



n. 109
publicado em agosto/2018

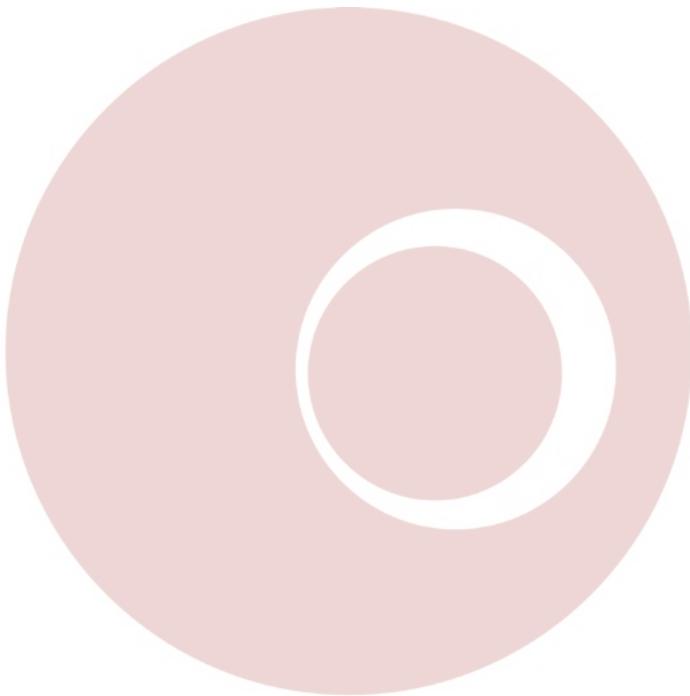
RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

SAPROPTERINA PARA O TRATAMENTO DA FENILCETONÚRIA

CONITEC

Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS



RELATÓRIO PARA 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>

Fenilcetonúria

A fenilcetonúria (FNC) é uma doença caracterizada por defeito da enzima fenilalanina hidroxilase (PAH), enzima do corpo responsável em metabolizar um aminoácido importante para o corpo e obtido através da alimentação, a fenilalanina (FAL). A FNC atinge homens e mulheres na mesma proporção, sendo classificada em FNC clássica, FNC leve ou hiperfenilalaninemia (HFA) não-FNC. A doença quando não tratada caracteriza-se por atraso do desenvolvimento neuropsicomotor, retardos mentais e crises convulsivas, devido ao acúmulo dos níveis de fenilalanina no corpo.

O diagnóstico de FNC deve ser feito no período neonatal. O Estatuto da Criança e do Adolescente (ECA), de 1990, determinou que hospitais e outros estabelecimentos de atenção à saúde façam exames que visem o diagnóstico e terapia de anormalidades no metabolismo do recém-nascido (RN), como também a orientação dos pais. Em 2001, foi criado e implantado o Programa Nacional de Triagem Neonatal (PNTN) e a triagem para FNC faz parte do programa desde seu início.

A prevalência de FNC varia de acordo com a população analisada, sendo influenciada por fatores genéticos e pela eficácia dos programas de triagem neonatal.

Como o SUS atua no controle e tratamento de fenilcetonúria

O principal tratamento consiste em dieta restrita em fenilalanina e uso de fórmula metabólica rica em aminoácidos, vitaminas e minerais e isenta neste aminoácido. O objetivo da terapia nutricional é deixar os níveis de fenilalanina no sangue dentro dos níveis terapêuticos, evitando o desenvolvimento do quadro clínico ou o agravamento das manifestações clínicas, devendo ter início imediatamente após o diagnóstico e ser realizada por toda a vida.

Tecnologia analisada: Sapropterina

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, solicitou à CONITEC a incorporação de sapropterina para tratamento de fenilcetonúria. A sapropterina é a forma sintética da tetrahidrobiopterina (BH4), um cofator produzido pelo corpo que atua no metabolismo da fenilalanina de forma auxiliar. Observa-se que cerca de 30% dos pacientes com FNC respondem ao uso da sapropterina, podendo assim, podem obter benefícios com o seu uso na redução dos níveis sanguíneos de fenilalanina, permitindo um melhor controle da doença.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante buscando comparar se o uso de dicloridrato de sapropterina, isolado ou associado à dieta e uso de fórmula metabólica é eficaz e seguro quando comparado ao uso de dieta e fórmula metabólica em pacientes com FNC. Nos estudos avaliados, constatou-se dificuldade na avaliação conjunta dos resultados, contudo, na análise individual, observou-se que nos pacientes responsivos à sapropterina houve uma redução importante nas concentrações sanguíneas de FAL. Por conta da diversidade dos estudos avaliados, considerou-se tratar-se de uma recomendação fraca a favor da inclusão da sapropterina no SUS.

O impacto orçamentário calculado para o tratamento levando em consideração o custo anual das intervenções e a projeção do número de pacientes por intervenção, a incorporação da sapropterina geraria um impacto orçamentário incremental de aproximadamente R\$ 79,3 milhões em 2019 e R\$ 299,7 milhões após 5 anos.

Recomendação inicial da Conitec

Os membros do Plenário da CONITEC, presentes na 69^a reunião ordinária realizada em 02 de agosto de 2018, diante das informações adicionais apresentadas, consideraram que, apesar da população-alvo da atual proposta estar restrita aos pacientes com FCN clássica e leve, não foram apresentadas novas e robustas evidências, além do alto custo que a tecnologia representa frente ao benefício esperado.

Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente, pela não incorporação no SUS da sapropterina para fenilcetonúria (FCN).

O assunto está agora em consulta pública para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema. Para participar, preencha o formulário eletrônico disponível em:

<<http://conitec.gov.br/consultas-publicas>>

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em:

<http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2018/Relatorio_Sapropterina_Fenilcetonuria_CP43_2018.pdf>

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