

# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

**PAMOATO DE PASIREOTIDA**  
no tratamento de pacientes com acromegalia

## **2024 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 e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da 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

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

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

# PAMOATO DE PASIREOTIDA

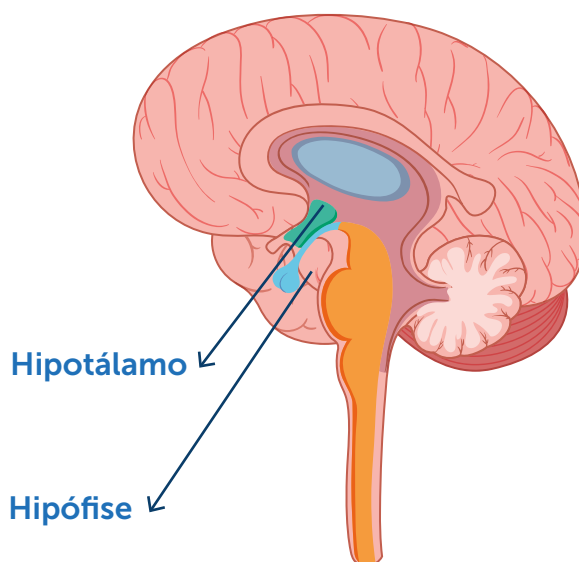
## no tratamento de pacientes com acromegalia

### O que é acromegalia?

A acromegalia é uma doença rara e de caráter progressivo, relacionada à liberação excessiva e crônica de hormônio do crescimento (GH) e do fator de crescimento semelhante à insulina tipo 1 (IGF-1), sendo este uma proteína produzida pelo fígado em resposta ao GH.

Estima-se que essa doença atinja de 40 a 70 pessoas para cada um milhão de habitantes, principalmente entre os 40 e 50 anos de idade. Seguindo essa linha, dados indicam que haja 5,9 casos para cada 100.000 habitantes e 0,38 novos casos para cada 100.000 habitantes por ano.

A acromegalia é causada, principalmente, pela presença do adenoma hipofisário secretor de GH, isto é, de um tumor localizado na hipófise – glândula responsável pela produção de uma série de hormônios que atuam em diversos órgãos e funções do organismo. A acromegalia pode estar ligada também a tumores no hipotálamo, região cerebral que conecta os sistemas nervoso e endócrino (vinculado à produção e circulação de hormônios), ou ainda à secreção do hormônio liberador de GH (GHRH) ou do próprio GH em outras regiões do corpo.



Essa condição de saúde gera sintomas e manifestações clínicas variadas, como alterações na face e extremidades (por exemplo, nariz alargado e aumento dos ossos das bochechas); suor em excesso, principalmente à noite; dores de cabeça; formigamento de extremidades, como mãos e pés; dores articulares; disfunção sexual; hipertensão arterial sistêmica; tireoide aumentada; alteração no tom de voz, que aos poucos se torna mais grave; e ainda problemas relacionados à visão.

Vale dizer que a acromegalia está ligada a uma redução da expectativa de vida em até dez anos e afeta bastante a qualidade de vida, dada a diversidade de manifestações e complicações que pode gerar. Isso porque podem acontecer limitações importantes na rotina e na realização

---

das atividades cotidianas e, conseqüentemente, a perda de autonomia. Somam-se a esses elementos os sintomas psicológicos, como a fadiga crônica, a ansiedade e a depressão. Ou seja, a acromegalia pode gerar um grande sofrimento físico e mental e impactar significativamente na qualidade de vida, na medida em que atravessa as diversas dimensões da vida da pessoa.

## **Como os pacientes com acromegalia são tratados no SUS?**

O diagnóstico laboratorial da acromegalia se baseia na constatação de altos níveis de GH e IGF-1 no sangue. Assim, o objetivo do tratamento seria a normalização da quantidade dessas substâncias na corrente sanguínea.

De acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Acromegalia, publicado em 2019, os pacientes acometidos por essa doença devem ser acompanhados por toda a vida, dada a possibilidade de retorno da atividade da doença. Para tal, são necessárias avaliações clínica e laboratorial trimestrais no primeiro ano e pelo menos uma vez ao ano depois desse período.

O tratamento da acromegalia inclui procedimentos cirúrgicos, radioterapia e terapia medicamentosa com agonistas da dopamina (cabergolina) e análogos da somatostatina (octreotida e lanreotida). Em geral, o tratamento inicial da acromegalia é cirúrgico, visando à remoção do adenoma hipofisário. Essa intervenção gera resposta terapêutica entre 50% e 70% dos casos. Em relação aos análogos da somatostatina, estudos abordam o uso desses medicamentos como tratamento primário, tratamento prévio à cirurgia e tratamento secundário (após a cirurgia), sendo efetivos em 40 a 70% dos casos. Quando o uso de análogos de somatostatina não gera a resposta esperada, são adicionados a eles os agonistas da dopamina (cabergolina). Assim, essa associação de medicamentos é considerada o tratamento de terceira linha disponível atualmente no SUS.

A radioterapia pode ser considerada terapia de segunda linha (em pacientes que não atingiram controle da doença após o tratamento cirúrgico) ou terceira linha (naqueles que não tiveram controle após tratamento cirúrgico e medicamentoso). De todo modo, ela se apresenta como uma alternativa adicional, sendo pouco utilizada na prática clínica.

## **Medicamento analisado: pamoato de pasireotida**

A avaliação do medicamento foi solicitada pela Recordati Rare Diseases e pela Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (SECTICS).

A demanda da empresa baseou-se na indicação do medicamento para pacientes que não obtiveram boa resposta terapêutica com o tratamento cirúrgico (ou com contraindicação para

---

este procedimento) e o tratamento farmacológico com análogos da somatostatina (octreotida ou lanreotida). Já a SECTICS solicitou a avaliação da tecnologia para o tratamento de: 1) pacientes com tumor após cirurgia e sem diabetes, sem resposta a análogos da somatostatina de 1ª geração; e 2) pacientes adolescentes com tumor após cirurgia e sem diabetes, sem a normalização do IGF-1 após seis meses de tratamento com análogos de somatostatina (ou otimização de dose ou associação com cabergolina).

Considerando ambas as solicitações, verificou-se que os resultados da análise científica foram bastante semelhantes. Foi possível perceber que a pasireotida aumentou as chances de obtenção da resposta terapêutica, repercutiu positivamente nas medidas de qualidade de vida e na redução do tamanho do tumor. Quanto aos eventos adversos, os mais frequentes foram diarreia leve à moderada, cálculos na vesícula biliar, dores de cabeça, aumento das taxas de glicose no sangue e diabetes. Nesse sentido, o uso da tecnologia avaliada foi relacionado a uma maior ocorrência de aumento dos níveis glicêmicos; embora não tenha sido verificada diferença entre o grupo que usou a pasireotida e o grupo controle em relação à ocorrência de eventos adversos graves.

No que diz respeito à avaliação econômica, a demanda da empresa demonstrou um aumento de custos na casa de R\$319.571 por ano de vida com qualidade. Quando considerado o impacto financeiro da possível incorporação para o sistema de saúde, estimou-se um aumento de gastos de cerca de R\$ 96,2 milhões em cinco anos.

Por outro lado, a avaliação econômica da demanda da SECTICS demonstrou que a incorporação da tecnologia avaliada geraria um custo de R\$ 482.841 para cada ano de vida ganho e de R\$ 253.484 para cada ano de vida com qualidade, quando comparada com o uso de octreotida ou lanreotida em alta dose. Quando a comparação é feita com a lanreotida ou a octreotida isoladamente, os valores são maiores, podendo chegar a R\$ 1,3 milhão por ano de vida ganho e a R\$ 698.748 por ano de vida com qualidade (no caso da lanreotida); e ainda a R\$ 875.334 por ano de vida ganho e a R\$ 459.536 por ano de vida com qualidade (em comparação com o uso da octreotida).

Sobre o cálculo de impacto para os cofres públicos de acordo com os parâmetros da demanda da SECTICS, a incorporação de pasireotida geraria um gasto de aproximadamente R\$ 131,8 milhões acumulado em cinco anos.

Porém, é importante destacar que, nas duas demandas, as estimativas de custo do tratamento por ano de vida com qualidade estão acima do limiar de custo-efetividade estabelecido pela Conitec.

---

## Perspectiva do Paciente

Foi aberta a Chamada Pública nº 47/2023 para inscrição de participantes para a Perspectiva do Paciente para discussão deste tema durante o período de 20/11 a 30/11/2023. 24 pessoas se inscreveram e os representantes titular e suplente foram definidos a partir de indicação consensual por parte do grupo de inscritos. A representante declara não ter nenhum vínculo com a indústria.

A participante inicia seu relato dizendo ter 31 anos de idade e ser moradora do Rio de Janeiro, RJ. A seguir, fala que começou a ter os primeiros sintomas da doença em 2014, quando tinha 21 anos. Entre eles, destaca: síndrome do túnel do carpo, devido à compressão do nervo do punho, interrupção da menstruação, fascite plantar (inflamação do tecido que liga o osso do calcanhar aos dedos) e comprometimento da visão periférica.

Diante dos sintomas ligados à menstruação, foi ao ginecologista, e também buscou outros especialistas médicos, como angiologista e ortopedista. De todo modo, a diminuição da visão periférica que fez com que ela procurasse uma clínica geral de confiança de seus familiares e lá foi solicitada a ressonância magnética do crânio, na qual foi detectado o tumor na hipófise de 3,5 cm.

No mês seguinte, foi encaminhada para cirurgia – realizada por meio do plano de saúde –, quando foi retirada uma fração significativa do tumor. Porém, não foi possível a retirada total, pois parte dele estava ao redor da artéria carótida. Posteriormente, ela iniciou o tratamento em um hospital universitário de sua cidade e, então, foi iniciado o tratamento com lanreotida. A paciente começou o uso desse medicamento em janeiro de 2017 e com ele permaneceu por onze meses, além do acompanhamento médico semestral. No entanto, não houve qualquer efeito sobre os níveis de GH e IGF-1.

Diante disso, foi considerada a possibilidade de realizar radiocirurgia, na medida em que o tumor, apesar de benigno, era bastante agressivo e voltou a crescer durante o período de uso inefetivo da lanreotida. Sendo assim, no final de 2018, a paciente foi submetida a mais uma cirurgia para garantir que o espaço entre o nervo óptico e a hipófise era suficiente para a realização da radiocirurgia.

A radiocirurgia foi feita seis meses depois, já em 2019, em cinco sessões. A participante descreve esse período como sendo de grande angústia, pois sua aparência física havia mudado muito, com o crescimento de mãos e pés, mudanças no formato da mandíbula, aumento do nariz, inchaço, alargamento do tórax etc. Além dessas questões, ela começou a ter fotofobia, dores de cabeça e na parte de trás do pescoço, insônia e perda significativa de sua qualidade de vida.

---

Ela teve obstáculos importantes em suas atividades sociais e cotidianas, tendo se mantido mais presente apenas no trabalho.

No meio de 2019, foi indicado o uso do pamoato de pasireotida. A participante buscou o plano de saúde para ter acesso ao medicamento. Com a negativa do fornecimento do pamoato de pasireotida, a participante recorreu à Justiça para obtê-lo via plano de saúde e teve êxito, já no final de dezembro de 2019. O uso da tecnologia avaliada, contudo, só foi iniciado em meados de janeiro de 2020.

A paciente começou a usar o medicamento avaliado na dose de 40 mg e diz que rapidamente sentiu os efeitos benéficos. Já na primeira semana de uso, as dores de cabeça cessaram, teve melhora no sono e cessou a fotofobia. À época, fazia acompanhamento clínico trimestral e foi percebida a efetiva queda nos níveis do GH e do IGF-1. Com aproximadamente seis meses de uso do pamoato de pasireotida, uma diminuição importante do tumor foi detectada em novo exame de ressonância. A paciente afirma que a radiocirurgia pode ter contribuído para isso, mas ressalta que os efeitos dessa intervenção são de longo prazo, muito embora não desconsidere o seu potencial somado ao do medicamento para sua significativa melhora.

A participante fala ainda que não teve alterações nos níveis de glicose no sangue, ainda que o aumento da glicemia seja um evento adverso esperado dessa tecnologia. Em respeito a isso, foi feito um monitoramento diário nos primeiros seis meses de uso e houve até uma diminuição nesses níveis, pois, com a doença, ocorreu um descontrole dos níveis de glicose, da insulina e da hemoglobina glicada. Com o advento do pamoato de pasireotida, eles se regularizaram. Ela destaca que o medicamento contribuiu para a melhora da sua aparência e da qualidade de vida, considerando que, atualmente, sua vida é “quase normal” (sic).

Em seguida, ela relata que, no final de 2022, foi prescrita a diminuição para a dose de 20 mg, que é a mínima. Desde então, ela continua nesse regime medicamentoso e as taxas de GH e IGF-1 continuam em queda, de forma que a condição de saúde permanece controlada.

Por fim, reforça a importância desse medicamento, visto que o tratamento da acromegalia varia muito de caso a caso. Portanto, ter mais uma alternativa disponível, segundo a representante, seria crucial para os pacientes que não tiveram melhora da doença depois de diversas tentativas.

Um membro do Comitê solicita que a representante fale sobre como estaria hoje sem o medicamento, se conhece outros casos que passem por situação semelhante no sentido da busca por acesso ao tratamento e sua perspectiva sobre a sua possível incorporação. Ela diz que não conhece outros casos no ambulatório que a atende que façam uso do pamoato de pasireotida e destaca novamente que, sem ele, não teria a qualidade de vida que possui hoje. Quanto a isso, percebe a diferença quando tem alguma interrupção – ainda que breve – no fornecimento, principalmente no que tange ao retorno de sintomas, como dor de cabeça e

---

fotofobia. Sendo assim, considera que a incorporação do medicamento avaliado pode ajudar muitas pessoas, visto que muitas não têm acesso a planos de saúde.

Ao ser perguntada sobre a frequência da obtenção do medicamento, ela relata que não o recebe em domicílio. Ela faz uso do pamoato de pasireotida a cada 28 dias em uma clínica referenciada pelo plano de saúde. É-lhe questionado ainda sobre o tempo de administração. Acerca disso, a representante afirma que a maior parte do tempo passado na clínica está ligado à necessidade de descongelar o medicamento, mas não à aplicação em si.

O vídeo da 127ª reunião pode ser acessado [aqui](#).

## **Recomendação inicial da Conitec**

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, do pamoato de pasireotida para o tratamento de pacientes com acromegalia. Esse tema foi discutido durante a 127ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada no dia 7 de março de 2024. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou a eficácia clínica da tecnologia avaliada, mas também a existência de uma relação de custo-efetividade desfavorável sob o ponto de vista econômico.

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 13, durante 20 dias, no período de 08/04/2024 a 29/04/2024, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Clique [aqui](#) para enviar sua contribuição.

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



