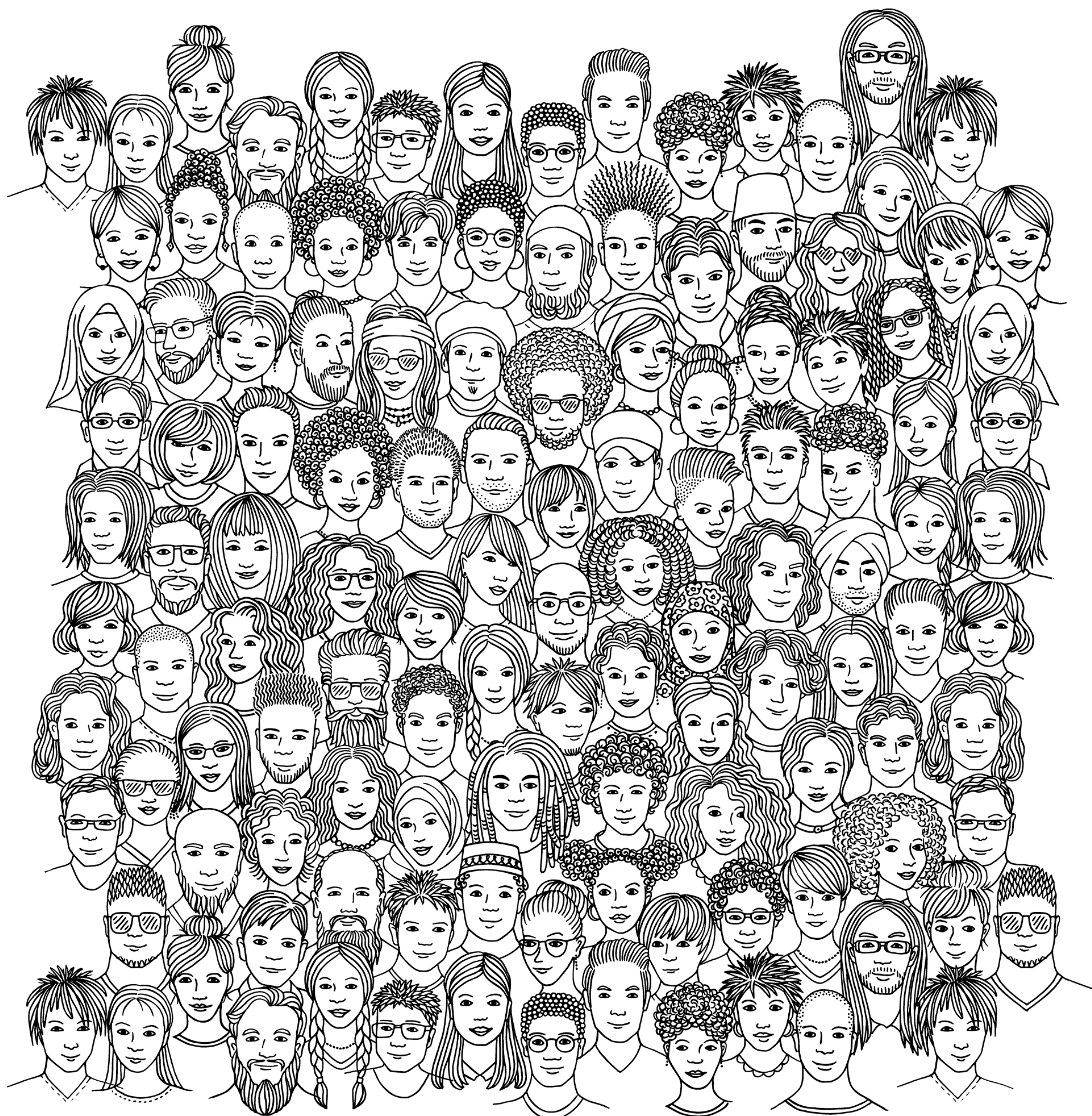




# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

**AMPLIAÇÃO DE USO DO ELTROMBOPAGUE**  
para o tratamento adicional a imunossupressor  
em pacientes adultos com anemia aplástica grave

## 2022 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@saude.gov.br](mailto:conitec@saude.gov.br)

### Elaboração do relatório

Coordenação de Incorporação de Tecnologias –  
CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

### Elaboração do texto

Adriana Prates Sacramento

Andrija Oliveira Almeida

Clarice Moreira Portugal

Luiza Nogueira Losco

### Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Bruna Cabral de Pina Viana

