



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 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

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 hemácias (células vermelhas do sangue). O termo noturno está relacionado ao período em que se observa maior taxa de destruição das hemácias 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 diminuição

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). Ressalta-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 Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE) solicitou à Conitec a incorporação do procedimento de transplante alogênico de células-tronco hematopoiéticas de medula óssea para tratamento 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 sangue (glóbulos vermelhos, glóbulos brancos e plaquetas) decorrem de uma única célula, chamada de célula-tronco (ou também de “célula progenitora” ou de “célula progenitora hematopoiética”). As células-tronco são produzidas na medula óssea e também são encontradas em grande quantidade no cordão umbilical. Desse modo, o TCTH consiste em fornecer ao paciente as células tronco que podem ser retiradas dele próprio (transplante autólogo), de um doador compatível (transplante alogênico) ou até mesmo de células do cordão umbilical. Assim, as células-tronco doadas (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 81ª 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.

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 82ª 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.