

# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

## **PEGCETACOPLANA**

para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística  
noturna previamente tratados com inibidores do complemento

## **2024 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 e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde – SECTICS

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS

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: [gov.br/conitec/pt-br](http://gov.br/conitec/pt-br)

E-mail: [conitec@saude.gov.br](mailto:conitec@saude.gov.br)

### **Elaboração do relatório**

Adriana Prates Sacramento

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

Andrija Oliveira Almeida

Clarice Moreira Portugal

Luiza Nogueira Losco

Melina Sampaio de Ramos Barros

### **Revisão técnica**

Andrea Brígida de Souza

Gleyson Navarro Alves

José Octávio Beutel

Mariana Dartora

### **Layout e diagramação**

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

# PEGCETACOPLANA

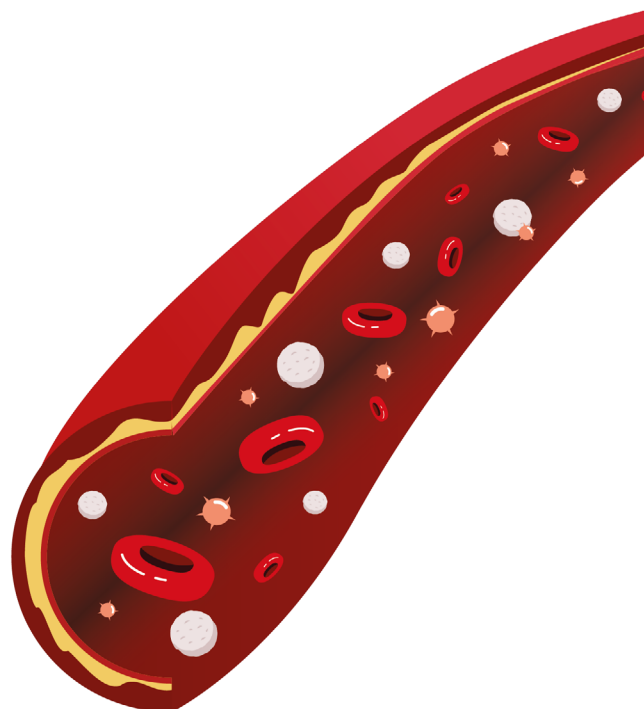
para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento

## O que é a hemoglobinúria paroxística noturna?

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença rara das células sanguíneas, causada por uma mutação genética que leva à destruição das hemácias (glóbulos vermelhos). Em condições normais, existem proteínas na superfície das hemácias que desempenham função de proteção das células. Em pessoas com HPN, a mutação faz com que os glóbulos vermelhos sejam produzidos sem essas substâncias protetoras, confundindo o sistema complemento do corpo (responsável por remover células danificadas do corpo). Esse processo pode ocasionar a destruição das hemácias (que pode ser intravascular ou extravascular, a depender do tipo de proteína ausente), insuficiência da medula óssea ou trombose (formação de coágulos nos vasos e artérias do sangue).

A doença está associada ao desenvolvimento de anemia crônica e, por isso, um de seus principais sintomas é o cansaço intenso. Outros sintomas como mal-estar generalizado, falta de ar, concentração anormal de hemoglobina na urina, insuficiência renal, dificuldade para engolir alimentos e líquidos, contrações dolorosas no esôfago, febre, disfunção erétil, dor nas costas e lombar, também podem estar associados à HPN.

Apesar de haver pouca informação epidemiológica sobre esta doença, não apenas por sua raridade, mas também pela dificuldade em diagnosticá-la, estima-se que a incidência anual de HPN é de 1,3 novos casos a cada um milhão de indivíduos no mundo. Os Sistemas de Informação Hospitalar e Ambulatorial do SUS, identificaram 675 pacientes com HPN no Brasil, entre os anos de 2008 e 2018, tendo uma prevalência estimada de um caso a cada 237 mil



---

habitantes.

A doença pode ser classificada, segundo sua manifestação clínica, em três subtipos: 1) HPN clássica: o paciente manifesta de rompimento de hemácias, sem outro distúrbio de falha na medula óssea; 2) HPN associada a outros distúrbios primários da medula óssea: comumente relacionada à falência da medula óssea e à produção insuficiente de células do sangue na medula óssea; e 3) HPN-subclínica: os pacientes não têm evidência clínica ou laboratorial de rompimento de células sanguíneas ou de trombose. Contudo, os pacientes podem mudar de classificação ao longo do tempo e todos apresentam algum grau de falência medular, por isso, devem ter sua condição clínica acompanhada com a devida frequência.

Também é classificada a quantidade de proteínas ligadas às hemácias que a protegem, entre os tipos I, II e III, indo de níveis normais à ausência total de proteínas, respectivamente.