Clarice Moreira Portugal

Getulio Cassemiro de Souza Júnior

José Octávio Beutel

Mariana Dartora

Marina Ongaratto Fauth

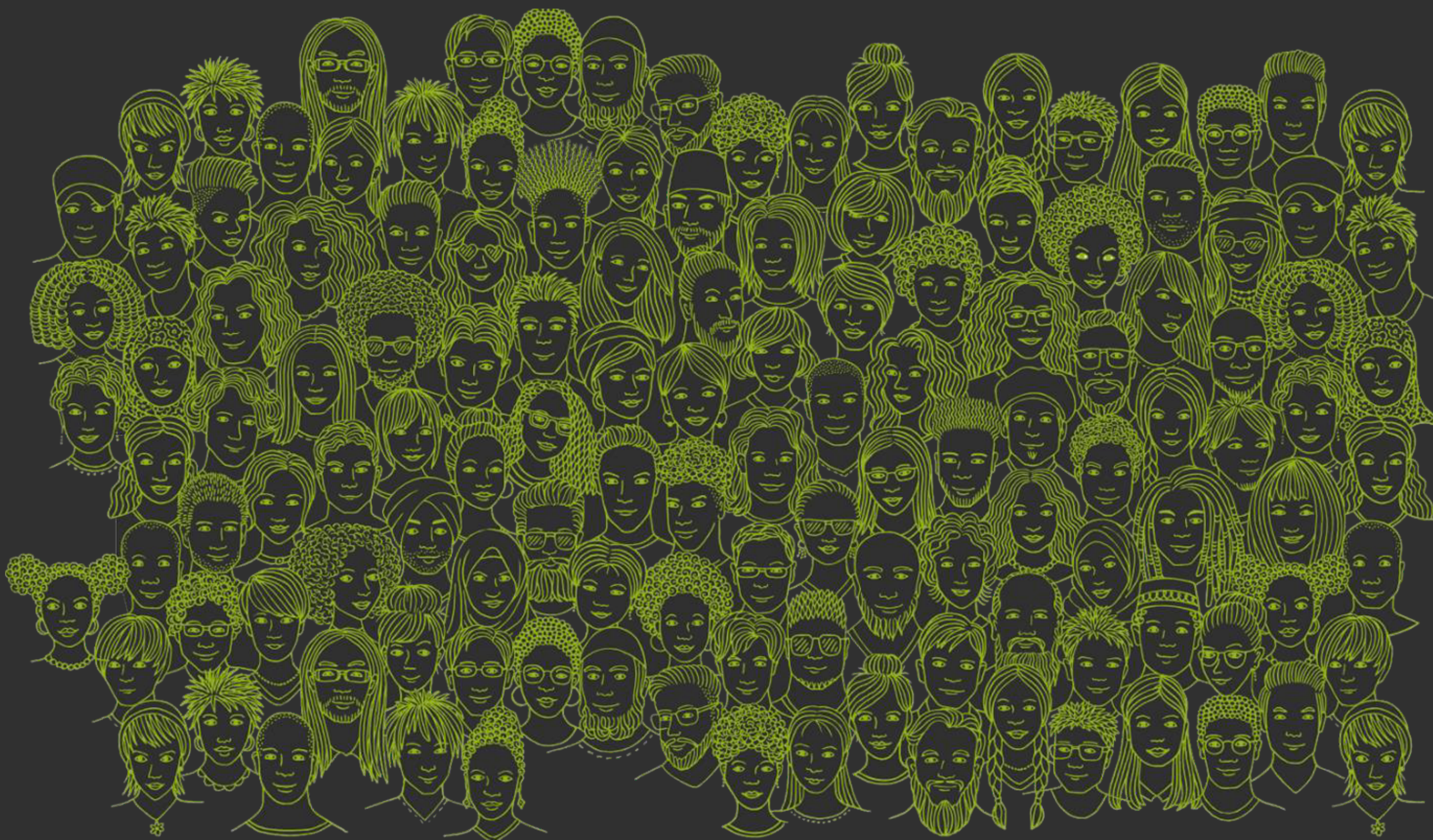
Patrícia Mandetta Gandara

### Layout e diagramação

Danthon do Amaral Corrêa

### Supervisão

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

# AMPLIAÇÃO DE USO DO ELTROMBOPAGUE

**para o tratamento adicional a imunossupressor  
em pacientes adultos com anemia aplástica grave**

## O QUE É A ANEMIA APLÁSTICA?

A anemia aplástica é uma doença das células localizadas na medula óssea, e que se caracteriza pela incapacidade de renovação das células do sangue, causando diminuição de glóbulos vermelhos (envolvidos no transporte de oxigênio no sangue), glóbulos brancos (componentes de defesa do organismo) e plaquetas (relacionadas à coagulação do sangue).

A taxa de ocorrência de casos novos na população europeia é de 2,34 casos por milhão de habitantes, entretanto, é mais frequente nas populações asiáticas. No Brasil, a taxa de casos novos é semelhante, com aproximadamente 2,4 casos por milhão de habitantes. Os casos novos da doença costumam apresentar maiores taxas na população entre 14 e 25 anos e em pessoas acima de 45 anos de idade.

Os sinais e sintomas da anemia aplástica incluem cansaço, fraqueza e fadiga associados a anemia, sangramentos relacionados ao baixo nível de plaquetas no sangue, além do aumento de infecções por fungos e bactérias devido ao número reduzido de glóbulos brancos no sangue.

Para o diagnóstico de anemia aplástica é necessária a presença de níveis reduzidos de pelo menos dois tipos de células sanguíneas (glóbulos vermelhos, glóbulos brancos e/ou plaquetas). Já para o diagnóstico de anemia aplástica grave (AAG), a proporção entre as células formadoras de sangue e células adiposas na medula óssea deve ser inferior a 30% e o paciente deve possuir pelo menos dois dos seguintes critérios: contagem de glóbulos vermelhos imaturos menor que 60.000 por mililitro de sangue, de neutrófilos (tipo de glóbulo branco responsável pela defesa do organismo) menor que 500 por mililitro e de plaquetas menor que 20.000 por mililitro.

# COMO OS PACIENTES COM ANEMIA APLÁSTICA SÃO TRATADOS NO SUS?

De acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Anemia Aplástica Adquirida (AAA), o tratamento da anemia aplástica é baseado no transplante de medula óssea ou em terapia imunossupressora, que é utilizada para modular a resposta imune do organismo.

O uso de imunoglobulina antitimócito e ciclosporina é o tratamento padrão preconizado para pacientes com AAA, adultos ou crianças, não candidatos a transplante de medula óssea. O PCDT ainda recomenda o uso de transfusão de plaquetas em pacientes com baixa contagem de plaquetas e sangramento ativo ou febre e a transfusão de hemácias (glóbulos vermelhos do sangue) na presença de sintomas anêmicos.

## MEDICAMENTO ANALISADO: ELTROMBOPAGUE

A solicitação de análise da incorporação do eltrombopague (EPAG) para o tratamento de pacientes adultos com anemia aplástica imune grave no Sistema Único de Saúde (SUS) foi apresentada pela Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde (SCTIE/MS).

O eltrombopague é um medicamento anti-hemorrágico e age induzindo a produção de plaquetas na medula óssea e o aumento da contagem de plaquetas no sangue. A tecnologia possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) com as seguintes indicações: a) tratamento de pacientes adultos e pediátricos com púrpura trombocitopênica idiopática (PTI); b) tratamento de primeira linha de pacientes adultos e pediátricos acima de 6 anos com Anemia Aplástica Severa (AAS) em combinação com terapia imunossupressora; c) tratamento de adultos com AAS, baixa resposta à terapia imunossupressora prévia e inelegíveis ao transplante de medula óssea.

Os estudos demonstraram que, quando comparada ao tratamento padrão isolado, a adição de eltrombopague apresentou benefícios clínicos,

com resultados significativamente superiores, em praticamente todos os desfechos avaliados (resposta hematológica, sobrevida global e sobrevida livre de eventos), além de possuir perfil de segurança comparável à terapia atual.

A avaliação econômica indicou que a adição de eltrombopague ao tratamento padrão possui vantagens clínicas e financeiras em relação ao tratamento padrão isolado, mostrando-se custo-efetiva. A análise do impacto financeiro avaliou três diferentes cenários de ampliação de uso do eltrombopague no SUS em cinco anos, assumindo como cenário de referência o tratamento de 856 pacientes com terapia padrão (TP) e custo estimado de R\$ 413.945.285,74 em cinco anos, a saber: a) cenário 1 – contempla 90% dos pacientes com AAG tratados com TP + EPAG e 10% somente com TP; b) o cenário 2 – inclui 70% dos pacientes com AAG tratados com TP + EPAG e 30% apenas com TP; e c) o cenário 3 – considera 50 % dos pacientes com AAG tratados com TP + EPAG e 30% exclusivamente com TP. O cenário 1 foi o que apresentou menor impacto orçamentário total, no valor de R\$ 391,41 milhões, proporcionando economia de R\$ 241, 35 milhões ao longo de cinco anos. Assim, observa-se que nos cenários nos quais se pressupõe menor uso do eltrombopague, a economia de recursos é menor. Considerando que o eltrombopague já está incorporado no SUS para o tratamento de púrpura trombocitopênica idiopática, a ampliação de uso da tecnologia representou economia de recursos em todos os cenários avaliados.

## PERSPECTIVA DO PACIENTE

Foi aberta chamada pública para Perspectiva do Paciente sobre esse tema entre 22/02/2022 e 02/03/2022, com registro de apenas uma inscrição. Durante a apreciação inicial do tema na 106ª Reunião da Conitec, ocorrida no dia 09/03/2022, na condição de paciente com anemia aplástica grave, o representante relatou que, em 2021, foi internado em um hospital no interior do estado de Minas Gerais com alguns sintomas e, em virtude do quadro clínico, foi transferido para tratamento hospitalar especializado na capital mineira. Segundo ele, a detecção de queda brusca na contagem de hemácias, leucócitos e plaquetas no sangue levantou suspeita diagnóstica de mielodisplasia, o que foi descartado por meio da realização de exames complementares. Nesse sentido, destacou que na mesma ocasião, durante

o período de internamento em Belo Horizonte, recebeu o diagnóstico de anemia aplástica grave. Ele destacou, ainda, ter feito transfusões de sangue semanais, iniciado o tratamento medicamentoso de primeira linha com imunoglobulina, ciclosporina e prednisona, e ter tido indicação médica de transplante de medula óssea, o que não foi possível em virtude da baixo percentual de compatibilidade com irmãos. Assim, o paciente informou que, por recomendação médica, começou a utilizar eltrombopague e o medicamento lhe trouxe benefícios clínicos, a exemplo do controle dos sintomas (cansaço, fadiga muscular, sonolência), melhora das taxas de hemoglobina, leucócitos e plaquetas no sangue, além de contribuir para a redução significativa das transfusões sanguíneas e a diminuição da dosagem administrada de ciclosporina. Na perspectiva do paciente, o uso da tecnologia proporcionou a estabilidade do seu quadro de saúde, melhora da qualidade de vida com maior conforto físico e bem-estar psicológico, além de permitir a continuidade do tratamento em casa. O participante também mencionou a experiência de outros pacientes que obtiveram resultados positivos com o uso eltrombopague. Por outro lado, relatou dificuldades de acesso à tecnologia devido ao alto custo e à indisponibilidade no SUS, destacando que se utilizou de redes de solidariedade para custear a compra do medicamento e obteve, posteriormente, acesso por via judicial.

O vídeo da 106ª Reunião pode ser acessado pelo link:

[https://www.youtube.com/watch?t=16372&v=pKJEm7TJBgs&feature=youtu.be&ab\\_channel=CanaldaConitec](https://www.youtube.com/watch?t=16372&v=pKJEm7TJBgs&feature=youtu.be&ab_channel=CanaldaConitec)

## RECOMENDAÇÃO INICIAL DA CONITEC

A Conitec recomendou inicialmente a incorporação do eltrombopague para o tratamento adicional a imunossupressor em pacientes adultos com anemia aplástica grave no SUS. Esse tema foi discutido durante a 106ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 9 e 10 de março de 2022. Na ocasião, o Plenário considerou que as evidências apresentadas demonstraram eficácia e segurança acerca do tratamento proposto frente às alternativas terapêuticas já disponíveis no SUS e, além disso, a tecnologia avaliada mostrou-se custo-efetiva e representou economia de recursos para o SUS.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 17, durante 20 dias, no período de 04/04/2022 a 25/04/2022, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

## RESULTADO DA CONSULTA PÚBLICA

O tema foi colocado em consulta pública entre os dias 4 e 25 de abril de 2022. Foram recebidas 51 contribuições, sendo 21 de natureza técnico-científica e 30 sobre experiência e opinião. Todos os participantes concordaram com a recomendação preliminar da Conitec, favorável à ampliação de uso do eltrombopague para o tratamento adicional a imunossupressor em pacientes adultos com anemia aplástica grave. Os resultados da consulta pública não modificaram o entendimento do Plenário, sendo mantida a recomendação inicial.

## RECOMENDAÇÃO FINAL DA CONITEC

A Conitec, durante a 108ª Reunião Ordinária, realizada nos dias 4 e 5 de maio de 2022, recomendou a ampliação de uso do eltrombopague para o tratamento adicional a imunossupressor em pacientes adultos com anemia aplástica grave.

## DECISÃO FINAL

Com base na recomendação da Conitec, a Secretária de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela ampliação de uso, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), do eltrombopague para o tratamento adicional a imunossupressor em pacientes adultos com anemia aplástica grave.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível em:

[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220603\\_Relatorio\\_731\\_Eltrombopague\\_AAG.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2022/20220603_Relatorio_731_Eltrombopague_AAG.pdf)