



# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

**TRANSPLANTE ALOGÊNICO DE CÉLULAS-TRONCO  
HEMATOPOIÉTICAS DE MEDULA ÓSSEA  
PARA TRATAMENTO DE HEMOGLOBINÚRIA  
PAROXÍSTICA NOTURNA**

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

# **TRANSPLANTE ALOGÊNICO DE CÉLULAS-TRONCO HEMATOPOIÉTICAS DE MEDULA ÓSSEA**

**PARA TRATAMENTO DE HEMOGLOBINÚRIA  
PAROXÍSTICA NOTURNA**

## **O que é a hemoglobinúria paroxística noturna?**

A hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma doença rara que pode ocorrer em qualquer idade, sendo a maioria dos pacientes diagnosticados entre 30 e 50 anos. É definida como uma anemia crônica, provocada por um defeito na formação da membrana das hemárias (células vermelhas do sangue). O termo noturno está relacionado ao período em que se observa maior taxa de destruição das hemárias nas pessoas portadoras da doença. O diagnóstico da HPN pode levar tempo até a detecção da alteração no sangue. Pacientes com a doença também podem apresentar sinais e sintomas não relacionados ao sangue, tais como alterações no intestino, no coração, nos pulmões, no cérebro e geniturinários. Porém, as principais causas de morte dos pacientes com HPN são trombose (formação de um coágulo sanguíneo), infecções decorrentes da diminui-

ção de células vermelhas, células brancas e plaquetas no sangue, síndrome mielodisplásica (um tipo de câncer onde a medula óssea produz células defeituosas ou imaturas) ou outras doenças relacionadas à medula óssea, podendo ainda ocorrer hemorragia fatal nos pacientes que estão com pouca quantidade de plaquetas no sangue.

## Como os pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna são tratados no SUS?

O tratamento da HPN inclui abordagens farmacológicas ou não farmacológicas. Tem como objetivo a atenuação da anemia e dos episódios tromboembólicos. Algumas das intervenções são o uso de transfusões sanguíneas, anticoagulação e suplementação com ácido fólico e ferro. A abordagem não farmacológica mais usada é a transfusão de sangue. Já na abordagem farmacológica tem-se o medicamento eculizumabe, incorporado ao SUS em 2018 (Portaria SCTIE/MS nº 77 de 17 dezembro de 2018). Resalta-se que Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da HPN está em processo de elaboração.

# Procedimento analisado: transplante alogênico de células-tronco hematopoiéticas de medula óssea

A Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insu-  
mos Estratégicos em Saúde (SCTIE) solicitou à Conitec a  
incorporação do procedimento de transplante alogênico de  
células-tronco hematopoiéticas de medula óssea para tra-  
tamento de HPN.

O Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas (TCTH)  
é uma técnica utilizada no tratamento de várias doenças  
do sangue. Sabe-se que as células que circulam no san-  
gue (glóbulos vermelhos, glóbulos brancos e plaquetas)  
decorrem de uma única célula, chamada de célula-tronco  
(ou também de “célula progenitora” ou de “célula proge-  
nitora hematopoiética”). As células-tronco são produzidas  
na medula óssea e também são encontradas em grande  
quantidade no cordão umbilical. Desse modo, o TCTH con-  
siste em fornecer ao paciente as células tronco que podem  
ser retiradas dele próprio (transplante autólogo), de um do-  
ador compatível (transplante alogênico) ou até mesmo de  
células do cordão umbilical. Assim, as células-tronco doa-  
das (saudáveis) vão se abrigar na medula óssea, fazendo  
com que ela produza novas células sanguíneas normais.

A secretaria executiva da Conitec analisou os estudos  
e constataram que o transplante tem alto potencial de  
cura para os pacientes com HPN. Os estudos identificados

apontaram que não ocorreu evento trombótico nem rejeição ao transplante. Em relação à avaliação econômica, foi considerada uma média de 3 pacientes por ano, representando um impacto orçamentário de R\$ 2 milhões, em um período de 5 anos.

## **Recomendação inicial da Conitec**

O plenário da Conitec, na 81<sup>a</sup> reunião ordinária da Comissão, realizada nos dias 04 e 05 de setembro de 2019, considerou que o transplante tem um alto poder de cura para os pacientes com a doença. Sendo assim, a Conitec recomendou inicialmente a ampliação de uso, no SUS, do Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas para o tratamento de hemoglobinúria paroxística noturna, com fatores de risco para pior evolução da doença e morte.

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://formsus.datasus.gov.br/site/formulario.php?id\\_aplicacao=50705](http://formsus.datasus.gov.br/site/formulario.php?id_aplicacao=50705).

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: [http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relatorio\\_NT\\_TCTH\\_HPN\\_CP\\_57\\_2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2019/Relatorio_NT_TCTH_HPN_CP_57_2019.pdf).

## Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública entre os dias 18 a 27/09/2019. Foram recebidas 37 contribuições, sendo 2 técnico-científicas e 35 de experiência ou opinião. A maioria das contribuições concordou com a recomendação inicial da Conitec para ampliação do uso do TCTH para pacientes com HPN. Após análise destas, o Plenário manteve a recomendação inicial.

## Recomendação final da Conitec

A Conitec, durante a 82<sup>a</sup> reunião ordinária, realizada nos dias 9 e 10 de outubro 2019, recomendou a ampliação do uso do transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas de medula óssea para tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna.

## 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 pela ampliação do uso do transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas para o tratamento de hemoglobinúria paroxística noturna, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) 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/Relatorios/2019/Relatorio\\_TransplanteCelHematopoieticas\\_HemoglobinuriaParoxisticaNoturna.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relatorio_TransplanteCelHematopoieticas_HemoglobinuriaParoxisticaNoturna.pdf).