## **Como os pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna são tratados no SUS?**

De acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Hemoglobinúria Paroxística Noturna, o único tratamento que tem o objetivo de curar a doença é a realização de Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas Alogênico (TCTH-AL). Contudo, o tratamento da HPN também conta com medidas medicamentosas e não medicamentosas para reduzir a destruição de hemácias, além de prevenir e tratar a formação de coágulos no sangue e outras complicações relacionadas.

O tratamento é instituído de acordo com as manifestações clínicas da doença, e há várias alternativas terapêuticas, não curativas, mas que podem reduzir as suas complicações, como o uso de corticoides, androgênios, imunossuppressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e realização de transfusão de sangue.

A proteína C5 do sistema de complemento foi identificada como o alvo ideal para o tratamento inicial da HPN. A inibição dessa proteína pode bloquear de forma eficaz a ausência de proteção das hemácias. Assim, medicamentos como o eculizumabe e ravulizumabe (anticorpos monoclonais inibidores da proteína C5), também são opções de tratamento para a HPN.

## **Medicamento analisado: pegcetacoplana**

A Pint Pharma solicitou à Conitec a avaliação da pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidores do complemento, visando a sua incorporação no SUS.

---

A pegcetacopla é um imunossupressor que se liga à proteína C3 do sistema de complemento, controlando a destruição de hemácias extravasculares e intravasculares. Atualmente, tem indicação aprovada na Agência de Vigilância Sanitária (Anvisa) para o tratamento de adultos com HPN.

As evidências indicam que o uso da pegcetacopla proporciona um maior aumento dos níveis de hemoglobina no sangue, em comparação ao uso do eculizumabe. Ainda na comparação entre esses dois medicamentos, 85% dos pacientes tratados com pegcetacopla não necessitaram mais de transfusões de sangue e há uma redução na contagem de reticulócitos (hemácias imaturas que ainda não conseguem transportar oxigênio pelo corpo) com o uso da pegcetacopla e um aumento com o uso de eculizumabe. Há a indicação de melhora na qualidade de vida dos pacientes com o uso da pegcetacopla, em relação ao uso do eculizumabe. Já na comparação com o ravulizumabe, a pegcetacopla apresentou resultados superiores na redução dos sintomas, ausência de transfusões de sangue, normalização dos níveis de desidrogenase láctica e aumento na qualidade de vida dos pacientes. A avaliação da qualidade da evidência foi considerada moderada.

A avaliação econômica demonstrou que a razão de custo-utilidade incremental (relação entre o custo adicional e o benefício adicional obtido) da incorporação da pegcetacopla possibilitaria uma economia de R\$ 3.816.473,44 com relação ao eculizumabe e de 1.858.994,53 em comparação ao ravulizumabe. A análise de impacto orçamentário estimou que a incorporação da pegcetacopla poderia resultar em economia de recursos para o sistema de R\$ 157,99 milhões, acumulados ao longo de cinco anos.

## Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 34/2024 esteve aberta durante o período de 03/06/2024 a 12/06/2024 e recebeu dez inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de consenso entre o grupo de inscritos.

O representante relatou que foi diagnosticado com anemia aplástica, em 2015, quando tinha 45 anos de idade. O diagnóstico foi confirmado após da necessidade de realização de vários exames e transfusões de sangue. Iniciou o tratamento com ciclosporina e também foi indicado o transplante de medula, mas seus familiares não tinham total compatibilidade para a realização do procedimento. Começou, então, um tratamento com timoglobulina, no qual ficou internado por 45 dias e, após esse período, não havia mais indícios da anemia aplástica, mas o HPN foi diagnosticado.

O participante contou que após o diagnóstico, entrou com ação judicial para acesso ao eculizumabe e desde então faz uso de três frascos do medicamento, quinzenalmente. Contudo,

---

relatou que, após nove anos em tratamento com o eculizumabe, passou a apresentar muito cansaço e hemólise pela manhã, ao acordar. Dessa forma, sua equipe médica indicou o uso da pegcetacoplane, a fim de estabilizar o reaparecimento dos sintomas da HPN. Contudo, ele ainda não fez uso do medicamento em avaliação, por não estar disponível no SUS.

Após ser questionado, confirmou que iniciou o uso do eculizumabe ainda em 2015, após quatro meses do início do uso da ciclosporina.

O vídeo da 133ª Reunião Ordinária ou Extraordinária pode ser acessado [aqui](#).

## **Recomendação inicial da Conitec**

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, da pegcetacoplane para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobínúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidores do complemento. Esse tema foi discutido durante a 133ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 04 e 05 de setembro de 2024. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou a pouca existência de evidências científicas, as incertezas em relação às comparações realizadas nos estudos e ao método utilizado para mensuração da qualidade de vida dos pacientes.

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 67, durante 20 dias, no período de 07/10/2024 a 29/10/2024, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Clique [aqui](#) para enviar sua contribuição.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).