



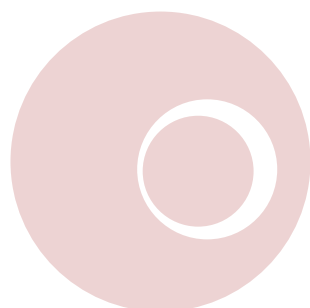
n. 60

publicado em agosto/2017
DECISÃO FINAL em dezembro/2017

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

*IDURSULFASE COMO TERAPIA DE REPOSIÇÃO
ENZIMÁTICA NA MUCOPOLISSACARIDOSE TIPO II*



RELATÓRIO PARA A SOCIEDADE

Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – 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 e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a CONITEC, acesse <conitec.gov.br>

Mucopolissacaridose tipo II

Mucopolissacaridose ou MPS é o termo utilizado para denominar um grupo de doenças raras e hereditárias caracterizada por falta ou deficiência de enzimas (proteínas que auxiliam as reações químicas que acontecem no organismo) importantes na digestão de determinados tipos de açúcares no organismo (os mucopolissacarídeos). Por conta dessa deficiência, as pessoas com a doença apresentam alguns distúrbios no funcionamento de seus órgãos, podendo apresentar diferentes graus de comprometimento de sua saúde. **A Mucopolissacaridose tipo II, também conhecida como Síndrome de Hurler** acomete principalmente as pessoas do sexo masculino, e nela, a deficiência ocorre na enzima iduronato-2-sulfatase (IDS). As principais manifestações da doença são: *faceis típica* (deformações características na face/rosto), dificuldades respiratórias, crescimento do fígado, alterações articulares e cardíacas, irritabilidade, baixa estatura, perda auditiva e aumento do tamanho da cabeça. O agravamento das manifestações pode levar o indivíduo à morte ainda na juventude ou idade adulta. Acredita-se que a doença ocorra em um a cada 156 mil nascimentos.

Como o SUS trata os pacientes com mucopolissacaridose tipo II

Não existe tratamento curativo para a MPS II. Até o momento, o SUS oferece tratamentos para os sintomas da doença, por meio de procedimentos previstos na Política Nacional de Atenção às Pessoas com Doenças Raras. O manejo clínico dos pacientes envolve equipe multidisciplinar com atividades como fisioterapia e fonoaudiologia, uso de medicamentos sintomáticos, intervenções cirúrgicas e específicas de acordo com o caso e o transplante de células hematopoiéticas (TCTH), que, principalmente nas crianças pequenas já diagnosticadas, apresenta-se como uma alternativa importante de tratamento.

Medicamento analisado: Idursulfase

A Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde solicitou à CONITEC a avaliação do medicamento idursulfase como terapia de reposição enzimática em pacientes com Mucopolissacaridose II.

A idursulfase é um medicamento de uso intravenoso capaz de atuar substituindo a função da enzima deficiente nas pessoas com MPS II e tem se mostrado como uma alternativa de tratamento. O medicamento possui registro na Anvisa.

A CONITEC avaliou estudos científicos sobre a eficácia e segurança da idursulfase para MPS II. Por ser uma doença rara, existem poucos estudos científicos e estes, ainda apresentam baixa qualidade na avaliação de resultados importantes para verificação do benefício do medicamento. Os estudos avaliados mostraram potencial benefício na mobilidade articular dos pacientes. Além disso, acredita-se que o maior benefício do tratamento com idursulfase acontece com o uso ainda nos primeiros anos de vida. Como o diagnóstico na maioria das vezes é tardio, os estudos acompanharam pessoas de maior idade, e portanto, já com algumas manifestações irreversíveis da doença, o que pode interferir na avaliação dos resultados com o uso do medicamento. Em relação à segurança do uso da idursulfase, a análise dos estudos considerou tratar-se de um medicamento seguro, não sendo relatados efeitos indesejados importantes que pudessem comprometer a sua utilização no tratamento.

A avaliação econômica realizada apontou um custo significativo para a inclusão da idursulfase no SUS.



Recomendação inicial da CONITEC

Foi considerada pelo Plenário da CONITEC a escassez de opções terapêuticas para a doença, além da possibilidade de se estabelecer critérios definidos para inclusão ou exclusão de pacientes do tratamento, especialmente aqueles que não apresentarem resposta ao tratamento. Assim, os membros do Plenário da CONITEC, presentes na 56ª reunião ordinária, realizada nos dias 07 e 08 de junho de 2017, recomendaram inicialmente a incorporação no SUS da idursulfase como terapia de reposição enzimática para a Mucopolissacaridose II, condicionada à elaboração de protocolo clínico e diretrizes terapêuticas.

A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 20 dias.

Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública, realizada entre os dias 04/08/2017 e 23/08/2017. Foram recebidas 625 contribuições, sendo 70 técnico-científicas e 555 sobre experiência ou opinião. Houve confusão na interpretação do texto em relação aos critérios de inclusão para o tratamento com idursulfase alfa, porém observou-se que a maioria das contribuições são de concordância com a recomendação preliminar sobre a incorporação da idursulfase alfa como tratamento específico para a MPS II. No geral todas exemplificaram que pacientes com forma grave apresentam excelente resposta ao tratamento.

Recomendação final da CONITEC

Os membros da CONITEC presentes na 59ª reunião ordinária, realizada no dia 31 de agosto de 2017, recomendaram a inclusão ao SUS da idursulfase alfa como terapia de reposição enzimática na mucopolissacaridose tipo II, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde.

Decisão final

Com base na recomendação da CONITEC, o Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu incorporar a idursulfase alfa como terapia de reposição enzimática na mucopolissacaridose tipo II, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

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

< http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2017/Relatorio_Idursulfase_MPS_II_final.pdf >



<http://conitec.gov.br> twitter: @conitec_gov app: conitec

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS