

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

DERISOMALTOSE FÉRRICA

para o tratamento de pacientes adultos com anemia por deficiência de ferro, independente da causa, após falha terapêutica, intolerância ou contraindicação aos sais de ferro oral

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

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

Clarice Macedo Falcão

Marina de Paula Tiveron

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

DERISOMALTOSE FÉRRICA

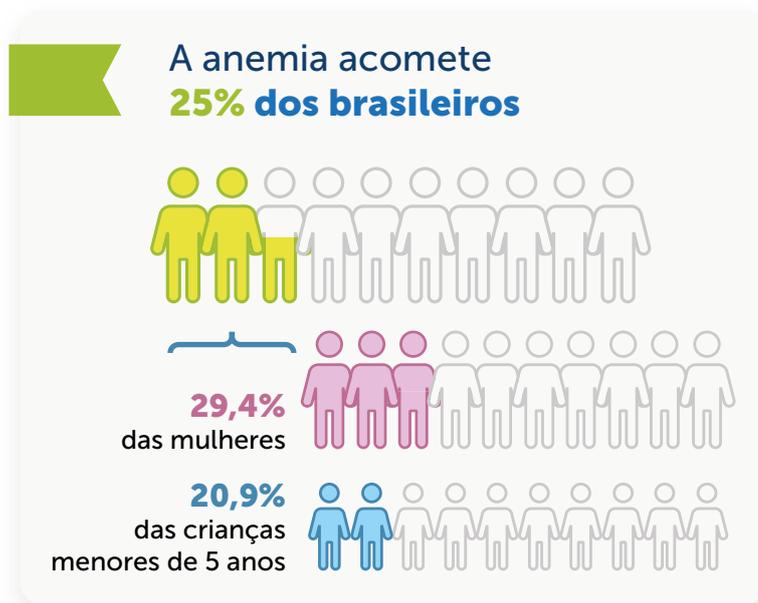
para o tratamento de pacientes adultos com anemia por deficiência de ferro, independente da causa, após falha terapêutica, intolerância ou contraindicação aos sais de ferro oral

O que é a anemia por deficiência de ferro?

A anemia é uma doença causada pela diminuição da quantidade de glóbulos vermelhos do sangue, que configura a diminuição da hemoglobina (proteína responsável pelo transporte de oxigênio dos pulmões para os tecidos do corpo) no sangue. Sua origem é diversa, sendo as causas mais comuns: a deficiência nutricional, problemas na produção de células sanguíneas, destruição acelerada de glóbulos vermelhos, doenças inflamatórias crônicas, hemorragias, gravidez e infecções crônicas.

A anemia tem se constituído em um grande problema de saúde pública global, uma vez que contribui para o aumento do adoecimento e da mortalidade, principalmente de mulheres e crianças em idade pré-escolar. Em 2021, estimativas apontaram prevalência mundial de 24,3% em todas as faixas etárias, afetando aproximadamente 2 bilhões de pessoas. Esta condição de saúde impacta a qualidade de vida dos pacientes, afetando negativamente sua saúde e seu desenvolvimento.

A anemia mais comum na população brasileira é a por deficiência de ferro, que impacta a capacidade de manter as funções fisiológicas adequadas. A causa deste tipo de anemia inclui a ingestão inadequada e a má absorção de ferro, hemorragias crônicas, gravidez e amamentação. Além disso, seus principais sintomas são: fadiga, palidez, fraqueza, tontura, falta de ar, unhas quebradiças e queda de cabelo. Dados da Pesquisa Nacional de Demografia e Saúde apontam que esta condição de saúde, no Brasil, acomete 25% na população geral, 20,9% das crianças menores de 5 anos e 29,4% das mulheres.



Como os pacientes com anemia são tratados no SUS?

O diagnóstico e tratamento para esta condição de saúde, no SUS, é orientado pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de anemia por deficiência de ferro. O diagnóstico clínico inclui a investigação dos seus principais sintomas, enquanto o laboratorial compreende os exames de sangue que permitem a contagem e análise das células sanguíneas, dos níveis de ferritina sérica, do índice de saturação da transferrina e da hemoglobina. Em relação ao tratamento, a recomendação é o uso de medicamentos com sulfato ferroso, via oral, administrados na forma de comprimidos, xaropes ou solução oral, ou ainda do sacarato de hidróxido férrico, pela via intravenosa.

A primeira opção de tratamento é o uso de medicamentos via oral, considerando que este é eficaz e possui baixo custo. Todavia, existem alguns pacientes que são intolerantes aos sais de ferro, que possuem doenças que tornam o uso de ferro contraindicado ou ainda aqueles cuja perda é maior que a reposição. Para esses casos, é necessário o uso de novos medicamentos para garantir a reposição de ferro.

