



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

AMPLIAÇÃO DE USO DO SIROLIMO PARA
TRATAMENTO DE INDIVÍDUOS COM
LINFANGIOLEIOMIOMATOSE (LAM)

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 Inovação 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@saude.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 (ATS) que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

As recomendações da Comissão 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 ou alteração da tecnologia analisada.

A recomendação final é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde - SCTIE/MS, que decide sobre quais tecnologias em saúde serão disponibilizadas no SUS.

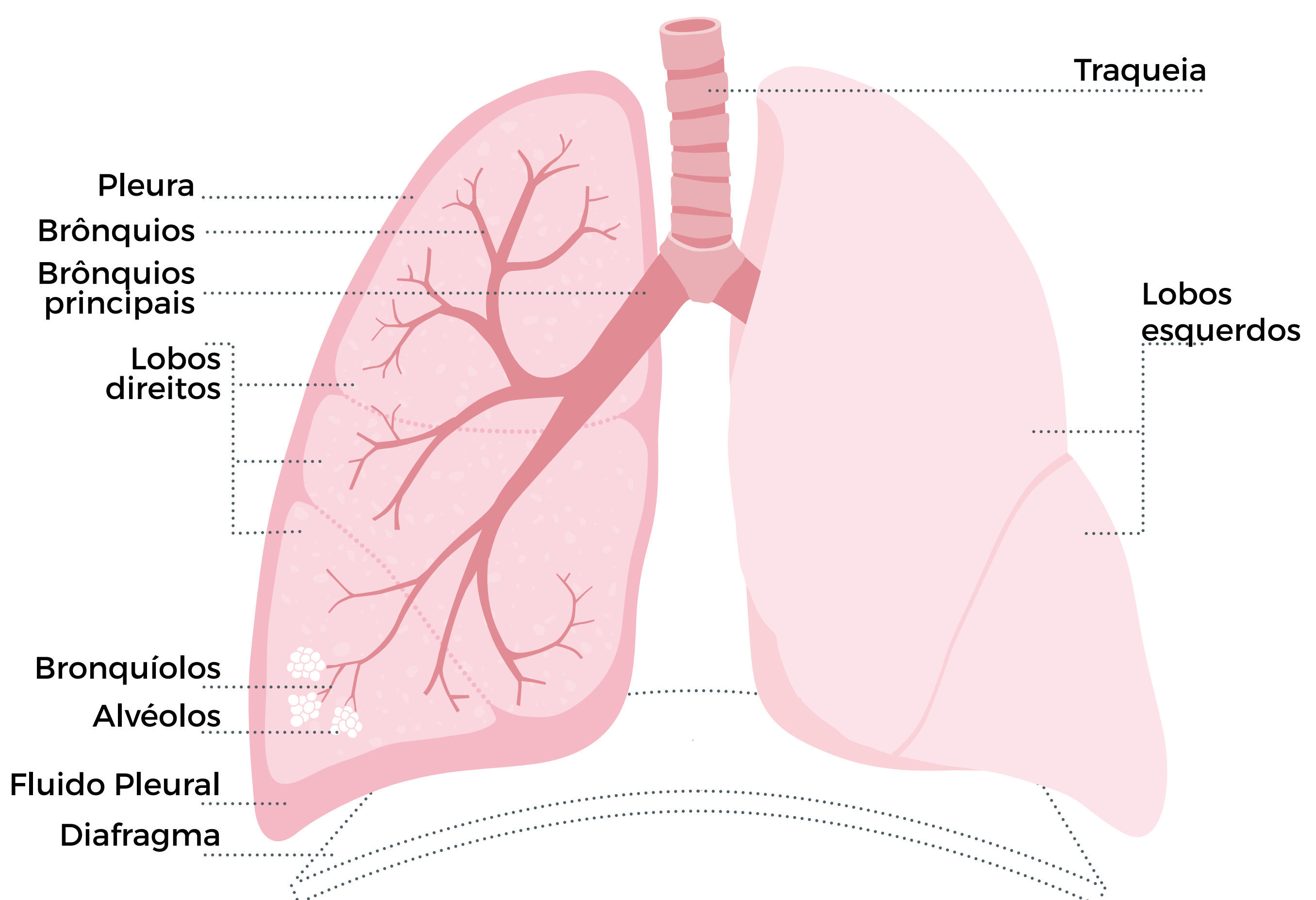
Para saber mais sobre a Conitec, acesse:

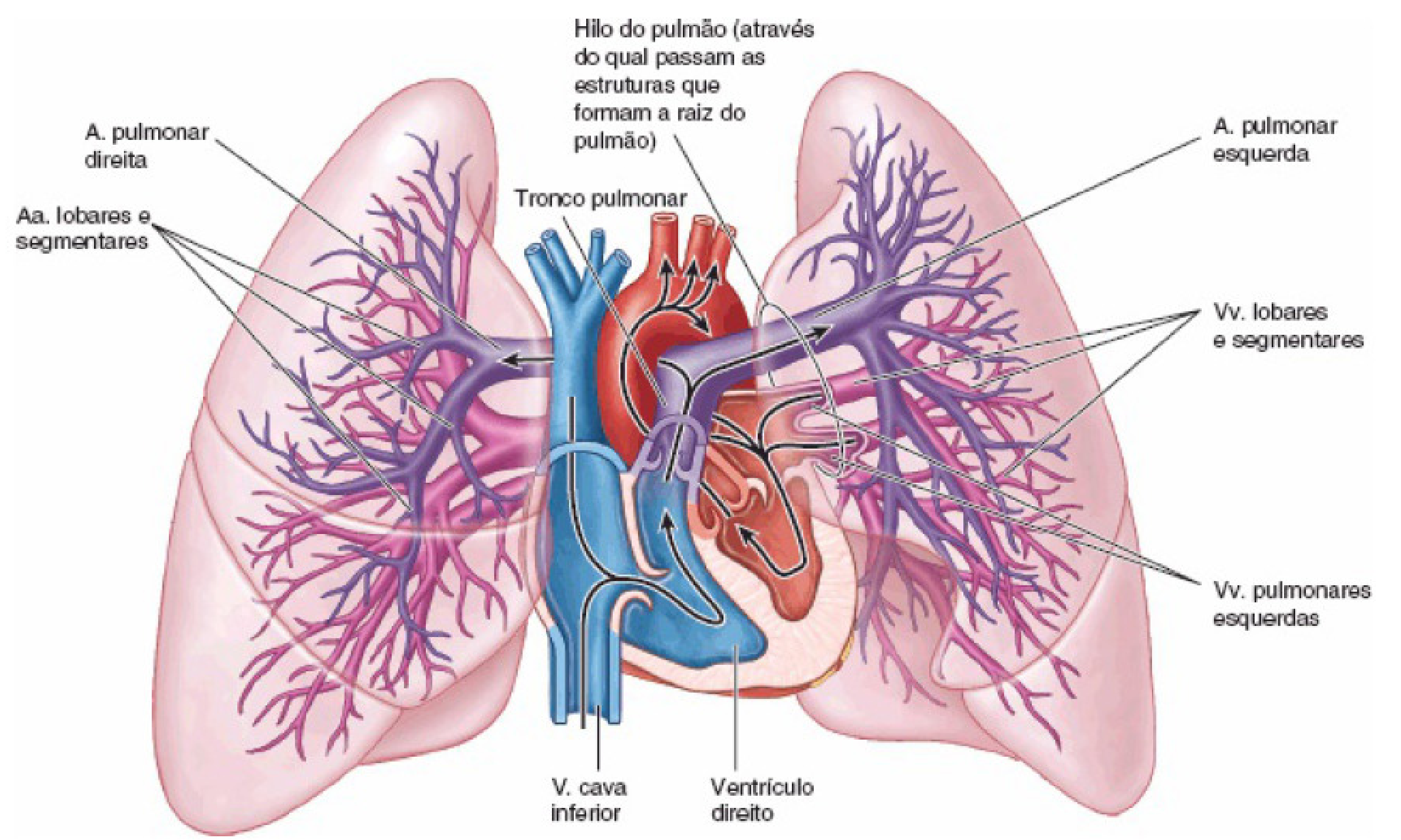
conitec.gov.br

AMPLIAÇÃO DE USO DO SIROLIMO PARA TRATAMENTO DE INDIVÍDUOS COM LINFANGIOLEIOMIOMATOSE (LAM)

O que é a linfangioleiomiomatose?

