

Contribuições da Consulta Pública - Formulário Técnico - Betaína anidra para o tratamento de pacientes com homocistinúria com deficiências ou defeitos da cista... - Conitec

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
01/11/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Maior opção terapêutica no tratamento da osteoporose e prevenção de fraturas em idosos</p> <p>2ª - Não</p> <p>3ª - Mais econômico a prevenção de fraturas que internações e uso de tratamentos de alto custos</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>
10/11/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A betaína é altamente efetiva na redução dos níveis de homocisteína, redução esta que pode chegar a 70%. O acúmulo de homocisteína é considerado a principal fisiopatologia na homocistinúria, e a redução de homocisteína por si só, mesmo que ainda elevada, comprovadamente melhora a sobrevida dos pacie</p> <p>2ª - Em pacientes com diagnóstico tardio, o tratamento também é efetivo na redução da morbimortalidade. Importante redução de eventos vasculares é descrita em pacientes tratados, mesmo quando os níveis de tHcy permanecem elevados (Wilcken e Wilcken, 1997, Yap, 2003, Skovby et al., 2010).</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Durante o tratamento com betaína, os níveis de metionina tendem a aumentar. Geralmente isto não tem repercussão clínica, mas há relatos de edema cerebral quando a metionina plasmática >500mcom/L. Por isso, há necessidade de monitorar níveis de metionina</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
11/11/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Betaína é parte integrante do tratamento coadjuvante da HCU clássica não responsiva a B6 há décadas, comprovada por livros-texto e consensos/revisões de literatura. Cystadane é a betaína com qualidade farmacêutica aprovada pela Anvisa, FDA, EMA e outras agências regulatórias nesta indicação.</p> <p>2ª - Guidelines internacionais (Morris et al 2017), revisões de literatura (Huemer 2020) e capítulo do livro de referência em erros inatos (Mudd em Scriver 2007) recomendam betaína (Cystadane) como parte do tratamento na HCU clássica não responsiva a B6. É parte consagrada do tratamento.</p> <p>3ª - O benefício clínico/econômico foi subestimado pela falta de estudos específicos além de eventos cardiovasculares, por questão metodológica e raridade da doença. A redução da homocisteína impacta positivamente outras complicações (Mudd 1985, Morris 2017). A relação custo-benefício é maior.</p> <p>4ª - O custo mensal por paciente é muito inferior ao de outros tratamentos para doenças raras, e o número de pacientes é baixo. O impacto orçamentário é razoável no caso de Cystadane.</p> <p>5ª - "Betaína é um termo químico genérico para aminoácidos trimetilados na posição N. Existem várias betaínas além da trimetil-glicina, PI do Cystadane e molécula est&#xdada, na HCU. Não se conhecem os efeitos de outras betaínas, por isso ""betaína manipulada"" não deve ser considerada alternativa aceitável."</p>
13/11/2022	Familiar, amigo ou cuidador de paciente	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Precisa atender principalmente aos que mais necessitam.</p> <p>2ª - Não.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não.</p>
14/11/2022	Interessado no tema	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Nossa CF diz: Todos são iguais perante a lei. São direitos básicos entre vários, a saúde.</p> <p>2ª - Não.</p> <p>3ª - Não.</p> <p>4ª - São medicamentos de alto custo, no entanto, com o aumento de demanda o preço do customse dilui, barateando o medicamento e beneficiando aqueles que necessitam.</p> <p>5ª - Não</p>

Dt. contrib.	Contribuiu como	Descrição da contribuição
14/11/2022	Empresa fabricante da tecnologia avaliada	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. A negativa da Conitec contribui para a desassistência crítica aos pacientes com essa rara e grave condição, impactando negativamente qualidade e expectativa de vida de pacientes com homocistinúria clássica, seus familiares e cuidadores. Ainda, a incorporação de betaína causa baixo impacto ao SUS.</p> <p>2ª - O tratamento da homocistinúria clássica é multifatorial e objetiva a redução dos níveis de homocisteína e metionina. Betaína é terapia complementar importante para pacientes não responsivos à piridoxina, recomendada por estudos clínicos e diretrizes clínicas internacionais. (vide anexo)</p> <p>3ª - Recordati apresenta atualização para os estudos econômicos (conforme arquivo Excel, em anexo), endereçando respostas aos comentários às características do estudo de custo-efetividade apresentado no dossiê de submissão. Os resultados atualizados estão apresentados no documento em anexo</p> <p>4ª - Homocistinúria clássica é uma doença rara com pequena população elegível ao tratamento com Cystadane® (medicamento órfão). Os resultados econômicos calculados para incorporação de betaína anidra são muito inferiores em comparação aos valores de outras tecnologias para esse tipo de doença (anexo)</p> <p>5ª - Cystadane® é trimetil-glicina anidra, produzido sob BPF e inspeção/certificação ANVISA. O uso de betaínas manipuladas não devem representar alternativa válida apenas por questões econômicas, já que podem não refletir os mesmos requerimentos farmacológicos, comprometendo adesão e efetividade clínica</p>
26/10/2022	Profissional de saúde	<p>1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS. Há falta de alternativas de tratamento para os pacientes com homocistinúria. Desta forma, a betaína anidra deve ser incorporada no SUS</p> <p>2ª - A betaína anidra é a única opção de tratamento para os pacientes com homocistinúria, validada em estudos clínicos e com todas as devidas aprovações e certificações.</p> <p>3ª - Não</p> <p>4ª - Não</p> <p>5ª - Não</p>