

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 Insu-
mos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde - SCTIE, que decide sobre quais medicamentos, pro-
dutos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

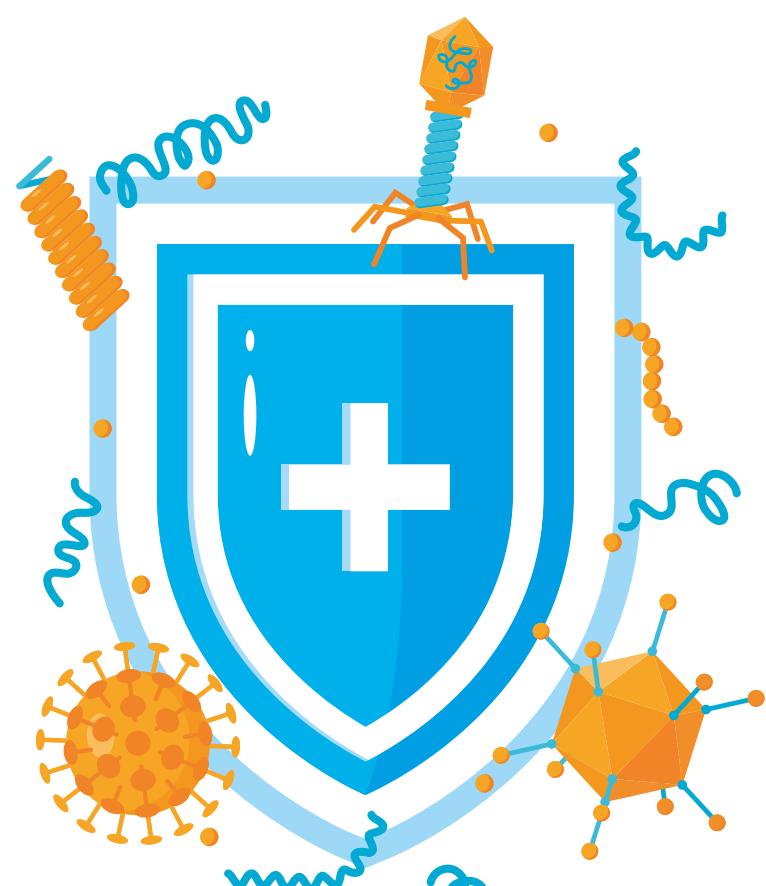
Para saber mais sobre a Conitec, acesse:
conitec.gov.br

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.

