

# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

## PEGCETACOPLANA

para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística  
noturna previamente tratados com inibidores do complemento

## **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

# PEGCETACOPLANA

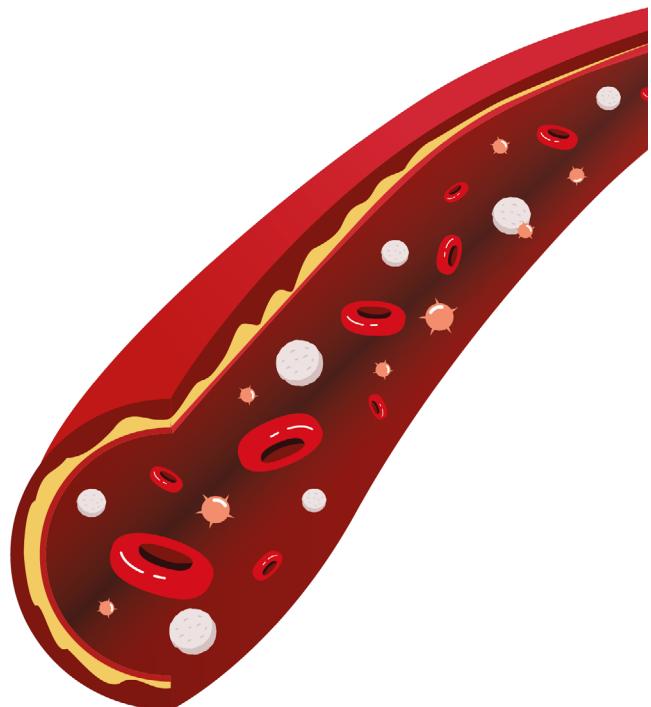
para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento

## O que é a hemoglobinúria paroxística noturna?

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença rara das células sanguíneas, causada por uma mutação genética que leva à destruição das hemácias (glóbulos vermelhos). Em condições normais, existem proteínas na superfície das hemácias que desempenham função de proteção das células. Em pessoas com HPN, a mutação faz com que os glóbulos vermelhos sejam produzidos sem essas substâncias protetoras, confundindo o sistema complemento do corpo (responsável por remover células danificadas do corpo). Esse processo pode ocasionar a destruição das hemácias (que pode ser intravascular ou extravascular, a depender do tipo de proteína ausente), insuficiência da medula óssea ou trombose (formação de coágulos nos vasos e artérias do sangue).

A doença está associada ao desenvolvimento de anemia crônica e, por isso, um de seus principais sintomas é o cansaço intenso. Outros sintomas como mal-estar generalizado, falta de ar, concentração anormal de hemoglobina na urina, insuficiência renal, dificuldade para engolir alimentos e líquidos, contrações dolorosas no esôfago, febre, disfunção erétil, dor nas costas e lombar, também podem estar associados à HPN.

Apesar de haver pouca informação epidemiológica sobre esta doença, não apenas por sua raridade, mas também pela dificuldade em diagnosticá-la, estima-se que a incidência anual de HPN é de 1,3 novos casos a cada um milhão de indivíduos no mundo. Os Sistemas de Informação Hospitalar e Ambulatorial do SUS, identificaram 675 pacientes com HPN no Brasil, entre os anos de 2008 e 2018, tendo uma prevalência estimada de um caso a cada 237 mil



---

habitantes.

A doença pode ser classificada, segundo sua manifestação clínica, em três subtipos: 1) HPN clássica: o paciente manifesta de rompimento de hemácias, sem outro distúrbio de falha na medula óssea; 2) HPN associada a outros distúrbios primários da medula óssea: comumente relacionada à falência da medula óssea e à produção insuficiente de células do sangue na medula óssea; e 3) HPN-subclínica: os pacientes não têm evidência clínica ou laboratorial de rompimento de células sanguíneas ou de trombose. Contudo, os pacientes podem mudar de classificação ao longo do tempo e todos apresentam algum grau de falência medular, por isso, devem ter sua condição clínica acompanhada com a devida frequência.

Também é classificada a quantidade de proteínas ligadas às hemácias que a protegem, entre os tipos I, II e III, indo de níveis normais à ausência total de proteínas, respectivamente.

## **Como os pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna são tratados no SUS?**

De acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Hemoglobinúria Paroxística Noturna, o único tratamento que tem o objetivo de curar a doença é a realização de Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas Alogênico (TCTH-AL). Contudo, o tratamento da HPN também conta com medidas medicamentosas e não medicamentosas para reduzir a destruição de hemácias, além de prevenir e tratar a formação de coágulos no sangue e outras complicações relacionadas.

O tratamento é instituído de acordo com as manifestações clínicas da doença, e há várias alternativas terapêuticas, não curativas, mas que podem reduzir as suas complicações, como o uso de corticoides, androgênios, imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e realização de transfusão de sangue.

A proteína C5 do sistema de complemento foi identificada como o alvo ideal para o tratamento inicial da HPN. A inibição dessa proteína pode bloquear de forma eficaz a ausência de proteção das hemácias. Assim, medicamentos como o eculizumabe e ravulizumabe (anticorpos monoclonais inibidores da proteína C5), também são opções de tratamento para a HPN.

## **Medicamento analisado: pegcetacopla**

A Pint Pharma solicitou à Conitec a avaliação da pegcetacopla para o tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidores do complemento, visando a sua incorporação no SUS.

---

A pegcetacoplana é um imunossupressor que se liga à proteína C3 do sistema de complemento, controlando a destruição de hemácias extravasculares e intravasculares. Atualmente, tem indicação aprovada na Agência de Vigilância Sanitária (Anvisa) para o tratamento de adultos com HPN.