A linfangioleiomiomatose (LAM) é uma doença rara que afeta vários órgãos e tecidos. Está associada à multiplicação anormal das células musculares das vias aéreas, que pode levar ao estreitamento das vias e dos vasos sanguíneos nos pulmões. Essa condição pode trazer dificuldades para a oxigenação adequada do organismo devido à insuficiência respiratória. Os sintomas são muito parecidos com os da asma, da doença pulmonar obstrutiva crônica e da bronquite. Por isso, a necessidade de realizar um diagnós-





tico adequado. Atinge aproximadamente 3 a 5 mulheres a cada 1.000.000. Existem dois tipos de LAM: a esporádica (não hereditária) e a hereditária (transmitida de pais para filhos).



Afeta, principalmente, **mulheres jovens em idade fértil, entre a puberdade e a menopausa**, o que sugere um papel dos hormônios sexuais femininos na origem da doença.

Como os pacientes com linfangioleiomiomatose são tratados no SUS?

Atualmente, não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde. Como não existe tratamento específico, os cuidados iniciais do paciente com LAM se baseiam no acompanhamento e no tratamento das complicações clínicas decorrentes dessa condição como pneumotórax (presença de ar entre as duas camadas da pleura), quilotórax (acúmulo de linfa no espaço pleural) e ascite quilosa (acúmulo de linfa na cavidade abdominal). Assim como em outras doenças pulmonares, os pacientes com LAM devem ser incentivados a manter um peso adequado e a não fumar. O sirolimo já está incorporado ao SUS para imunossupressão em transplante cardíaco e pulmonar.

Medicamento analisado: sirolimo

Os Laboratórios Pfizer Ltda solicitaram à Conitec a avaliação de incorporação do sirolimo para tratamento de linfangioleiomiomatose. O medicamento atua como um imunossupressor, inibindo a multiplicação anormal das células e a produção de anticorpos. A Conitec analisou os estudos que trataram dos resultados esperados (eficácia), segurança e impacto orçamentário desse medicamento. Todos os estudos foram considerados de baixa qualidade

metodológica e alto risco de viés, ou seja, de confiabilidade baixa. Alguns demonstraram que o uso do sirolimo melhorou a função pulmonar, facilitando, assim, a respiração, e outros verificaram aumento da qualidade de vida dos pacientes. Quatro dos cinco estudos que analisaram a multiplicação anormal das células, observaram que houve redução dessa condição durante o tratamento com o sirolimo. Os eventos adversos mais frequentes foram os eventos gastrointestinais, infecciosos, pulmonares ou do trato respiratório superior, dermatológico e neurológico. O impacto orçamentário calculado para cinco anos foi de R\$ 5,3 milhões, que variou de R\$ 896,2 mil no primeiro ano da incorporação a R\$ 1,22 milhão no quinto ano.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a ampliação do uso do sirolimo para o tratamento da linfangioleiomiomatose no SUS. Esse tema foi discutido durante a 86ª reunião ordinária da Comissão, realizada nos dias 4 e 5 de março de 2020. Na ocasião, o Plenário considerou os aspectos relacionados à comprovação de eficácia e segurança do medicamento e às necessidades médicas não atendidas.

O assunto esteve disponível na consulta pública nº 10, durante 20 dias, no período de 20/03/2020 a 08/04/2020, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 1923 contribuições, sendo 18 técnico-científicas e 1905 sobre experiência ou opinião. A maioria das contribuições concordou com a recomendação inicial. O tema mais citado foi a falta de alternativa para o tratamento de LAM. Muitas contribuições citaram a melhora na qualidade de vida dos pacientes e na função pulmonar, a possibilidade de estabilização da doença e as dificuldades de acesso ao medicamento devido ao alto custo.

Recomendação final da Conitec

A Conitec, durante a 88ª reunião ordinária, realizada no dia 8 de julho de 2020, recomendou a ampliação de uso do sirolimo para tratamento de indivíduos adultos com LAM no Sistema Único de Saúde. Os membros da Comissão consideraram a necessidade de incorporação ao SUS de tratamento medicamentoso com ação direta na doença, os benefícios clínicos do sirolimo na LAM, como diminuição da progressão da doença e as dificuldades de acesso devido ao alto custo do medicamento.

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 atri-

buições legais, decidiu ampliar o uso do sirolimo para o tratamento de indivíduos adultos com linfangioleiomatose (LAM), no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, conforme Protocolo do Ministério da Saúde. O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/Relatorio_539_Sirolimo_Linfangioleiomatose_Final_2020.pdf.