

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

ALFAEPOETINA

para o tratamento de pacientes com doença falciforme apresentando
declínio da função renal e piora dos níveis de hemoglobina

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

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

Adriana Prates Sacramento

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

Andrija Oliveira Almeida

Clarice Moreira Portugal

Melina Sampaio de Ramos Barros

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Gleyson Navarro Alves

José Octávio Beutel

Mariana Dartora

Layout e diagramação

Clarice Macedo Falcão

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

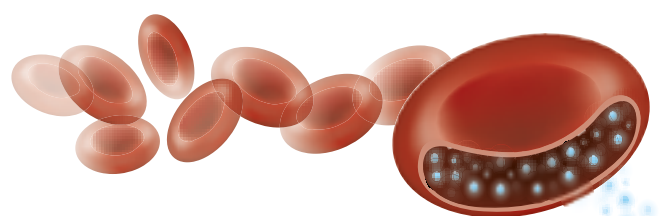
ALFAEPOETINA

para o tratamento de pacientes com doença falciforme apresentando declínio da função renal e piora dos níveis de hemoglobina

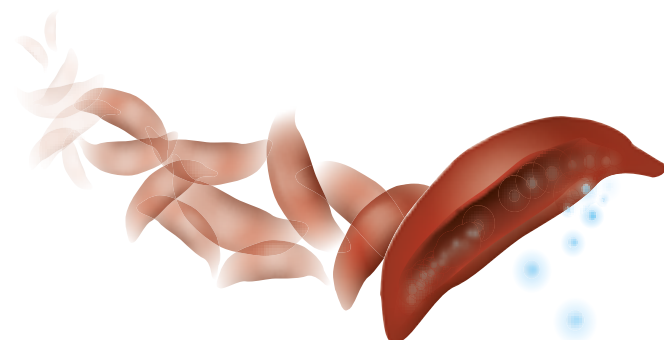
O que é a anemia falciforme?

O termo doença falciforme (DF) se refere a um grupo de doenças que afetam a hemoglobina, um dos componentes dos glóbulos vermelhos do sangue, que têm a função de levar oxigênio para todas as células. A hemoglobina possui formato redondo, mas, na presença das doenças falciformes, adquire forma de foice ou meia-lua, o que dificulta sua passagem pelos vasos sanguíneos. Com isso, o processo de oxigenação dos órgãos e tecidos do corpo é prejudicado.

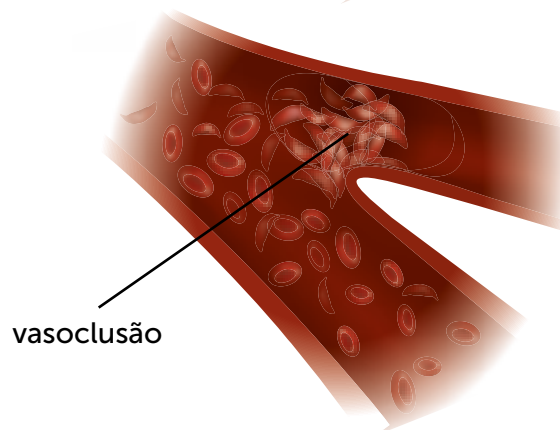
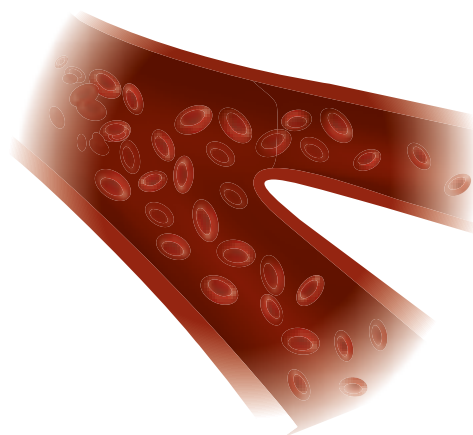
A DF tem origem genética, ou seja, possui caráter hereditário, e se apresenta clinicamente de diversas formas. As manifestações mais comuns são a anemia e a vaso-oclusão, que ocorre quando a circulação sanguínea fica parcial ou mesmo totalmente obstruída. A doença também pode provocar dor aguda, dor crônica e infarto (interrupção do fluxo sanguíneo e consequentemente, da oxigenação) em diferentes órgãos, a exemplo dos rins ou baço. A nefropatia falciforme ocorre quando a DF afeta os rins, existindo risco de evolução para um quadro de doença renal crônica (DRC).



hemoglobina normal



hemoglobina anormal



Para o diagnóstico da DF, o Sistema Único de Saúde (SUS) disponibiliza o “teste do pezinho” (exame de triagem neonatal) para ser feito em recém-nascidos. Para aqueles que não tiveram acesso ao exame mencionado, sejam crianças ou adultos, o SUS disponibiliza o exame de eletroforese de hemoglobina.

