



RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

**ALFAVESTRONIDASE
NO TRATAMENTO DE
MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO VII**



Conitec

2020 Ministério da Saúde.

É permitida a reprodução parcial ou total desta obra, desde que citada a fonte e que não seja para venda ou qualquer fim comercial.

A responsabilidade pelos direitos autorais de textos e imagens desta obra é do Ministério da Saúde.

Elaboração, distribuição e informações

MINISTÉRIO DA SAÚDE

Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovações em Saúde -

DGITIS

Coordenação-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde - CGGTS

Coordenação de Incorporação de Tecnologias - CITEC

Esplanada dos Ministérios, bloco G, Edifício Sede, 8º andar

CEP: 70058-900 – Brasília/DF

Tel.: (61) 3315-2848

Site: <http://conitec.gov.br/>

E-mail: conitec@saud.gov.br

Elaboração do relatório

COORDENAÇÃO DE INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS – CITEC/CGGTS/DGITIS/

SCTIE/MS

Elaboração do texto

Odete Amaral da Silva

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Bruna Cabral de Pina Viana

Clarice Moreira Portugal

Fabiana Raynal Floriano

Getulio Cassemiro de Souza Júnior

José Octávio Beutel

Patrícia Mandetta Gandara

Layout e diagramação

Leo Galvão

Supervisão

Clementina Corah Lucas Prado – Coordenadora-Geral CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

Vania Cristina Canuto Santos – Diretora DGITIS/SCTIE/MS



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

ALFAVESTRONIDASE NO TRATAMENTO DE MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO VII

0 que é a mucopolissacaridose tipo VII?

A mucopolissacaridose ou MPS é o termo utilizado para denominar um grupo de doenças raras e hereditárias que se caracterizam pela falta ou deficiência de proteínas que auxiliam as reações químicas que acontecem no organismo, importantes na digestão de determinados tipos de açúcares no organismo (os mucopolissacarídeos). Por conta dessa deficiência, as pessoas com a doença apresentam alguns distúrbios no funcionamento de seus órgãos.

Na mucopolissacaridose tipo VII (MPS VII), também chamada de síndrome de Sly, ocorre a falta da substância responsável pela degradação das glicosaminoglicanas (GAGs), ocasionando o acúmulo destes em tecidos e órgãos, causando sintomas como atraso no desenvolvimento, retardamento mental, baixa estatura e dificuldade de locomoção, problemas respiratórios e cardíacos e aumento do fígado e baço.

Por ser hereditária, o tipo VII pode ser transmitido de pais para filhos, ainda que os pais não manifestem a doença. A expectativa de vida é reduzida devido às complicações da doença, cerca de 42% dos pacientes morrem

até os 35 anos. Estima-se que, no mundo, são registrados menos de 200 casos por ano. A Sociedade Brasileira de Genética apresentou um estudo, em 2019, em que foram identificados 22 casos de MPS VII no período de 15 anos no Brasil. Outro estudo revelou que, no Brasil, a doença atinge menos de 3 pessoas em cada 10 milhões de nascidos vivos.

O diagnóstico precoce nem sempre é possível, pois, os pacientes podem apresentar diversas características difíceis de avaliar somente durante uma consulta médica. A doença pode ser detectada no exame de urina pela ausência da glicosaminoglicana e também por meio de testes genéticos moleculares.

Como os pacientes com mucopolissacaridose tipo VII são tratados no SUS?

Atualmente, não há Protocolo Clínico de Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde para o tratamento da mucopolissacaridose tipo VII. Porém, já existem protocolos para o tratamento dos tipos I, II, IV A e VI. As opções de tratamento para a MPS VII consistem em terapia de suporte e tratamento sintomático a fim de melhorar a qualidade de vida do paciente. As alternativas de tratamento mais comuns são as cirurgias (reparo da hérnia, prótese de quadril e fusão cervical), antibióticos e fisioterapia.

Medicamento analisado: alfavestronidase

A Ultragenyx Brasil Farmacêutica Ltda solicitou à Conitec a avaliação de incorporação da alfavestronidase para tratamento de mucopolissacaridose VII. A alfavestronidase atua degradando os GAGs acumulados no organismo. A Conitec analisou os estudos que trataram dos resultados esperados (eficácia), segurança e impacto orçamentário do medicamento. A alfavestronidase demonstrou melhora em vários aspectos analisados, como no teste de 6 metros de caminhada, na função pulmonar, nos sintomas de fadiga, na frequência escolar, nos hábitos alimentares e também diminuição no uso de suporte respiratório após 164 semanas de tratamento. O medicamento foi considerado seguro. Foi calculado um impacto orçamentário para cinco anos de R\$ 467 milhões, com previsões de gastos médios anuais de R\$ 93 milhões.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação no SUS da alfavestronidase para mucopolissacaridose tipo VII. Esse tema foi discutido durante a 85^a reunião ordinária da Comissão, realizada nos dias 4 e 5 de fevereiro de 2020. Na ocasião, o Plenário considerou que o tempo de mercado e a experiência clínica com o medicamento não são considerados suficientes. Além disso, o impacto

orçamentário é relevante e custará 3 milhões de reais por paciente por ano.

O assunto esteve disponível na consulta pública nº 03, durante 20 dias, no período de 21/02/2020 a 11/03/2020, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 83 contribuições, sendo 13 técnico-científicas e 70 sobre experiência ou opinião. A maioria das contribuições discordou da recomendação preliminar da Conitec. A principal evidência apresentada foi o estudo de Harmatz e colaboradores (2020), que ainda não tinha sido publicado no momento da elaboração do relatório. O estudo evidenciou que o efeito da terapia de reposição enzimática com alfavestronidase na diminuição da excreção urinária de glicosaminoglicanos foi mantido durante o período de acompanhamento dos pacientes. Além disso, muitas contribuições citaram que o impacto orçamentário e alguns aspectos metodológicos, como peso médio e quantitativo dos pacientes, estavam superestimados.

Recomendação final da Conitec

A Conitec, durante a 88^a reunião ordinária, realizada no dia 7 de julho de 2020, recomendou a incorporação da alfavestronidase para o tratamento de mucopolissacari-

dose tipo VII, mediante avaliação da efetividade e reapresentação para a Comissão após três anos e elaboração de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. A alteração da recomendação preliminar foi devido ao recebimento de evidências que demonstraram segurança e efetividade da terapia, além da possibilidade de redução do impacto orçamentário se demonstrado que o peso médio e o número de pacientes seriam menores do que os apresentados inicialmente.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, o secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu incorporar a alfavestronidase para o tratamento de mucopolissacaridose tipo VII, condicionado ao monitoramento dos resultados, à reavaliação pela Conitec após três anos de uso e à elaboração de Protocolo Clínico 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/2020/Relatorio_de_Recomendacao_Alfavestronidase_mucopolissacaridose_540_2020.pdf.