

# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

**ECULIZUMABE**

Para Tratamento da  
Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica

**CONITEC**





Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde — 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, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde - SCTIE, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a Conitec, acesse:

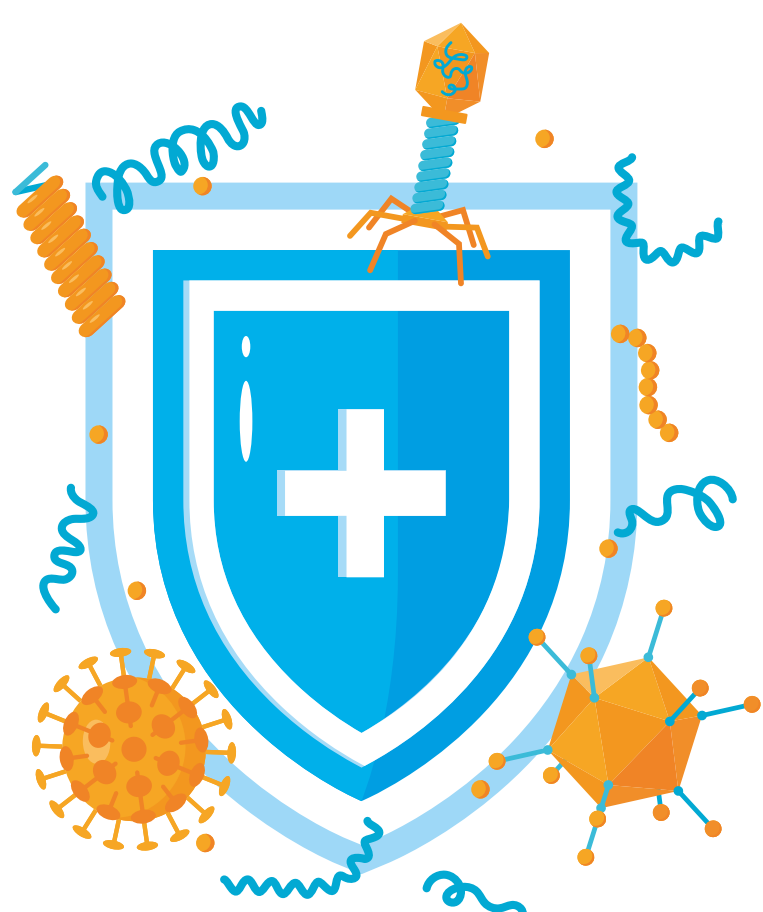
[conitec.gov.br](http://conitec.gov.br)

# ECULIZUMABE

## PARA TRATAMENTO DA SÍNDROME HEMOLÍTICA URÊMICA ATÍPICA

### O que é a síndrome hemolítica urêmica atípica (SHUa)?

A SHUa é uma doença grave e muito rara que desregula parte do sistema de defesa do organismo (sistema complemento) e provoca lesões na parede interna dos vasos sanguíneos.