Em 2023, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) recomendou dois novos medicamentos para os pacientes com intolerância ou contraindicação ao uso de ferro. O primeiro deles foi a ferripolimaltose, disponível nas versões de comprimido revestido de 100 mg, solução oral de 50 mg/mL e xarope de 10 mg/mL. O segundo medicamento foi a carboximaltose férrica (Ferinject®12), disponível em solução injetável intravenosa de 50 mg de ferro III/mL e que pode ser administrada em uma única dose em infusão rápida.

Medicamento analisado: derisomaltose férrica

A Pfizer Brasil Ltda solicitou à Conitec a incorporação, ao SUS, da derisomaltose férrica para o tratamento de pacientes adultos com anemia por deficiência de ferro, independentemente da causa, após falha terapêutica, intolerância ou contraindicação aos sais de ferro oral. O uso deste medicamento foi aprovado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) com as seguintes indicações: (i) para o tratamento de anemia por deficiência de ferro quando as preparações de ferro oral são ineficazes ou não podem ser utilizadas, e (ii) quando há necessidade clínica de administrar ferro rapidamente.

A derisomaltose férrica é apresentada em solução para infusão de 100 mg/mL, contendo, na sua embalagem, 1 frasco-ampola de 5 mL ou de 10 mL. Sua administração pode ser por via intravenosa, por injeção no dializador ou por perfusão, isto é, infusão por soroterapia. Em relação a sua posologia, é recomendado que seja realizada uma avaliação inicial para

determinar a necessidade individual de ferro e, com base neste resultado, realizar um cálculo para administrar a(s) dose(s) de ferro necessária(s). Após o uso do medicamento, indica-se realizar uma avaliação pós-reposição de ferro após quatro semanas e, caso seja necessária mais reposição, deve-se realizar um novo cálculo de acordo com a necessidade do paciente.

A Conitec analisou a eficácia e a segurança da derisomaltose férrica em comparação com o sacarato de hidróxido férrico IV e a carboximaltose férrica. Nesse sentido, verificou-se que não houve diferença significativa entre eles. Em relação ao evento adverso de hipofosfatemia, que é quando os níveis de fosfato ficam muito baixos, constatou-se similaridade entre a derisomaltose férrica e o sacarato de hidróxido férrico IV. Quando comparada à carboximaltose férrica, a tecnologia avaliada apresentou maior associação a eventos de hipofosfatemia. No entanto, em um dos estudos que apresentava esse desfecho, cerca de 95% dos pacientes com hipofosfatemia se recuperaram em até 70 dias. Outro aspecto analisado refere-se à qualidade de vida. Para esse desfecho, não foram identificados estudos comparando a tecnologia em avaliação com a carboximaltose férrica e naqueles que a comparavam com o sacarato hidróxido de ferro, não foi observada diferença em relação à qualidade de vida. Sobre a qualidade da evidência utilizada na análise, cabe destacar que esta era de confiança baixa à moderada e, por isto, faz-se necessário ponderar acerca da generalização dos seus resultados.

Outro aspecto analisado pela Conitec refere-se às questões econômicas. Em geral, verificou-se que o custo total do tratamento com a derisomaltose férrica seria maior do que o tratamento com sacarato de hidróxido de ferro e menor do que o tratamento com a carboximaltose férrica. Em relação ao impacto orçamentário, no SUS, foram realizadas duas análises, sendo que ambas demonstraram que a incorporação da derisomaltose férrica geraria uma economia para o sistema. Na primeira análise, a economia poderia variar de R\$ 7 milhões, no primeiro ano, podendo chegar a R\$ 39 milhões de reais, no quinto ano, acumulando R\$116 milhões de reais em cinco anos. Na segunda análise, a economia giraria em torno de 2 milhões de reais por ano, podendo chegar a R\$ 10 milhões de reais ao longo de cinco anos.

Perspectiva do Paciente

Foi aberta a Chamada Pública nº 37/2023 para inscrição de participantes para a Perspectiva do Paciente, durante o período de 11/10/2023 a 23/10/2023, e 16 pessoas se inscreveram. A seleção dos representantes titular e suplente ocorreu por meio de sorteio em plataforma online, cujo link foi disponibilizado para os inscritos assistirem em tempo real. O sorteio também foi gravado e enviado posteriormente a todos os inscritos.