Dentre as doenças que afetam a hemoglobina, a DF é a mais costumeira, compreendendo um dos tipos de alterações genéticas mais comuns tanto no Brasil quanto no mundo. Ocorre mais frequente em povos africanos, porém, por causa das migrações populacionais, está presente em todos os continentes. O Global Burden of Disease (GBD) estima que existem em torno de 3,2 milhões de pessoas com DF no mundo, ocorrendo anualmente cerca de 176.000 mortes em decorrência de complicações relacionadas à doença.

No Brasil, estimativas baseadas em dados do Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) e no Sistema de Informações sobre Nascidos Vivos (Sinasc) indicaram que, entre os anos de 2014 e 2020, nasceram 3,75 pessoas com DF a cada 10.000 nascidos vivos. A taxa de mortalidade provocada pela doença foi estimada em 1,12 a cada 100.000 habitantes, no país, onde, de acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da DF, ela é mais comum nas Regiões Norte e Nordeste.

Além de afetar a qualidade e o tempo de vida do paciente, a doença gera um alto impacto econômico para o sistema público de saúde, por conta das complicações que provoca.

Como as pessoas com doença falciforme são tratadas no SUS?

O Brasil conta com uma Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doença Falciforme (PNAIPDF) do Ministério da Saúde, que reúne ações com a finalidade de identificar fatores de risco e diagnosticar casos de DF no estágio inicial, promovendo encaminhamento adequado e rápido dos casos identificados, visando diminuir as crises da doença e evitar os danos que provocam.

Para tratamento da DF, o SUS disponibiliza medicamentos como hidroxureia e antibióticos (especialmente para a prevenção de infecções), assim como transplante de células-tronco hematopoéticas. Além disso, podem ser realizadas transfusões sanguíneas. Para casos de declínio da função renal e piora dos níveis de hemoglobina, permanecem as mesmas opções mencionadas.

Tecnologia analisada: Alfaepoetina

A anemia se caracteriza pela diminuição da quantidade de hemoglobina no sangue e costuma decorrer da produção reduzida de eritropoetina, hormônio produzido nos rins e responsável pela criação dos glóbulos vermelhos do sangue. A alfaepoetina, por atuar de forma idêntica

à eritropoetina, consegue aumentar a produção de hemoglobina, reduzindo a anemia e suas consequências.

A tecnologia em questão já é disponibilizada pelo SUS para tratamento da anemia em casos de doença renal crônica. A ampliação de uso do medicamento para o tratamento da doença falciforme com comprometimento renal associado à piora do quadro de anemia no SUS foi solicitada pela Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (SECTICS/MS), em decorrência do processo de atualização do PCDT da Doença Falciforme.

Para estabelecer a eficácia, efetividade e segurança do medicamento, o custo-efetividade (valor da tecnologia em relação ao benefício que ela pode oferecer) e o impacto orçamentário da ampliação do uso da alfaepoetina no SUS para a população mencionada, foram analisadas evidências clínicas e econômicas.

As evidências indicaram que o medicamento é seguro e seu uso foi associado à melhora na concentração de hemoglobina no sangue, com redução da necessidade de transfusões sanguíneas. A qualidade das evidências, entretanto, foi considerada baixa.

A análise econômica buscou estimar benefícios da alfaepoetina em termos de redução da necessidade de transfusões de sangue, fazendo a comparação entre os custos do medicamento e o incremento na quantidade de anos vividos com qualidade. A análise demonstrou que o acréscimo da alfaepoetina ao cuidado padrão (definido, para fins de comparação, como a combinação de hidroxiureia (HU) + ácido fólico + transfusões de sangue) para o tratamento de adultos com DF apresentando declínio da função renal e piora dos níveis de hemoglobina apresenta benefício clínico, mesmo que modesto, e ainda promove economia.

