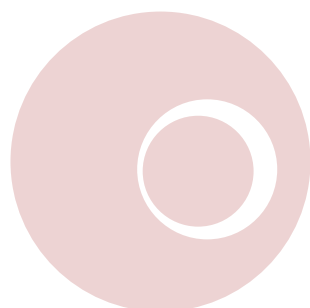


n. 100
publicado em abril/2019

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*FÓRMULA METABÓLICA
ISENTA EM METIONINA PARA
HOMOCISTINÚRIA CLÁSSICA*



RELATÓRIO PARA A SOCIEDADE

Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC e foi elaborado numa linguagem simples, de fácil compreensão, para estimular a participação da sociedade no processo de avaliação de tecnologias em saúde que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

Todas as recomendações da CONITEC são submetidas à consulta pública pelo prazo de 20 dias. Após analisar as contribuições recebidas na consulta pública, a CONITEC emite a recomendação final, que pode ser a favor ou contra a incorporação/exclusão/alteração da tecnologia analisada.

A recomendação da CONITEC é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a CONITEC, acesse <conitec.gov.br>

Homocistinúria Clássica (HCU)

A HCU é causada por uma alteração genética que leva a um erro na transformação de um aminoácido chamado metionina (presente nas proteínas de alimentos consumidos), levando a um acúmulo tóxico desse aminoácido e de seus derivados no organismo, entre eles, a homocisteína.

É uma doença de caráter hereditário (transmitida de pai para filho) e de curso lento e progressivo, que afeta todos os sistemas do corpo e cujas primeiras manifestações surgem nas crianças ainda pequenas, como atraso de crescimento e do desenvolvimento neuropsicomotor.

Sem diagnóstico e tratamento precoce, o paciente pode apresentar problemas de visão, escoliose (deformação na coluna), redução da densidade mineral dos ossos (DMO), tromboembolismo, acidentes vasculares cerebrais, retardo mental, manifestações psiquiátricas, entre outras.

No Brasil, existem pelo menos 80 pacientes diagnosticados, e o subdiagnóstico ou diagnóstico tardio acontece com frequência, uma vez que a doença não está incluída no Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN).

Como o SUS atua no tratamento da Homocistinúria Clássica:

A HCU pode ser classificada em três formas: responsiva, não-responsiva e com resposta intermediária à piridoxina (vitamina B6). O tratamento recomendado para pacientes responsivos é o uso de piridoxina 10 mg/Kg/dia, evitando-se dose acima de 500 mg/dia. Para os pacientes não responsivos, não há evidência científica suficiente sobre o benefício do uso a longo prazo. Todos os pacientes que apresentam deficiência metabólica da enzima cistationina \square -sintase (CBS), devem receber suplementação de ácido fólico e vitamina B12.

O tratamento dietético deve ser considerado para os pacientes que não atingiram níveis ideais de homocisteína, com a suplementação de piridoxina. A dieta pode ser usada como único tratamento ou como terapia adjuvante associada com a piridoxina e/ou betaína (substância que auxilia na absorção de proteínas, cálcio, vitamina B12 e ferro).

Tecnologia analisada: Fórmula metabólica isenta em metionina.

A Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE), solicitou à Conitec a incorporação de fórmula metabólica isenta em metionina para homocistinúria clássica. A fórmula metabólica isenta em metionina (FMIM), costuma ser usada em pacientes não responsivos à piridoxina a fim de suprir as necessidades metabólicas evitando o acúmulo de homocisteína.

De acordo com a Resolução da Diretoria Colegiada da ANVISA (RDC) Nº 27, de 6 de agosto de 2010, que dispõe sobre as categorias de alimentos e embalagens isentos e com obrigatoriedade de registro sanitário, as fórmulas isentas de metionina são isentas de registro. A quantidade de FMIM a ser utilizada varia conforme o peso do paciente e sua dieta, além de ser variável conforme a fórmula utilizada.



Os estudos selecionados para compor este relatório apresentam várias limitações, quanto ao delineamento e ao pequeno número de participantes. Foram encontrados apenas 3 estudos de observação de pacientes em uso da FMIM, que avaliaram alguns indicadores de controle da doença. Não foram avaliados estudos que demonstrassem o uso da FMIM e o aumento de sobrevida e qualidade de vida em pacientes com HCU. Quanto à segurança, não foram identificados efeitos indesejados com o uso da FMIM.

Em relação aos custos com a inclusão desse medicamento no SUS e considerando os dados obtidos na avaliação econômica, a principal limitação dessa avaliação é a incerteza quanto à população elegível ao tratamento devido à falta de dados publicados no Brasil. Essa incerteza reflete a grande amplitude nos gastos estimados para os cenários avaliados.

Recomendação inicial da Conitec

Os membros do plenário da Conitec, presentes na 67ª reunião ordinária, realizada em 14 de junho de 2018, consideraram a dificuldade no diagnóstico, as fragilidades encontradas nas evidências disponíveis e a ausência de dados para os desfechos considerados clinicamente relevantes como limitações para a tomada de decisão. De forma que ainda permanecem incertezas em relação à efetividade da fórmula no retardo da progressão da doença. Sendo assim, o plenário da Conitec recomendou inicialmente, por unanimidade, a não incorporação no SUS da fórmula metabólica isenta de metionina para homocistinúria clássica no SUS.

Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública entre os dias 06/07/2018 e 25/07/2018. Foram recebidas 746 contribuições, sendo 10 técnico-científicas e 736 sobre experiência ou opinião. De todas as colaborações recebidas, 98% discordaram com a não incorporação da FMIM para pacientes com HCU, destacando a importância da suplementação dietética. Desta forma, após avaliação das contribuições, o plenário da Conitec entendeu que a utilização de FMIM traz benefícios e aumento na sobrevida, mesmo quando os pacientes são diagnosticados tardiamente. Além disso, sugere-se a avaliação da inclusão da Triagem Neonatal Ampliada com Tandem no SUS para o diagnóstico precoce da HCU e de outras doenças metabólicas hereditárias.

Recomendação final da Conitec

A Conitec, durante a 76ª reunião ordinária, realizada no dia 04 de abril de 2019, recomendou, por unanimidade, a incorporação no SUS da fórmula metabólica isenta de metionina para homocistinúria clássica.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, o Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu incorporar a fórmula metabólica isenta de metionina para homocistinúria clássica, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2018/PTC_FMIM_homocistinuria_2018_CP.pdf.



<http://conitec.gov.br> twitter: @conitec_gov app: conitec

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS