



RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

AMPLIAÇÃO DE USO DO MEPOLIZUMABE
para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos
com asma eosinofílica grave refratária

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

E-mail: 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

Patricia Mandetta Gandara

Marina de Paula Tiveron

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

AMPLIAÇÃO DE USO DO MEPOLIZUMABE

para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária

O que é a asma eosinofílica grave?

No Brasil, a asma é um dos problemas de saúde respiratória mais recorrentes e estima-se que 23,2% da população viva com a doença, representando aproximadamente 24% da população infantil. Calcula-se que aproximadamente 5 a 10% dos adultos e 2 a 5% das crianças apresentam sintomas persistentes, gerando repetidas internações hospitalares devido às crises, faltas ao trabalho e à escola, bem como prejuízos à qualidade de vida do paciente e do grupo familiar.

Nesse sentido, a asma eosinofílica grave, na criança ou adolescente, é um tipo de asma caracterizada pela presença de níveis elevados de eosinófilos, que são glóbulos brancos do sangue responsáveis pela ação contra microrganismos e pelo combate a infecções no corpo. Em geral, a doença inicia-se na infância ou na adolescência e está vinculada a outras condições alérgicas, como rinite alérgica e inflamação da pele, assim como ao histórico familiar. A resposta inflamatória é iniciada pela exposição a substâncias irritantes e causadoras de alergia, desencadeando inflamação das vias aéreas.

O diagnóstico de asma eosinofílica grave refratária em crianças ou adolescentes envolve a confirmação da presença de eosinófilos no sangue e no escarro, juntamente com resultados positivos para testes específicos de alergia ou testes cutâneos.



Como os pacientes com asma eosinofílica grave são tratados no SUS?

O tratamento de pacientes com asma está relacionado à gravidade da doença, sendo necessário o controle de forma individualizada. Em geral, na terapia, são utilizados os medicamentos controladores e os medicamentos de alívio.

Os medicamentos controladores são a base do tratamento da asma persistente e se caracterizam pela ação anti-inflamatória. Já os medicamentos de alívio são aqueles usados de acordo com a necessidade do paciente, atuando rapidamente no alívio dos sintomas e na reversão do bloqueio de ar.

Para os casos de asma grave, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Asma recomenda o uso associado de corticoides inalatórios e broncodilatadores de curta e longa duração. Para a asma alérgica grave, a orientação é combinar essa terapia com omalizumabe.

Atualmente, os seguintes medicamentos estão disponíveis no SUS para o tratamento da asma: beclometasona, budesonida, formoterol, salmeterol, fenoterol, salbutamol, prednisona, prednisolona, formoterol + budesonida.

De acordo com o PCDT, o uso do mepolizumabe está restrito a pacientes adultos com asma eosinofílica grave refratária, associado ao tratamento com corticoides inalatórios e broncodilatadores de longa duração e com a contagem de células de defesa no sangue.

Medicamento analisado: mepolizumabe

A solicitação de ampliação de uso do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária no SUS foi uma demanda da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde, do Ministério da Saúde (SECTICS/MS)

O mepolizumabe tem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) com indicação para tratamento complementar de manutenção da asma eosinofílica grave em pacientes adultos e pediátricos a partir de seis anos de idade. As evidências demonstraram que o uso de mepolizumabe adicionado ao tratamento com corticoides inalatórios + broncodilatadores de longa duração foi eficaz na diminuição do número de crises de asma. Para os demais desfechos de eficácia, os resultados indicam melhora, porém com baixa magnitude de efeitos. O medicamento apresentou bom nível de segurança, com frequência de eventos adversos leves e moderados.

Na avaliação econômica, em um horizonte de 12 anos, incluindo a trajetória da população com seis anos de idade até os 18 anos completos, observou-se que o uso do mepolizumabe alcançou 80% de probabilidade de ser custo-efetivo a partir da disposição a pagar de aproximadamente R\$ 800 mil por anos de vida ajustados pela qualidade. Assim, considerando um número médio de 184 pacientes elegíveis ao uso do mepolizumabe, calcula-se que ampliação de cobertura do mepolizumabe para pacientes com asma grave eosinofílica com idade entre 6 e 17 anos, no SUS, pode representar um impacto total de aproximadamente R\$ 27 milhões, em cinco anos.

