pegol para o tratamento da hemofilia A. Esse tema foi discutido durante a 5ª Reunião Extraordinária da Comissão, realizada nos dias 12 e 13

de maio de 2021. Na ocasião, o Plenário considerou que a evidência apresentou incertezas importantes quanto aos benefícios e à segurança do medicamento avaliado e, além disso, foi identificada dificuldade em estimar as dosagens e captar a população indicada para o uso.

O assunto esteve disponível na consulta pública nº 49, durante 20 dias, no período de 07/06/2021 a 28/06/2021, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

No total, a consulta pública recebeu 354 contribuições, sendo 98% delas contrárias à recomendação inicial da Conitec. Das 55 contribuições técnico-científicas, 54 concordaram com a recomendação inicial da Conitec e uma não concordou. No entanto, foi analisado o conteúdo de apenas seis contribuições, já que as demais estavam em branco ou não continham teor científico. O fabricante apresentou novos cálculos de impacto orçamentário, uma vez que a tecnologia comparada teve elevação de preço passando de R\$1,08 para R\$1,37. Com isso, a incorporação representaria uma economia para o SUS de R\$ 289.256.005 até R\$ 605.282.163 em cinco anos.

Quanto às 299 contribuições de experiência ou opinião recebidas, 257 foram analisadas, já que as demais não apresentaram informação alguma (em branco).

Recomendação final da Conitec

Os membros do Plenário presentes na 101ª Reunião Ordinária da Conitec, no dia 1º de setembro de 2021, por maioria simples, recomendaram a incorporação no SUS do alfarurioctocogue pegol para tratamento de profilaxia, sob demanda e perioperatório de crianças, adolescentes e adultos com hemofilia A, conforme Protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde.

Audiência Pública

No dia 26 de novembro de 2021, foi realizada a Audiência Pública nº 3/2021, em formato virtual e transmitida pelo canal da Conitec no Youtube®. A finalidade foi ouvir a sociedade sobre a proposta de incorporação do alfadamoctocogue pegol e do alfaruriocotocogue pegol, ambos medicamentos com indicação para o tratamento da hemofilia A. Nesse sentido, buscou-se recepcionar contribuições e levantar mais subsídios, além dos já compilados no relatório técnico final da Comissão, para a tomada de decisão do secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde, do Ministério da Saúde.

Vinte e sete inscritos participaram como oradores, entre pacientes – representados por associações,

familiares e cuidadores de pessoas —, e especialistas, representados por profissionais da área da saúde, conforme as orientações divulgadas no *site* da Conitec. Todos os participantes tiveram cinco minutos de fala para expor seus pontos de vista, com relação às tecnologias em saúde em avaliação.

Foram convidados os seguintes órgãos de controle: Controladoria Geral da União (CGU), Ministério Público (MP) junto ao Tribunal de Contas da União (TCU) e Ministério Público Federal (MPF), que também acompanhou a audiência. A programação foi divulgada na página eletrônica da Conitec e acompanhada por centenas de pessoas, ao vivo, pelo [canal da Comissão no Youtube®](#).

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 incorporação do alfarurioctocogue pegol para tratamento de pacientes com hemofilia A no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).