



n. 127

publicado em outubro/2018

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*ECULIZUMABE PARA TRATAMENTO  
DE PACIENTES COM HEMOGLOBINÚRIA  
PAROXÍSTICA NOTURNA*

**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](http://conitec.gov.br)>

## Hemoglobinúria paroxística noturna

A Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma doença rara, com incidência anual estimada em 1,3 novos casos por um milhão de indivíduos. Há poucos dados sobre a distribuição desta doença, não apenas por sua raridade, mas também pela dificuldade de diagnóstico. A HPN pode ocorrer em qualquer idade, mas a maioria dos pacientes é diagnosticada entre a terceira e a quinta década de vida. É definida como uma anemia crônica, provocada por um defeito na formação da membrana das hemácias (células vermelhas do sangue). O termo noturno está relacionado ao período do dia em que se observa maior taxa de destruição das hemácias nas pessoas portadoras da doença.

Pacientes com HPN também podem apresentar sinais e sintomas não hematológicos (ou seja, sintomas não relacionados ao sangue), tais como alterações no intestino, no coração, nos pulmões, no cérebro e nos rins. Porém, as principais causas de morte dos pacientes com HPN são trombose (formação de um coágulo sanguíneo), infecções decorrentes da diminuição de células vermelhas, células brancas e plaquetas no sangue, síndrome mielodisplásica (um tipo de câncer onde a medula óssea produz células defeituosas ou ainda sem o amadurecimento suficiente para a corrente sanguínea) ou outras doenças relacionadas à medula óssea, podendo ainda ocorrer hemorragia fatal nos pacientes que estão com pouca quantidade de plaquetas no sangue (plaquetopênicos).

O diagnóstico da HPN não é simples. Por se tratar de uma doença rara, com manifestações clínicas diversas, pode levar tempo até a detecção da alteração no sangue. Recomenda-se a investigação de HPN em indivíduos com hemoglobinúria e teste de Coombs negativo, principalmente se houver indícios de hemólise e deficiência de ferro.

## Como o SUS atua no tratamento hemoglobinúria paroxística noturna

O tratamento da HPN é baseado em sintomas apresentados no dia a dia, com o uso de transfusões sanguíneas, anticoagulação e suplementação com ácido fólico e ferro. Essas intervenções objetivam, principalmente, a redução da anemia e dos episódios tromboembólicos.

## Tecnologia analisada: eculizumabe

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos (SCTIE), solicitou à CONITEC análise da proposta de incorporação de eculizumabe para o tratamento de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). O eculizumabe atua bloqueando a resposta inflamatória do organismo e a sua capacidade de atacar e destruir as próprias células sanguíneas. É indicado para o tratamento de hemoglobinúria paroxística noturna em crianças e adultos.

A CONITEC analisou os estudos apresentados pelo demandante e avaliou as evidências científicas sobre eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário do eculizumabe para o tratamento de Hemoglobinúria Paroxística Noturna. As evidências demonstraram que, ainda que o eculizumabe reduza a necessidade de transfusão sanguínea, esta não foi completa em todos os casos, o mesmo se observando para a suspensão do uso de anticoagulantes.



Os estudos apresentados possuem baixa qualidade metodológica (possuem grandes limitações), o que diminui a confiança nos resultados apresentados. Importante destacar que nem todos os pacientes podem se beneficiar do uso do eculizumabe. Além disso, estudos demonstraram que 15% dos pacientes, independente do tratamento, podem evoluir para remissão espontânea da doença, demonstrando uma importante perda na compreensão do curso natural da doença.

Observou-se que o eculizumabe apresenta um preço extremamente elevado frente aos possíveis benefícios. Em relação aos custos com a inclusão desse medicamento no SUS e considerando os dados obtidos na avaliação econômica, uma possível incorporação de eculizumabe geraria um custo variável em 3 anos de aproximadamente R\$ 10 bilhões.

## Recomendação inicial da Conitec

Os membros do plenário da CONITEC, presentes na 71ª reunião ordinária, realizada em 04 de outubro de 2018, consideraram que as evidências clínicas apresentadas são frágeis e os resultados obtidos com o tratamento não comprovaram aumento no tempo de vida dos pacientes tratados ou na qualidade de vida dos indivíduos com a doença. Sendo assim, o plenário da CONITEC recomendou inicialmente, por unanimidade a não inclusão no SUS do eculizumabe para tratamento de pacientes com HPN.

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/Relatorios/2018/Recomendacao/Relatorio\\_Eculizumabe\\_HemoglobinuriaParoxisticaNoturna\\_CP63\\_2018.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Recomendacao/Relatorio_Eculizumabe_HemoglobinuriaParoxisticaNoturna_CP63_2018.pdf) >



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

**CONITEC** Comissão Nacional de  
Incorporação de  
Tecnologias no SUS