Perspectiva do paciente

Foi aberta a Chamada Pública nº 39/2023 para inscrição de participantes para a Perspectiva do Paciente, durante o período de 11 a 23 de outubro de 2023, e 29 pessoas se inscreveram. Contudo, verificou-se que elas não atendiam às especificidades desta chamada e a Secretaria-Executiva da Conitec realizou uma busca ativa junto a especialistas, associações de pacientes e centros de tratamento. A representante titular relatou a experiência do filho com o uso do mepolizumabe para o tratamento de asma grave. Ela informou que, com cerca de um mês e vinte dias de vida, a criança teve crise de bronquiolite e ficou hospitalizado por dez dias. Posteriormente, teve crises repetidas de pneumonia e foi diagnosticado com asma grave, passando a utilizar corticoides inalatórios e orais. Diante das crises e hospitalizações frequentes, iniciou a terapia com omalizumabe e a manteve durante dois anos. Entretanto, segundo a participante, não obstante a diminuição das crises, houve manutenção do cansaço a pequenos esforços e da necessidade de internações hospitalares durante as exacerbações. Assim, ela informou que, em 2023, o seu filho começou o tratamento com mepolizumabe na rede privada e, há sete meses, tem apresentado melhora significativa nos sintomas, principalmente, no que diz respeito ao cansaço a pequenos esforços e à diminuição da quantidade e da gravidade das crises. De acordo com a representante titular, o medicamento é administrado uma vez por mês por via subcutânea e, como principais benefícios da tecnologia, ela destacou a melhora do estado de saúde do seu filho e a possibilidade de realização de atividades cotidianas sem cansaço, tais como subir ladeira, correr, jogar bola e andar de bicicleta. Além disso, ressaltou a diminuição das crises de asma e das internações, bem como a não ocorrência de eventos adversos. Por fim, ressaltou que, no caso do seu filho, o uso do mepolizumabe é combinado a outros medicamentos para a condição de saúde.

O vídeo da 124ª Reunião pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente não ampliação de uso, no SUS, do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária. Esse tema foi discutido durante a 124ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada no dia 8 e 9 de novembro de 2023. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou que, apesar de o medicamento promover a diminuição do número de crises com necessidade de hospitalização, a dimensão dos efeitos da tecnologia foi superestimada nas evidências apresentadas em comparação ao existente no mundo real. Além disso, o tratamento com o mepolizumabe foi considerado dispendioso, sem custo-efetividade, ou seja, sem apresentar uma boa relação

entre o custo da tecnologia e seus benefícios, e com alto impacto orçamentário.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 55, durante 20 dias, no período de 26/12/2023 a 15/01/2023, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 206 contribuições, sendo 138 sobre experiência e opinião e 68 técnico-científicas, uma foi desconsiderada por referir-se a outra consulta pública. Todos os participantes manifestaram-se favoravelmente à incorporação da tecnologia no SUS, em discordância com a recomendação preliminar da Conitec, mencionando como principais benefícios da incorporação do mepolizumabe a redução das exacerbações e da perda progressiva da função pulmonar, a melhora da qualidade de vida dos pacientes com a diminuição de hospitalizações, da ansiedade e do sofrimento emocional. Nas contribuições de experiência e opinião, os participantes reforçaram os resultados positivos da tecnologia avaliada, tais como a efetividade na diminuição das internações e das crises de asma e a melhora da qualidade de vida. Além disso, para os respondentes, o medicamento representa uma opção de tratamento para os pacientes que não respondem às demais terapêuticas disponíveis no SUS. A dificuldade de acesso relacionada ao alto custo do medicamento foi mencionada como resultado negativo da tecnologia analisada. Nas contribuições técnico-científicas, houve comentários sobre evidências clínicas, mas não foram incluídos novos dados. A maioria das contribuições relacionadas ao aspecto econômico discutiu a importância dos custos diretos e indiretos associados à asma, os quais foram, em sua maioria, considerados no modelo de custo-efetividade. O demandante fez uma nova proposta de preço para as duas apresentações, apresentando um desconto de aproximadamente 70% (R\$ 776,60) na apresentação de 40 mg de mepolizumabe em relação ao valor utilizado na apreciação preliminar (R\$ 2.860,08). Com os novos preços propostos, o modelo de custo-efetividade apontou uma Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI) de R\$ 228.881,89 por ano de vida ajustado pela qualidade (QALY) em vez da RCEI inicial de R\$ 671.899,62/QALY. Quanto ao impacto orçamentário, os novos preços gerariam um impacto adicional de R\$ 6.138.093,60 em cinco anos, que é inferior ao valor de R\$ 16.331.929,69 inicialmente estimado.

Recomendação final da Conitec

A 127ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 6, 7 e 8 de março de 2024. No dia 6 de março de 2024, o Comitê de medicamentos recomendou a incorporação, ao SUS, do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma

eosinofílica grave refratária, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Considerou-se que houve elementos suficientes para modificar a interpretação inicial em relação aos aspectos de custo-efetividade, impacto orçamentário e implementação da tecnologia.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, o secretário de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela incorporação, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

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