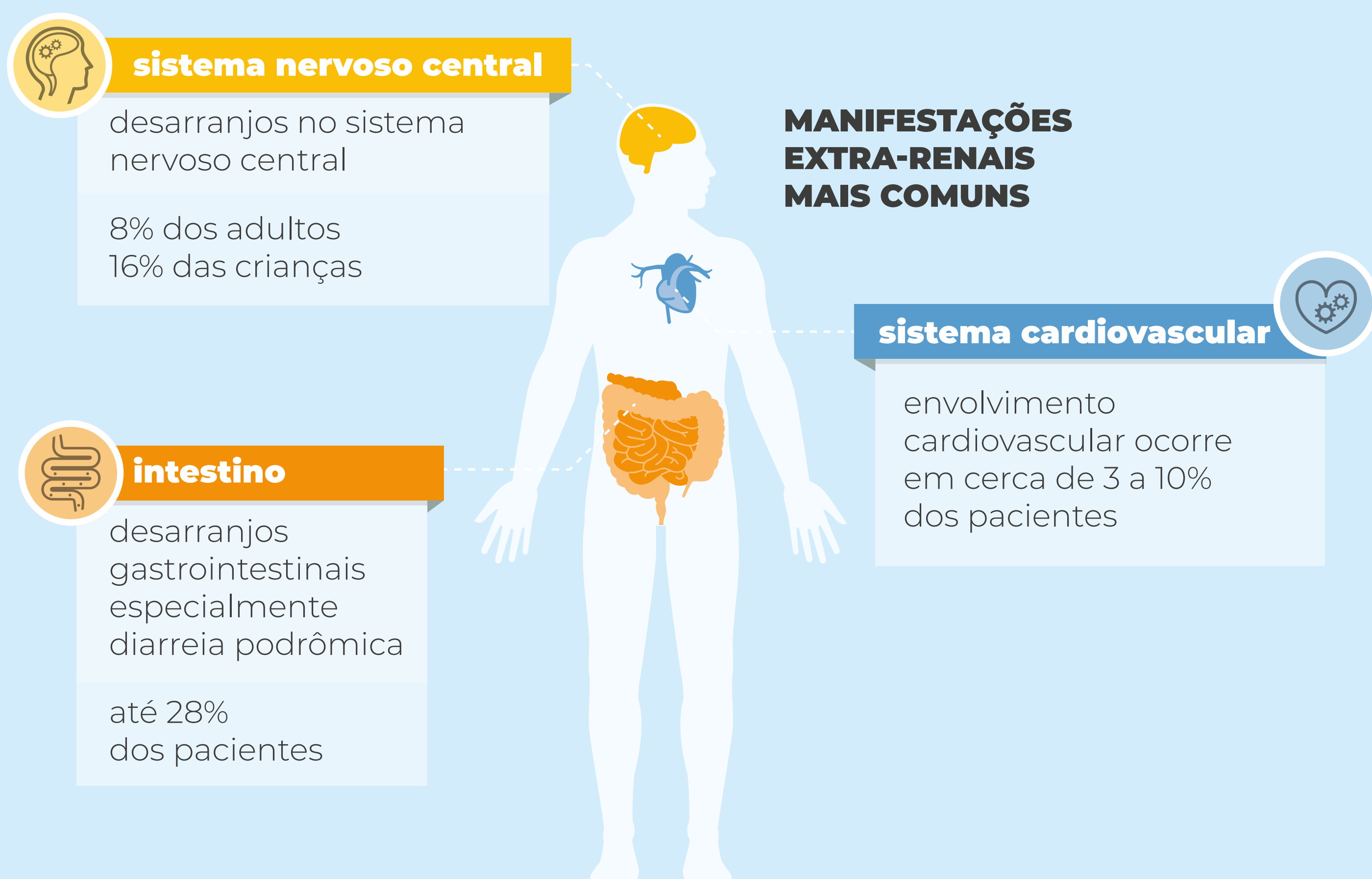
#### **SISTEMA COMPLEMENTO**

É o sistema responsável por atacar e destruir bactérias, vírus ou células corporais alteradas e remover restos celulares.

Essa desregulação causa danos em diversos órgãos, sendo mais evidenciada nos rins e nas células do sangue.



Outras manifestações mais comuns são: desarranjos no sistema nervoso central, como AVC, afetando 8% dos adultos e 16% das crianças; gastrointestinais, especialmente diarreia em até 28% dos pacientes. O envolvimento cardiovascular ocorre em cerca de 3 a 10% dos pacientes.



**Mas porque atípica?** Essa é a forma mais rara da Síndrome Hemolítica Urêmica, representa apenas 10% dos casos. Na forma mais comum, a doença, é causada por bactérias produtoras de uma toxina específica, a Shiga-toxina. Em cerca de 10% dos casos de SHU, a causa não está associada com essa infecção e, então, a doença passa a ser classificada como Síndrome Hemolítica Urêmica atípica (SHUa).

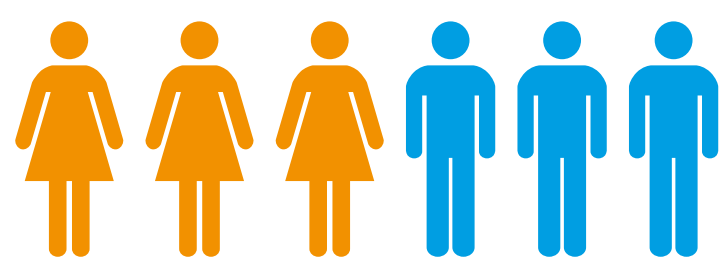


Não há um teste laboratorial específico para confirmação da SHUa, sendo o diagnóstico baseado nos sintomas do paciente e no resultado de diversos exames.