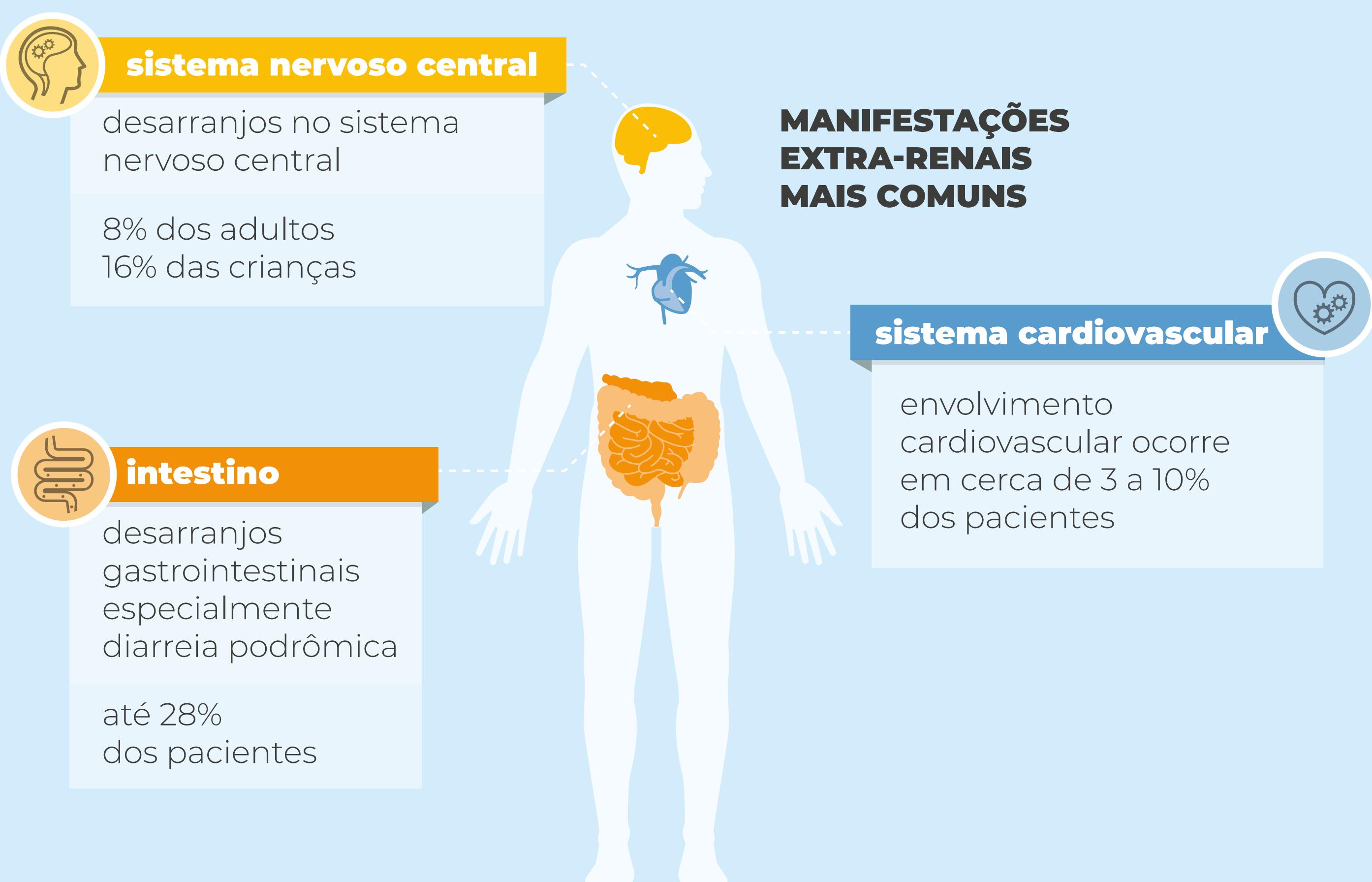


SISTEMA COMPLEMENTO

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.

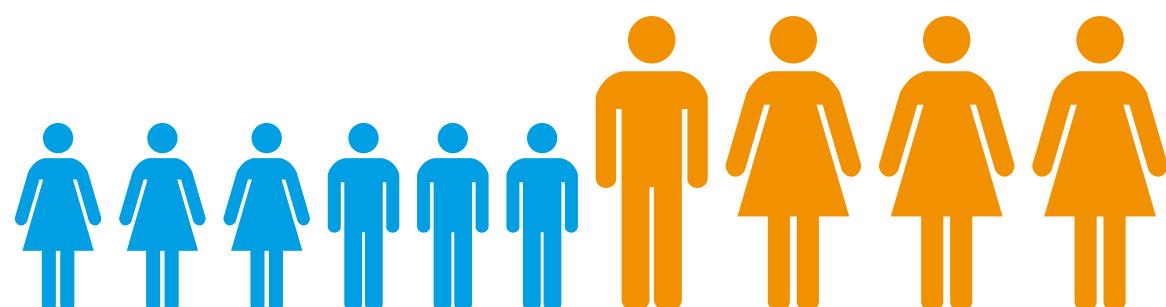
Outras manifestações mais comuns são: desarranjos no sistema nervoso central, como AVC, afetando 8% dos adultos e 16% das crianças; gastrointestinais, especialmente diarreia em até 28% dos pacientes. O envolvimento cardiovascular ocorre em cerca de 3 a 10% dos pacientes.



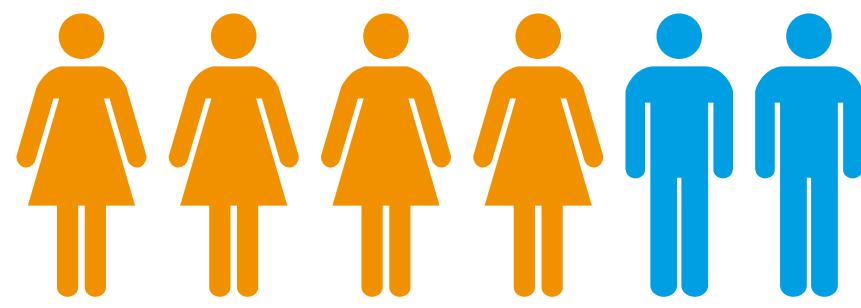
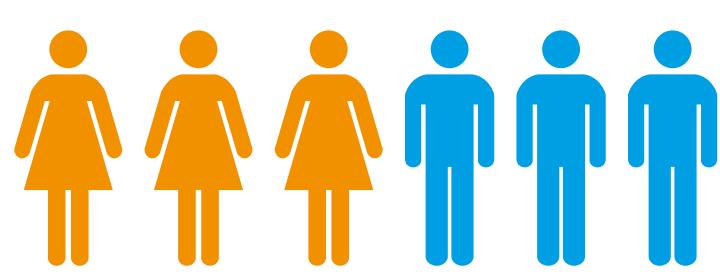
Mas porque atípica? Essa é a forma mais rara da Síndrome Hemolítica Urêmica, representa apenas 10% dos casos. Na forma mais comum, a doença, é causada por bactérias produtoras de uma toxina específica, a Shiga-toxina. Em cerca de 10% dos casos de SHU, a causa não está associada com essa infecção e, então, 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
devem 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 79^a 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.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 1280 contribuições, sendo 280 técnico-científicas e 1000 de experiência ou opinião, durante a consulta pública, entre os dias 24/07/2019 e 12/08/2019. Após analisar as contribuições, o plenário da Conitec entendeu que não foram apresentados novos dados que pudessem alterar a recomendação inicial de não incorporação.

Recomendação final da Conitec

O plenário da Conitec, durante a 81^a reunião ordinária, nos dias 04 e 05 de setembro de 2019, recomendou a não

incorporação, ao SUS, do eculizumabe para tratamento da síndrome hemolítico urêmica atípica.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, o Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela não incorporação do eculizumabe para tratamento da síndrome hemolítica urêmica atípica, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relatorio_Eculizumabe_SHUa.pdf.