

Inotersena no SUS – Consulta pública nº 49

A Casa Hunter – Associação Brasileira dos Portadores da Doença de Hunter e Outras Doenças Raras vem através dessa, colaborar com a Consulta Pública nº 49 sobre nova terapêutica medicamentosa para Amiloidose Hereditária com Polineuropatia (PAF-TTR), o qual é uma importante tecnologia para a manutenção e preservação da vida dos pacientes com a Doença Rara.

A PAF-TTR possui uma expectativa de vida de 10 anos em média, se diagnosticada de forma precoce e se tratada de forma adequada¹.

Caracterizada como uma doença genética rara, a PAF-TTR é uma doença multissistêmica, progressiva, e que leva a uma condição debilitante e com alta capacidade de mortalidade.

Trata-se de uma condição causada por uma herança na mutação do gene TTR, o que leva a um acúmulo de fibrilas amiloides, manifestando-se com um quadro de polineuropatia sensitivo-motora autonômica e a disfunção de múltiplos órgãos, sendo também caracterizada como uma doença multissistêmica^{1,2}.

Conforme estudos publicados, o tratamento adequado pode, além de melhorar a qualidade de vida dos pacientes, a progressão da doença pode ser adiada^{3,4}.

Quando falamos de qualidade de vida dos pacientes, seus familiares e cuidadores, os pacientes acometidos pela PAF-TTR possuem um impacto significativamente negativo, incluindo alterações na saúde física, mental e no bem-estar emocional. O início das atividades incapacitantes é diretamente ligado à progressão da doença, que também geram o comprometimento do status financeiro da família como um todo. Juntando-se a isso, os pacientes com a condição rara PAF-TTR possuem a incapacidade de trabalhar, de contribuir com o país devido a evolução da doença quando não tratada de forma adequada⁵.

Além disso, a doença gera impacto social por perda de produtividade, absenteísmo no trabalho e aumento dos custos com assistência social. Portanto, a preservação e a melhora da qualidade de vida relacionada à saúde (QVRS) em pacientes com PAF-TTR pode ser considerada uma das principais metas do tratamento para essa população de pacientes.

Estudo de Fase 3 com o uso de Inotersena, medicamento em avaliação por essa comissão, demonstram a comprovação de sua eficácia e segurança, como avaliado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) anteriormente². Além disso, como forma de comprovar os resultados do estudo pivotal, estudos de extensão, demonstram a sua eficácia e segurança depois longo tempo de utilização. Comprovando que não haver eventos graves ou qualquer complicação com a sua utilização e em relação a desfechos de eficácia demonstram que inotersena retardou a progressão da polineuropatia associada à transtiretina e manteve a qualidade de vida em pacientes com PAF-TTR^{6,7}.

A Inotersena atua promovendo a supressão na síntese de transtirretina, ou seja, age antes da formação das proteínas amiloides, proteínas produzidas nos pacientes acometidos pela PAF-TTR, e possui eficácia em uma população ampla. Sendo assim, a Inotersena suprirá uma necessidade não atendida já que pacientes com estágios mais avançados da doença (estágio 2)

e que não são respondedores ao tratamento com Tafamidis, droga já incorporada, não possuem terapêutica disponível no país.

Finalizando a nossa contribuição, é necessário e imprescindível lembrar que a indisponibilidade de terapia efetiva para esses pacientes tende a levar ao aumento de demandas judiciais relacionada, uma vez que a sua eficácia no controle da doença é inegável, podendo levar ao consequente aumento de gastos públicos.

Sem mais, e certos da responsabilidade da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), a Casa Hunter segue à disposição para mais esclarecimentos.

Referência:

1. Pinto, et al. Brazilian consensus for diagnosis, management and treatment of transthyretin familial amyloid polyneuropathy. Arq Neuropsiquiatr. 2018.
2. Benson, et al. Inotersen Treatment for Patients with Hereditary Transthyretin Amyloidosis. N Engl J Med. 2018.
3. Ando, et al. Guideline of transthyretin-related hereditary amyloidosis for clinicians. Orphanet J Rare Dis. 2013.
4. Berk, et al. Inotersen Improves Quality of Life and Neuropathy in Patients with Hereditary Transthyretin (HATTR) Amyloidosis with Polyneuropathy: Results of the Phase 3 Study Neuro-TTR. Value Heal. 2018.
5. Acaster. PRO61 HEREDITARY TRANSTHYRETIN AMYLOIDOSIS CAREGIVER BURDEN STUDY. Value Heal. May; S347. 2019.
6. Brannagan, et al. Open-label extension of NEURO-TTR study in patients with hereditary transthyretin (hATTR) amyloidosis: long-term update. J Peripher Nerv Syst. 2018.
7. Brannagan, et al. Long - term efficacy and safety of inotersen for hereditary transthyretin amyloidosis : NEURO - TTR open - label extension 3 - year update. J Neurol. 2022.