



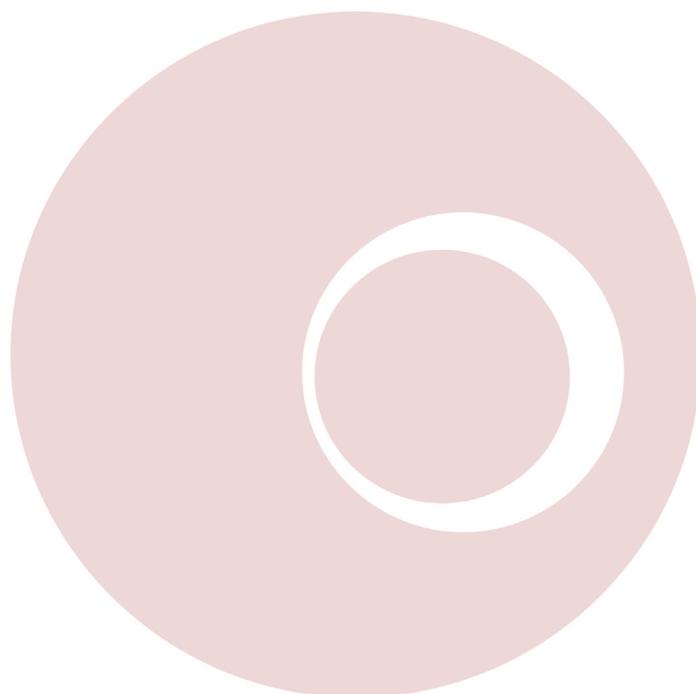
n. 151

publicado em abril/2019

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*MIGLUSTATE PARA MANIFESTAÇÕES NEUROLÓGICAS  
DA DOENÇA DE NIEMANN-PICK TIPO C (NPC)*



# 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 a Doença de Niemann-Pick Tipo C?

A Doença de Niemann-Pick C (NPC) é uma condição clínica rara grave, que acomete todo o corpo. Faz parte de um conjunto de doenças genéticas e pode surgir em diferentes idades, com apresentações clínicas distintas. É difícil estimar a frequência da NPC pois há dificuldades de identificação da doença, com diagnóstico tardio. A maioria dos casos (95%) são resultantes de mutações no gene NPC-1 e em 4%, no gene NPC-2.

As manifestações clínicas envolvem sintomas neurológicos, tais como alteração de movimentos dos olhos, problemas no aprendizado, prejuízos no desenvolvimento neurológico, crises convulsivas, e alterações de manipulação, linguagem, movimento de marcha e deglutição; acometimento do fígado, pâncreas e pulmões; e psiquiátricos, envolvendo sintomas depressivos e manifestações psicomotoras. Na infância e adolescência, pode ocorrer o transtorno do déficit de atenção com hiperatividade, dificuldade de aprendizado e distúrbios comportamentais. De modo geral, considera-se que quanto mais precoce o surgimento dos sintomas, mais rápida a progressão da doença. A NPC está associada à morte prematura, com idades entre 5 a 25 anos após o surgimento da doença.

O diagnóstico de NPC é baseado na avaliação clínica e em exames laboratoriais. A investigação envolve avaliação oftalmológica, auditiva, neurológica, psiquiátrica e visceral. Exames laboratoriais primordiais são os testes genéticos, com o sequenciamento dos genes NPC-1 e NPC-2. O diagnóstico é difícil e a doença pode ser frequentemente confundida com outras patologias.

## Como os pacientes com as manifestações neurológicas da Doença de Niemann-Pick Tipo C são tratados no SUS?

No momento, não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para a Doença de Niemann-Pick, publicado pelo Ministério da Saúde. Como essa doença não tem cura, os tratamentos disponíveis têm como objetivo a melhoria da qualidade de vida, estabilização ou diminuição da velocidade de progressão da doença. O tratamento paliativo, além de medicamentos anticonvulsivantes, anticolinérgicos, antipsicóticos e antidiarreicos, envolve ainda acompanhamento nutricional, fisioterápico, suporte psicológico, psiquiátrico e neurológico.



## Medicamento analisado: miglustate

A Secretaria de Ciência Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE/MS) solicitou à CONITEC a avaliação de incorporação do miglustate para o tratamento de sintomas neurológicos da doença de Niemann-Pick tipo C. O miglustate é um medicamento que reduz o acúmulo das moléculas chamadas glicosfingolípídios no sistema nervoso, distúrbio característico da NPC. Acredita-se que este acúmulo anormal seja responsável pelas manifestações neurológicas da doença, o que embasa a utilização do medicamento no tratamento da NPC.

A Secretaria-Executiva da CONITEC analisou os estudos, apresentados pelo demandante, que trataram de eficácia (benefícios clínicos), segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário do miglustate no tratamento da NPC. Contudo, observou-se escassez de estudos com boa qualidade metodológica e a falta de maior detalhamento em alguns deles. Assim, considerou-se que as evidências disponíveis não são conclusivas quanto aos ganhos clinicamente relevantes para o paciente com alterações neurológicas decorrentes da Doença de Niemann-Pick Tipo C.

Por fim, a avaliação econômica apresentada pelo demandante indicou que a incorporação do miglustate no SUS representaria um impacto orçamentário que pode variar entre R\$ 1.781.458.228,70 e R\$172.681.200, ao longo de cinco anos.

## 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, consideram que as evidências disponíveis não são conclusivas quanto aos ganhos clinicamente relevantes para o paciente com alterações neurológicas decorrentes da Doença de Niemann-Pick Tipo C. Sendo assim, devido à escassez de estudos com boa qualidade metodológica, à falta de maior detalhamento em alguns deles e a resultante qualidade da evidência, que foi muito baixa, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente a não inclusão (incorporação) no SUS do miglustate para tratamento de sintomas neurológicos da doença de Niemann-Pick tipo C.

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/2019/Relatorio\\_Miglustate\\_Niemann\\_Pick\\_CP\\_25\\_2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relatorio_Miglustate_Niemann_Pick_CP_25_2019.pdf)>



<http://conitec.gov.br>

twitter: [@conitec\\_gov](https://twitter.com/conitec_gov)

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