A avaliação de impacto orçamentário estimou uma economia de R\$ 96.545.791 para o SUS, no período de cinco anos, em decorrência do medicamento reduzir a necessidade de transfusões de sangue, procedimento associado a possíveis complicações e custos significativos.

Perspectiva do paciente

A Chamada Pública nº 35/2023 para participar da Perspectiva do Paciente sobre o tema ficou aberta de 21 a 27/09/2023. Onze pessoas se inscreveram, mas nenhuma atendia aos critérios da chamada. A Secretaria-Executiva da Conitec realizou uma busca ativa junto a especialistas, associações de pacientes e Centros de Tratamento a fim de identificar um usuário do SUS para fazer um relato de experiência na reunião da Conitec sobre o uso da alfaepoetina para tratamento de pacientes com doença falciforme.

Durante seu relato, o participante informou que há 10 anos, quando estava fazendo um tratamento para uma úlcera de perna, apresentou elevação nas taxas de potássio. Na época,

necessitou fazer uso de um medicamento denominado “sorcal” (poliestirenosulfonato de cálcio), com a finalidade de baixar o nível do potássio no organismo.

Começou a fazer uso da alfaepoetina há cerca de cinco anos. Disse que o medicamento mantém a insuficiência renal controlada, sem provocar efeitos adversos. Contou que toma duas ampolas de alfaepoetina três vezes na semana, totalizando 24 ampolas por mês. Cada ampola contém 4.000 UI. Retira o medicamento em uma farmácia de alta complexidade, porém o local só disponibiliza, mensalmente, 16 ampolas. O restante das ampolas necessárias ele obtém no hemocentro do Rio de Janeiro.

Contou que há algum tempo vem apresentando queda nas taxas de hemoglobina. Com isso, passou a receber transfusões sanguíneas, procedimento que até então não era rotineiro. Atualmente, entretanto, tem necessitado receber uma bolsa de sangue a cada dois meses. Não sabe dizer se o declínio das taxas de hemoglobina é devido ao uso da alfaepoetina, mas informou que, tempos atrás, o uso de hidroxíureia foi interrompido por este motivo.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por unanimidade, a incorporação ao SUS da alfaepoetina (rHuePO, eritropoietina humana recombinante) para adultos com doença falciforme, com comprometimento renal associado à piora do quadro de anemia. O tema foi discutido durante a 16ª Reunião Extraordinária da Comissão, realizada nos dias 31 de outubro e 1º de novembro de 2023. Na ocasião, aproveitando o contexto de atualização do PCDT da doença falciforme, o Comitê de Medicamentos discutiu a necessidade de estabelecer tanto os critérios para o uso do medicamento quanto para interrupção do tratamento na ausência de melhora, por conta das incertezas em relação ao benefício da tecnologia, especialmente a longo prazo.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 56, durante 20 dias, no período de 26/12/2023 a 15/01/2024, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas nove contribuições, uma de natureza técnico-científica e oito de experiência ou opinião, todas concordando com a recomendação inicial da Conitec, ou seja, se manifestando favoravelmente à incorporação da tecnologia em avaliação. A contribuição técnico-científica ressaltou o impacto positivo do medicamento na qualidade de vida dos usuários, a perspectiva da redução de procedimentos como o das transfusões, apontando, como consequente, uma redução de custos. A adequação da análise feita pela Conitec também foi ressaltada. As contribuições de experiência ou opinião, por sua vez, consideraram a eficácia

da alfaepoetina, sua propriedade de controlar a anemia, incrementar a qualidade de vida e diminuir a necessidade de transfusões sanguíneas. Também foi mencionada a importância de diversificar a oferta de tratamentos para a doença falciforme no SUS.

Recomendação final da Conitec

A 126ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 1º e 2 de fevereiro de 2024. No dia 1º de fevereiro de 2024, o Comitê de Medicamentos recomendou, de forma unânime, a incorporação, no SUS, da alfaepoetina para o tratamento de pacientes com doença falciforme apresentando declínio da função renal e piora dos níveis de hemoglobina conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, o Secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela incorporação, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, da alfaepoetina para o tratamento de pacientes com doença falciforme apresentando declínio da função renal e piora dos níveis de hemoglobina, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

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