



# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

## **BUROSUMABE**

para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao  
cromossomo X em adultos

## **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

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**

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

# BUROSUMABE

para o tratamento de hipofosfatemia ligada  
ao cromossomo X em adultos

## O que é Hipofosfatemia Ligada ao cromossomo X?

A Hipofosfatemia Ligada ao cromossomo X (HLX) é uma doença hereditária, ultrarrara, crônica e progressiva, caracterizada por baixos níveis de fósforo no sangue e por deficiência na mineralização óssea, que resultam no amolecimento dos ossos, atraso ou paralisia do seu desenvolvimento. Assim, a doença pode manifestar-se por baixa estatura e desproporção corporal, comprometimento da função motora, dores crônicas e agudas, fraturas, dificuldade em caminhar, rigidez, fadiga, problemas dentários, como abscessos e perda dos dentes permanentes, risco de osteoporose, perda auditiva, entre outras formas. Com efeito, impacta negativamente a qualidade de vida e compromete a realização de atividades diárias, com impactos psicossociais e familiares significativos.

Tem-se a estimativa de que no Brasil existem entre 211 e 1.900 indivíduos com HLX para o atual quantitativo populacional. Os dados baseiam-se no número total de casos no país, que varia entre 1 e 9 casos a cada 1 milhão de habitantes. No entanto, um estudo brasileiro de 2020 sobre o estado do Paraná permite estimar um quantitativo de 5 casos por milhão de habitantes.



## Como os pacientes com hipofosfatemia ligada ao cromossomo X são tratados no SUS?

Conforme o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Raquitismo e Osteomalácia do Ministério da Saúde, publicado em janeiro de 2022, o tratamento dos tipos das doenças, incluindo a HLX, deve ser centrado no indivíduo, com vistas a melhorar a qualidade de vida, a mobilidade funcional, reduzir as dores, prevenir ou minimizar a necessidade de procedimentos

---

cirúrgicos, reduzir o abandono escolar e profissional, bem como promover a integração do indivíduo nas atividades sociais.

Desse modo, o documento recomenda o tratamento clínico multidisciplinar para garantir um acompanhamento adequado ao paciente, e tratamento medicamentoso específico, com administração oral de sais de fósforo e vitamina D para adultos, e burosumabe para pacientes com 1 a 18 anos incompletos de idade. Além disso, o PCDT apresenta a possibilidade de realização de procedimentos cirúrgicos ortopédicos quando necessário.

## **Medicamento analisado: burosumabe**

A empresa Ultragenyx Brasil Farmacêutica Ltda. solicitou à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) a incorporação do burosumabe para pacientes adultos com hipofosfatemia ligada ao cromossomo X. O burosumabe é um anticorpo monoclonal (substância que ajuda na defesa do organismo), que promove o aumento da absorção pelos rins de fosfato e, com isso, aumenta a concentração sérica de calcitriol. Trata-se de injeção sob a pele quinzenal em crianças e adolescentes, e mensal em pacientes adultos.

Segundo a análise das evidências clínicas, o burosumabe aumentou os níveis de fósforo sérico, com melhora da reabsorção renal de fósforo, reduziu os níveis de fosfatase alcalina, elevou os níveis de vitamina D e diminuiu a gravidade do raquitismo. Em relação aos efeitos adversos, a tecnologia avaliada apresentou reações no local da administração, dor nas articulações e dores de cabeça, que foram considerados toleráveis. No entanto, é válido ressaltar que a qualidade geral das evidências variou entre moderada e baixa.

A análise econômica comparou o burosumabe com o tratamento com sais de fosfato e calcitriol a partir de análise baseada nos custos da intervenção terapêutica em relação aos resultados em saúde produzidos ou evitados (análise de custo-utilidade). O resultado indicou uma razão de custo-utilidade incremental (RCUI) de R\$ 1.896.151,55 por ano de vida ganho com qualidade, segundo apresentado pelo demandante. O grupo técnico que elaborou o relatório refez a avaliação e verificou uma RCUI de R\$ 2.268.294,70 por ano de vida ganho com qualidade ao comparar com placebo. O impacto orçamentário estimado pelo demandante para incorporação do burosumabe no período de cinco anos foi de R\$ 293,3 milhões. Entretanto, o grupo elaborador calculou um impacto orçamentário de 1 bilhão de reais ao Sistema Único de Saúde (SUS).

---

## Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 58/2024 esteve aberta durante o período de 16 a 26 de agosto do mesmo ano e recebeu 56 inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de sorteio realizado em plataforma digital com transmissão em tempo real e com gravação enviada posteriormente para todos os inscritos.

A representante titular, de 65 anos, iniciou o uso do burosumabe em 8 de junho de 2021, aos 60 anos. O acesso ao medicamento ocorre por meio de solicitação via judicial.

A participante recebeu o diagnóstico da doença tardiamente aos 59 anos. No entanto, apresenta sintomas desde o seu primeiro ano de vida. Na época, a doença se manifestava com a má formação óssea de modo que as suas pernas eram arqueadas e, por isso, realizou várias cirurgias até os 16 anos. Aos 15 anos já não possuía nenhum dente permanente. Com o passar do tempo, passou a sentir fadiga e dor crônica diariamente. Desse modo, avalia que conseguiu estudar e trabalhar com muita dificuldade.

Em sua família, tem um sobrinho e uma irmã com raquitismo e acredita que duas irmãs faleceram ainda jovens em decorrência da doença. Há um ano, a irmã caminhava com o auxílio de duas bengalas, não conseguia ir ao trabalho e não dormia. Mas após o uso do burosumabe está bem e recuperou suas atividades. O sobrinho, que estava com depressão, também recuperou a qualidade de vida após o uso do medicamento.

Citou que não sabia o que era qualidade de vida antes de recorrer ao burosumabe. Anteriormente, além do tratamento convencional do raquitismo, ingeria vários comprimidos de diclofenaco sódico para conseguir trabalhar e suportar as dores. Atualmente, com o uso do medicamento (60 mg/mL por mês), considera que está feliz, mais produtiva e sem dores, assim como recuperou a autoestima. Ademais, relatou que já passou nove meses sem o medicamento. Nesse período, sentiu que todos os sintomas reapareceram e os níveis de fósforo no sangue caíram muito.

O vídeo da 136ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

## Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, do burosumabe para tratamento de pacientes adultos com hipofosfatemia ligada ao cromossomo X. Esse tema foi discutido durante a 136ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 4, 5 e 6 de dezembro de 2024. No primeiro dia de reunião, o Comitê de Medicamentos considerou o

---

fato da doença ser ultrarrara e produzir impacto significativo na qualidade de vida do paciente. Entretanto, os membros do Comitê observaram incertezas relacionadas às evidências clínicas, especialmente sobre a eficácia da tecnologia, bem como limites sobre aspectos metodológicos da análise econômica, que podem ter subestimado o resultado da análise de custo-utilidade e do impacto orçamentário.

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 4, durante 20 dias, no período de 16/01/2025 a 04/02/2025, 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](#).