

# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

## **ALFALONOCOCOGUE**

para adultos e adolescentes (acima de 12 anos) com hemofilia A  
previamente tratados e sem inibidor, para profilaxia secundária

## **2023 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 Complexo em Saúde – SECTICS

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS

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: [gov.br/conitec/pt-br](http://gov.br/conitec/pt-br)

E-mail: [conitec@saude.gov.br](mailto:conitec@saude.gov.br)

### **Elaboração do relatório**

Adriana Prates Sacramento

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

Andrija Oliveira Almeida

Clarice Moreira Portugal

Luiza Nogueira Losco

Melina Sampaio de Ramos Barros

### **Revisão técnica**

Andrea Brígida de Souza

Gleyson Navarro Alves

José Octávio Beutel

Mariana Dartora

### **Layout e diagramação**

Clarice Macedo Falcão

Patricia Mandetta Gandara

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

# ALFALONCTOCOGUE

para adultos e adolescentes (acima de 12 anos) com hemofilia A previamente tratados e sem inibidor, para profilaxia secundária

## O que é a hemofilia?

A hemofilia A, também conhecida como hemofilia clássica, é uma doença hemorrágica hereditária rara caracterizada por uma deficiência na coagulação do sangue. Sua manifestação clínica mais comum é o sangramento prolongado e excessivo, espontâneo ou após trauma, nas principais articulações, como tornozelos, joelhos e cotovelos.

A hemofilia A é classificada em leve, moderada e grave a partir da atividade coagulante dos episódios hemorrágicos. A forma grave se manifesta, normalmente, de modo espontâneo nos primeiros meses de vida, enquanto as formas moderada ou leve se apresentam durante a infância ou adolescência espontaneamente ou após algum trauma. O sangramento espontâneo é mais frequente na forma grave, considerado ocasional na forma moderada e raro na forma leve.

Em sua maioria, a doença acomete pessoas do sexo masculino, que nascem com mutação genética hereditária herdada da mãe (doença está ligada ao cromossomo X). A incidência global é de 1,5 pacientes por 1 milhão de habitantes ao ano, com a estimativa de 1 pessoa com hemofilia A a cada 5.000 recém-nascidos do sexo masculino.



**1,5**  
pacientes

**1 milhão**  
de habitantes  
por ano

Segundo a Universidade Aberta do SUS e a Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, atualmente o Brasil tem a quarta maior população de pacientes com hemofilia do mundo, com aproximadamente 13 mil pessoas. Até o ano de 2020, havia 10.984 registros no país de pessoas com hemofilia A, sendo 98,5% do sexo masculino. Destes registros, a forma grave compreende 39,2% dos pacientes, enquanto 19,7% têm a forma moderada e 23,3% a leve.

---

## Como os pacientes com hemofilia A são tratados no SUS?

Segundo o Manual de Hemofilia do Ministério da Saúde, o tratamento do sangramento articular requer a reposição do fator de coagulação deficiente por meio de aplicação direta na veia, sendo o FVIII no caso da hemofilia A. A reposição do FVIII pode ser realizada sob demanda para tratar episódio hemorrágico ou de forma preventiva para a manutenção dos níveis de FVIII e evitar os episódios hemorrágicos. Outros agentes sintéticos que atuam no controle do sangramento, como o acetato de desmopressina e o ácido tranexâmico, também podem ser utilizados no tratamento sob demanda.

A prevenção intermitente ou de curta duração prevê realização do tratamento com período inferior a 45 semanas ao ano, enquanto a prevenção contínua da hemofilia com FVIII pode ser classificada em três tipos:

- 1. Prevenção primária:** reposição contínua e regular iniciada na ausência de doença nas articulações documentada, antes do segundo sangramento articular clinicamente evidente e dos 3 anos de idade;
- 2. Prevenção secundária:** reposição contínua e regular iniciada após dois ou mais sangramentos articulares, mas antes do início da doença articular, em caso de pacientes com 3 ou mais anos de idade;
- 3. Prevenção terciária:** reposição contínua e regular após o início da doença articular documentada, constituindo-se normalmente na profilaxia iniciada na vida adulta.



O acompanhamento do paciente com hemofilia deve ser realizado por uma equipe multiprofissional. Todos os pacientes devem estar registrados em um Centro de Tratamento de Hemofilia (CTH) e serem cadastrados no registro nacional de coagulopatias hereditárias, o Hemovida WebCoagulopatias, do Ministério da Saúde.

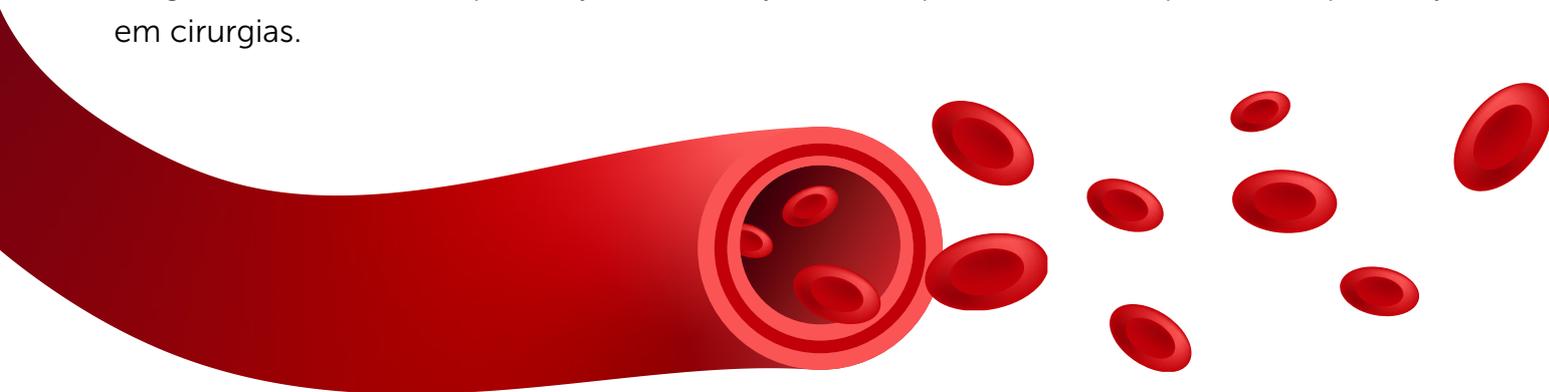
Até o momento, não existe Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para Hemofilia A. O Ministério da Saúde define os Protocolos de Uso de fatores de coagulação para a profilaxia primária em caso de hemofilia grave e de emicizumabe por pacientes por hemofilia A e inibidores do fator VIII refratários ao tratamento de imunotolerância.

---

## Medicamento analisado: alfaonocotocogúe

A empresa CSL Behring Comércio de Produtos Farmacêuticos Ltda. solicitou à Conitec a incorporação do medicamento alfaonocotocogúe, ao SUS, para profilaxia secundária em adultos e adolescentes (acima de 12 anos) com hemofilia A previamente tratados e sem inibidor.

O alfaonocotocogúe é um fator VIII recombinante, ou seja, é uma técnica de recombinação genética. O medicamento é apresentado em forma de pó liofilizado para solução injetável e recomendado a partir do esquema inicial de 20 a 50 UI/kg, aplicado de duas a três vezes por semana. No Brasil, é aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), com indicação para adultos e crianças com hemofilia A para controle e prevenção de episódios de sangramento, rotina de prevenção ou redução da frequência desses episódios e prevenção em cirurgias.



Na análise de evidências clínicas não foram encontrados ensaios clínicos de comparação direta entre o medicamento avaliado e os fatores recombinantes atualmente disponíveis no SUS, quais sejam: alfaoctocogúe, alfadamocogúe pegol e alfaruriocogúe pegol. Desse modo, foi incluída uma revisão sistemática que realizou comparação indireta em termos de eficácia e consumo com o alfaoctocogúe para profilaxia de adolescentes e adultos com a doença tratados previamente. Em relação à eficácia, a comparação não apresentou diferenças significativas, com baixa certeza de evidências. Mas, no que concerne ao consumo mediano anual, o alfaonocotocogúe apresentou menor índice do que o alfaoctocogúe.

Para a avaliação econômica foi feito um estudo de custo-minimização, realizado quando os efeitos das tecnologias comparadas são similares, como no caso da alfaoctocogúe. Para tanto, dois cenários foram considerados: um de menor e outro de maior consumo mediano anual de fator de coagulação recombinante relatado pelos estudos. Em ambos os casos, o alfaonocotocogúe apresentou menor custo anual por paciente. Desse modo, a análise de impacto orçamentário considerou que, ao final de cinco anos, haveria uma economia variável entre R\$ 12,9 e R\$ 13,6 milhões com a incorporação de alfaonocotocogúe ao SUS.

---

## Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 41 para participar da Perspectiva do Paciente sobre o tema foi aberta de 10/10/2022 a 20/10/2022 e sete pessoas se inscreveram. No entanto, os inscritos não preenchiaram as especificidades da chamada, de modo que não ocorreu o relato da Perspectiva do Paciente para este tema.

## Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, do alfaonocotocogúe para o tratamento de adultos e adolescentes (acima de 12 anos) com hemofilia A previamente tratados e sem inibidor, para profilaxia secundária. Esse tema foi discutido durante a 14ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada no dia 26 de abril de 2023. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos concluiu que a tecnologia não apresenta benefícios clínicos adicionais em relação àquelas já incorporadas ao SUS e não cumpre os critérios de classificação para ser identificada como fator VIII recombinante de meia-vida estendida. Ademais, os membros do Comitê consideraram a redução de preço do produto em relação àqueles atualmente disponibilizados no SUS e a dificuldade do gerenciamento da aquisição por moléculas e não por classe terapêutica no âmbito da Política Nacional de Sangue, Componentes e Hemoderivados, o que pode gerar um segmento de mercado e diminuir a concorrência. Nesse sentido, foi pontuada a necessidade de a avaliação de incorporação ser realizada pela classe terapêutica (fator VIII recombinante de meia-vida estendida), e não por molécula, como ocorreu na presente avaliação.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 24, durante 20 dias, no período de 03/07/2023 a 24/07/2023, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

## Resultado da consulta pública

Foram recebidas 163 contribuições, sendo 18 técnico-científicas e 145 contribuições sobre experiência ou opinião. A maioria das contribuições discordou da recomendação inicial da Conitec de não incorporar o alfaonocotocogúe. Os respondentes de experiência ou opinião mencionaram que o medicamento possui meia-vida estendida, o que resulta em menos infusões, melhor qualidade de vida e maior adesão ao tratamento, bem como o potencial de reduzir custos para o SUS. A maioria das contribuições técnico-científicas apresentaram opiniões e não evidências científicas adicionais. A empresa demandante apresentou um estudo que indica que o medicamento é comparável a outros dois produtos de meia-vida estendida.

---

As contribuições técnico-científicas desfavoráveis à incorporação do medicamento defendem que o medicamento não apresenta superioridade clínica frente às alternativas terapêuticas incorporadas no SUS, a necessidade de disponibilizar os fatores recombinantes de meia-vida estendida incorporados previamente (produtos peguilados) e que o alfaonocogúe não pode ser classificado como de um produto de meia-vida estendida.

## **Recomendação final da Conitec**

A 121ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 02 e 03 de agosto de 2023. No dia 02 de agosto, o Comitê de Medicamentos recomendou a não incorporação, ao SUS, de alfaonocogúe para adultos e adolescente (acima de 12 anos) com hemofilia A previamente tratados e sem inibidor, para profilaxia secundária. Para tanto, os membros do Comitê consideraram o fato de a tecnologia não cumprir os critérios necessários para ser considerada um produto de meia-vida estendida e possuir eficácia equivalente às tecnologias já disponíveis no SUS. Ademais, destacou-se a relevância de a área técnica definir no protocolo clínico os critérios para a classificação dos produtos em meia-vida padrão e meia-vida estendida.

## **Decisão final**

Com base na recomendação da Conitec, o secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela não incorporação de alfaonocogúe para adultos e adolescente (acima de 12 anos) com hemofilia A previamente tratados e sem inibidor, para profilaxia secundária.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).