Durante a sua apresentação, a representante titular declarou que participa de estudo clínico sobre a tecnologia em avaliação, sendo este o seu vínculo com a indústria. Contou que desde a infância tem anemia por insuficiência de ferro, vivenciando todos os sintomas desta condição de saúde. O primeiro tratamento começou na adolescência com o uso, via oral, do

noripurum. Como não teve respostas, precisou fazer infusão deste medicamento a cada seis meses. Porém, sempre que se aproximava a data da próxima infusão, as taxas dos seus exames de ferro e ferritina voltavam a cair.

Segundo a participante, foi quando se mudou para São Paulo que deu início a um novo tratamento. Inicialmente, voltou a fazer infusões de noripurum. No início, houve melhoras nas taxas dos seus exames de ferro e ferritina. No entanto, após quatro meses, elas voltaram a cair. Como segunda opção de tratamento, ela fez uso do Ferinject® (carboximaltose férrica), mas também sem resultado a longo prazo. Foi então que seu médico indicou o uso da derisomaltose férrica, sendo que em julho de 2023 a representante fez os exames para uso do medicamento e em agosto do mesmo ano fez as três infusões. Como parte do acompanhamento, refez posteriormente os exames e as taxas de ferro e ferritina estavam altas. Esse resultado ainda se mantém, após seis meses do uso da tecnologia em avaliação, diferentemente dos tratamentos anteriores.

A participante ainda pontuou que não percebeu nenhum evento adverso e que o uso da derisomaltose férrica impactou positivamente na sua qualidade de vida e na melhora dos sintomas. Por fim, foi questionada sobre o Ferinject® (carboximaltose férrica) e informou que fez uso deste medicamento em abril, antes do uso da derisomaltose férrica, mas sem impactos no seu tratamento.

O vídeo da ação na 126ª Reunião Ordinária está disponível [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por unanimidade, a incorporação, ao SUS, da derisomaltose férrica para o tratamento de pacientes adultos com anemia por deficiência de ferro, independente da causa, após falha terapêutica, intolerância ou contraindicação aos sais de ferro oral. Esse tema foi discutido durante a 126ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 1 e 2 de fevereiro de 2024. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou que as evidências científicas apresentadas demonstraram que este medicamento possui a mesma eficácia e segurança do que aqueles já disponibilizados, no SUS, para esta condição de saúde. Além disso, verificaram vantagens econômicas da derisomaltose férrica comparada à carboximaltose férrica, o que contribuiria para uma competitividade de mercado.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 6, durante 20 dias, no período de 08/03/2024 a 27/03/2024, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 30 contribuições da sociedade, 25 favoráveis à recomendação inicial da Conitec e cinco contrárias. Os argumentos favoráveis mencionaram a eficácia, praticidade e segurança da derisomaltose férrica; a necessidade de alternativas disponíveis em casos de falha terapêutica, intolerância ou contraindicação dos medicamentos atualmente disponíveis no SUS; o ganho de qualidade de vida; e o fato de ser uma tecnologia custo-efetiva. Em relação aos aspectos negativos associados à experiência com o medicamento, foram apresentados o custo elevado e alguns eventos adversos. As contribuições de caráter técnico-científico relacionadas à evidência clínica reforçaram os resultados positivos da derisomaltose férrica, como a inexistência de diferenças significativas em termos de eficácia e de segurança quando comparada aos comparadores sacarato de hidróxido férrico IV ou à carboximaltose férrica e a vantagem frente à carboximaltose por apresentar menos casos de hipofosfatemia. As contribuições acerca da avaliação econômica sugeriram que o medicamento pode reduzir riscos de desenvolvimento de comorbidades futuras, diminuindo visitas, tempo gasto, carga do sistema público, equipamentos e profissionais.

Recomendação final da Conitec

A 128ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 10, 11 e 12 de abril de 2024. No primeiro dia de reunião, o Comitê de Medicamentos recomendou a incorporação, ao SUS, da derisomaltose férrica para o tratamento de pacientes adultos com anemia por deficiência de ferro, independente da causa, após falha terapêutica, intolerância ou contraindicação aos sais de ferro oral. Para tanto, os membros do Comitê consideraram a superioridade da derisomaltose em relação aos comparadores (sacarato e carboximaltose); reconheceram as vantagens em relação à menor possibilidade de hipofosfatemia, à usabilidade da tecnologia e à análise econômica; e compreenderam que o medicamento pode ser mais uma alternativa terapêutica para a condição clínica no âmbito do SUS.

Recomendação final da Conitec

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 SUS, da derisomaltose férrica para o tratamento de pacientes adultos com anemia por deficiência de ferro, independente da causa, após falha terapêutica, intolerância ou contraindicação aos sais de ferro oral.

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