As evidências indicam que o uso da pegcetacoplana proporciona um maior aumento dos níveis de hemoglobina no sangue, em comparação ao uso do eculizumabe. Ainda na comparação entre esses dois medicamentos, 85% dos pacientes tratados com pegcetacoplana não necessitaram mais de transfusões de sangue e há uma redução na contagem de reticulócitos (hemácias imaturas que ainda não conseguem transportar oxigênio pelo corpo) com o uso da pegcetacoplana e um aumento com o uso de eculizumabe. Há a indicação de melhora na qualidade de vida dos pacientes com o uso da pegcetacoplana, em relação ao uso do eculizumabe. Já na comparação com o ravulizumabe, a pegcetacoplana apresentou resultados superiores na redução dos sintomas, ausência de transfusões de sangue, normalização dos níveis de desidrogenase láctica e aumento na qualidade de vida dos pacientes. A avaliação da qualidade da evidência foi considerada moderada.

A avaliação econômica demonstrou que a razão de custo-utilidade incremental (relação entre o custo adicional e o benefício adicional obtido) da incorporação da pegcetacoplana possibilitaria uma economia de R\$ 3.816.473,44 com relação ao eculizumabe e de 1.858.994,53 em comparação ao ravulizumabe. A análise de impacto orçamentário estimou que a incorporação da pegcetacoplana poderia resultar em economia de recursos para o sistema de R\$ 157,99 milhões, acumulados ao longo de cinco anos.

## Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 34/2024 esteve aberta durante o período de 03/06/2024 a 12/06/2024 e recebeu dez inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de consenso entre o grupo de inscritos.

O representante relatou que foi diagnosticado com anemia aplástica, em 2015, quando tinha 45 anos de idade. O diagnóstico foi confirmado após da necessidade de realização de vários exames e transfusões de sangue. Iniciou o tratamento com ciclosporina e também foi indicado o transplante de medula, mas seus familiares não tinham total compatibilidade para a realização do procedimento. Começou, então, um tratamento com timoglobulina, no qual ficou internado por 45 dias e, após esse período, não havia mais indícios da anemia aplástica, mas o HPN foi diagnosticado.

O participante contou que após o diagnóstico, entrou com ação judicial para acesso ao eculizumabe e desde então faz uso de três frascos do medicamento, quinzenalmente. Contudo,

---

relatou que, após nove anos em tratamento com o eculizumabe, passou a apresentar muito cansaço e hemólise pela manhã, ao acordar. Dessa forma, sua equipe médica indicou o uso da pegcetacoplana, a fim de estabilizar o reaparecimento dos sintomas da HPN. Contudo, ele ainda não fez uso do medicamento em avaliação, por não estar disponível no SUS.

Após ser questionado, confirmou que iniciou o uso do eculizumabe ainda em 2015, após quatro meses do início do uso da ciclosporina.

O vídeo da 133<sup>a</sup> Reunião Ordinária ou Extraordinária pode ser acessado [aqui](#).

## Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, da pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidores do complemento. Esse tema foi discutido durante a 133<sup>a</sup> Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 04 e 05 de setembro de 2024. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou a pouca existência de evidências científicas, as incertezas em relação às comparações realizadas nos estudos e ao método utilizado para mensuração da qualidade de vida dos pacientes.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 67, durante 20 dias, no período de 07/10/2024 a 29/10/2024, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

## Resultado da consulta pública

A Consulta Pública nº 67 avaliou a incorporação do pegcetacoplana no SUS, recebendo 198 contribuições, das quais 98% foram favoráveis. Os benefícios mencionados acerca da tecnologia avaliada incluem a facilidade para a administração subcutânea, a melhora na qualidade de vida, a efetividade do medicamento, a redução de episódios de hemólise intra e extravascular, o aumento dos níveis de hemoglobina, a diminuição de transfusões e de internações hospitalares, e a possibilidade de os pacientes terem tratamento domiciliar. A principal dificuldade apontada foi o alto custo do medicamento. Em relação à experiência com outras tecnologias, a efetividade foi mencionada como aspecto positivo. Entre as experiências negativas ou dificuldades com essas outras tecnologias, os respondentes apontaram as limitações relacionadas à forma e à frequência de aplicação, exigindo deslocamentos constantes e dificultando a adesão ao tratamento.

A demandante da tecnologia apresentou na consulta pública uma nova proposta, reforçando a eficácia e segurança do medicamento e comprometendo-se a doar oito frascos (doses),

---

equivalentes às quatro primeiras semanas de tratamento, para pacientes previamente tratados com eculizumabe ou ravulizumabe. Os resultados dessa nova proposta projetaram uma economia de até R\$ 538 milhões ao final de cinco anos de incorporação. A economia esperada decorre da redução de complicações, internações e menores custos associados ao tratamento. Contudo, após análise crítica da proposta, mantém-se a premissa de que o desfecho de mortalidade dos pacientes em uso desses medicamentos seria igual à da população geral, não diminuindo a mortalidade por HPN.

## **Recomendação final da Conitec**

A 136ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 04, 05 e 06 de dezembro de 2024. No primeiro dia, o Comitê de Medicamentos recomendou a não incorporação, ao SUS, da pegcetacoplana no tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidores do complemento. Para essa deliberação, os membros do Comitê consideraram as incertezas quanto aos custos apontados nas análises econômicas e impacto orçamentário, aliado às dificuldades operacionais envolvidas na 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 não incorporação ou incorporação, no âmbito do SUS, da pegcetacoplana no tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidores do complemento.

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