



# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

IVACAFTOR PARA PACIENTES ACIMA DE 6 ANOS QUE  
APRESENTEM UMA DAS SEGUINTE MUTAÇÕES DE  
GATING (CLASSE III), G551D, G1244E, G1349D, G178R,  
G551S, S1251N, S1255P, S549N OU S549R



**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 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@saud.gov.br](mailto:conitec@saud.gov.br)

### **Elaboração do relatório**

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

### **Elaboração do texto**

Nayara Correa da Silva Marra

### **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 documento 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 Insu- mos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde - SCTIE/MS, que decide sobre quais tecnologias em saú- de serão disponibilizadas no SUS.

Para saber mais sobre a Conitec, acesse:  
[conitec.gov.br](http://conitec.gov.br)

# IVACAFTOR PARA PACIENTES ACIMA DE 6 ANOS QUE APRESENTEM UMA DAS SEGUINTE MUTAÇÕES DE GATING (CLASSE III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N OU S549R

## 0 que é Fibrose Cística?

A Fibrose Cística (FC) ou mucoviscidose é uma doença genética, mutação do gene CFTR (regulador de condutância transmembrana da fibrose cística), transmitida pelo pai e pela mãe, provocando um desequilíbrio na produção de secreções como muco e suor. As mutações são classificadas de acordo com as alterações do gene CFTR, sendo a mais frequente a mutação F508del. As mutações G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R foram encontradas em uma população bem menor, sendo que as mutações G1349D, G178R, G551S, S1255P não foram identificadas. Afeta os órgãos reprodutores, pâncreas, fígado, intestino e pulmões. Os sintomas e sinais são infecções pulmonares, insuficiência respiratória, má digestão, sinusite crônica, presença de gordura nas fezes, tosse persistente e com muco, massas moles no nariz, febre e perda de peso e déficits de crescimento, diminuindo a qualidade e expectativa de vida do paciente. O diagnóstico precoce é realizado através do teste do pezinho e teste do suor e exames laboratoriais. A doença não tem cura.

## Como os pacientes com fibrose cística são tratados no SUS?

Os pacientes são tratados de acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Fibrose Cística, publicada em setembro de 2017. O tratamento não medicamentoso é ofertado por uma equipe de profissionais (médicos, nutricionistas, fisioterapeutas, enfermeiros, psicólogos, farmacêuticos e assistentes sociais. Também é disponibilizado um suporte nutricional, fluidificação das secreções, tratamento das infecções respiratórias e casos mais graves transplante de pulmão. São utilizados medicamentos inalatórios, de uso oral e intravenosos. O objetivo do tratamento é de induzir e manter a melhora clínica da doença, aumentando a qualidade de vida do paciente. Os medicamentos alfadornase e tobramicina são oferecidos para pacientes de manifestações pulmonares e para pacientes com insuficiência pancreática é recomendado o uso de enzimas pancreáticas.

## Medicamento analisado: ivacaftor

A Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda solicitou à Conitec a avaliação de incorporação de ivacaftor para o tratamento de pacientes acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III), G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. O medicamento ivacaftor é indicado para trata-

mento de pacientes com fibrose cística com 6 anos de idade ou mais, pesando 25kg ou mais e que apresentam uma das seguintes mutações de gating no gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. O ivacaftor age na proteína defeituosa melhorando o fluxo das secreções, tornando menos espessas e aliviando os sintomas da doença. A Secretaria Executiva da Conitec analisou os estudos desse medicamento quanto a segurança, eficácia e economia comparando com o tratamento de suporte e seus sintomas, considerou que para pacientes maiores de 12 anos apresentou benefícios na capacidade respiratória e qualidade de vida e ganho de peso, mas com efeitos adversos graves. Foi estimado um impacto orçamentário, acumulado em 5 anos, de mais de R\$ 280 milhões atendendo entre 10 a 20 pacientes acima de 6 anos.

## **Recomendação inicial da Conitec**

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação do ivacaftor para o tratamento da fibrose cística em pacientes com idade  $\geq 6$  anos e  $\geq 25$  kg que apresentam uma das seguintes mutações no gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N, S549R. Esse tema foi discutido durante a 88<sup>a</sup> reunião ordinária da Comissão, realizada nos dias 7, 8 e 9 de julho de 2020. Na ocasião, o Plenário considerou o curto tempo

de acompanhamento dos pacientes (48 semanas) e o alto custo do medicamento, atendendo pacientes específicos com mutações G551D, acima de 12 anos. Faz-se necessário, também, realizar exames de genotipagem específicos.

O assunto esteve disponível para consulta pública nº 38, durante 20 dias, no período de 12/08/2020 a 31/08/2020, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

## **Resultado da consulta pública**

Foram recebidas 10.735 contribuições, sendo 318 técnico-científicas e 10.417 sobre experiência ou opinião. A maioria discordou da recomendação inicial da Conitec, citando o fato de não haver outras drogas de mesma eficácia no Brasil e os bons resultados quanto à redução dos valores de cloreto no suor e à melhora da função pulmonar, além de outros benefícios apontados no aspecto nutricional e na qualidade de vida.

## **Recomendação final da Conitec**

A Conitec, durante a 93<sup>a</sup> reunião ordinária, realizada nos dias 8 e 9 de dezembro de 2020, recomendou a incorporação, no SUS, do ivacaftor para pacientes acima de 6 anos, conforme estabelecido pelo Ministério da Saúde e com reavaliação após três anos de disponibilização pelo SUS. Os membros consideraram que os estudos apresen-

tadas mostraram redução de valores de cloreto no suor e melhora da função pulmonar. Porém, observaram que mais estudos são necessários para estimar o benefício clínico real do medicamento, daí a necessidade de reavaliação em três anos.

## 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 incorporar o ivacaftor para pacientes acima de 6 anos, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), conforme estabelecido pelo Ministério da Saúde e com reavaliação após três anos de disponibilização da tecnologia pelo SUS. O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em: [http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/20201231\\_Relatorio\\_581\\_Ivacaftor\\_Fibrose-Cistica.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/20201231_Relatorio_581_Ivacaftor_Fibrose-Cistica.pdf).