A cada 100 casos, 60 são diagnosticados na infância e o restante na idade adulta. Na infância, a doença afeta igualmente meninos e meninas, entretanto, quando se apresenta entre os adultos, o acometimento é mais frequente nas mulheres

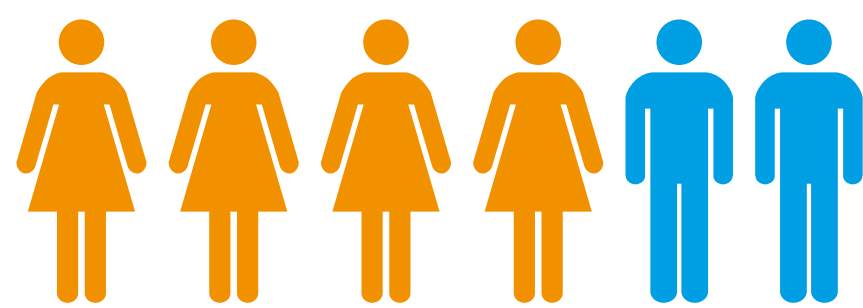


A cada **100 casos, 60** são diagnosticados **na infância** e o **restante na idade adulta**, acometendo **mais as mulheres**.



**CRIANÇAS**

Afeta igualmente meninos e meninas.



**ADULTOS**

O acometimento é mais frequente nas mulheres



## Como os pacientes com SHUa são tratados no SUS?

Atualmente, não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde para o tratamento da SHUa. As opções terapêuticas disponíveis buscam aumentar a qualidade de vida do paciente, diminuindo sintomas e consequências da doença, e incluem:

- transplantes renal e/ou hepático
- terapia plasmática



O plasma sanguíneo é a **parte líquida do sangue e corresponde a 55% do volume total**. Nele, proteínas, sais minerais, gás carbônico e outras substâncias estão dissolvidas em água. **A Terapia Plasmática** tem por **objetivo eliminar as proteínas reguladoras anormais, os anticorpos que causam a doença** e, ao mesmo tempo, **fazer a suplementação com proteínas reguladoras normais**.



## Medicamento analisado: eculizumabe

O eculizumabe atua bloqueando a resposta inflamatória e impedindo que o próprio organismo destrua suas células. A Conitec analisou as evidências científicas sobre eficácia, efetividade, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário.

**eficácia**  
**efetividade**  
**segurança**  
**custo-efetividade**  
**impacto orçamentário**







**Infecção  
Generalizada**  
principal reação  
adversa

Apesar das evidências serem incertas, algumas apresentaram redução dos sinais e sintomas e melhora da qualidade de vida. A reação adversa mais grave foi a infecção generalizada. Por isso, há a indicação de que todos os pacientes devam ser vacinados (vacina meningocócica) antes de receber este medicamento.

**todos os pacientes  
devam ser vacinados  
(meningocócica)**  
antes de receber  
este medicamento



Não foi possível concluir sobre a eficácia e segurança, sendo necessária a realização de mais estudos.



**segurança**



**eficácia**

**necessários  
maiores estudos**



# Impacto Orçamentário

três cenários { **100%**  
**30 a 50%**  
**50 a 70%**  
utilizaram  
o eculizumabe

Estimativa  
**adultos**

entre  
**R\$ 3,185  
trilhões**  
(599 pacientes)

e  
**R\$ 728,4  
bilhões**  
(364 pacientes)

Estimativa  
**pediátrica**

entre  
**R\$ 2,49  
bilhões**  
(899 pacientes)

e  
**R\$ 569,9  
milhões**  
(546 pacientes)

Na análise de impacto orçamentário, foram considerados três cenários, um no qual todos os pacientes com SHUa utilizaram o eculizumabe e os outros com quota de mercado variando de 30 a 50% e 50 a 70%. Estimou-se que o impacto orçamentário pode variar de R\$ 3.185.292.280,56 (599 pacientes) a R\$ 728.402.942,29 (364 pacientes) na população adulta e de R\$ 2.490.978.820,07 (899 pacientes) a R\$ 569.939.901,84 (546 pacientes) na população pediátrica.

A avaliação desse medicamento para incorporação no SUS como opção terapêutica para SHUa é uma demanda do próprio Ministério da Saúde, por meio da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE).

## Recomendação inicial da Conitec

O plenário da Conitec, na 79ª reunião ordinária, realizada nos dias 3 e 4 de julho de 2019, recomendou inicialmente a não incorporação no SUS de eculizumabe para o tratamento de pacientes com SHUa. Considerou-se que existem incertezas sobre a eficácia do eculizumabe, ao mesmo tempo em que o seu uso foi associado a uma alta frequência de reações adversas graves. Além disso, o diagnóstico é de difícil conclusão e a incorporação deste medicamento apresenta um elevado impacto orçamentário, que não se justifica frente a essas incertezas.

A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 20 dias.