

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

DEFERIPRONA

para o tratamento da sobrecarga de ferro na doença falciforme

2025 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

Luiza Nogueira Losco

Marina Kuebler Silva

Melina Sampaio de Ramos Barros

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Bruna Cabral de Pina Viana

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

DEFERIPRONA

para o tratamento da sobrecarga de ferro na doença falciforme

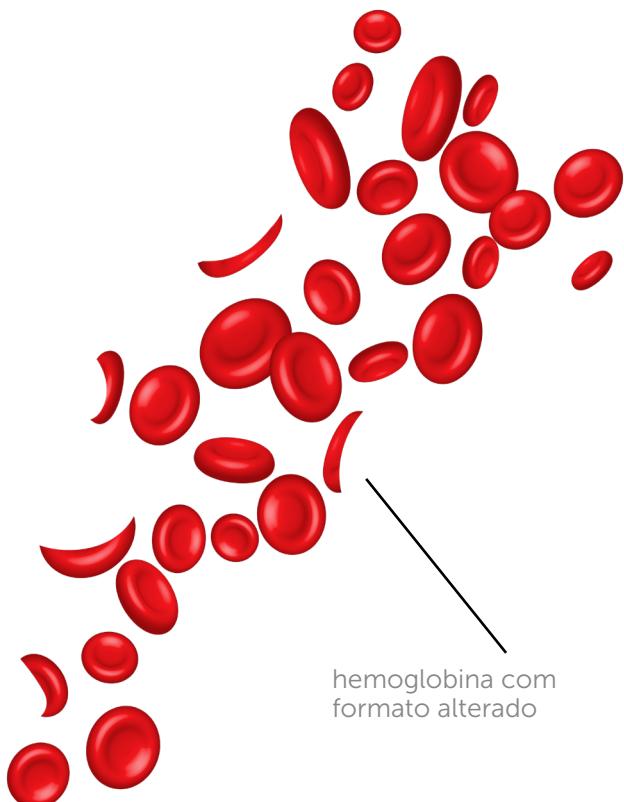
O que é doença falciforme?

Doença Falciforme (DF) é um termo que engloba um conjunto de doenças que alteram o formato da hemoglobina, um dos componentes dos glóbulos vermelhos do sangue, que têm a função de transportar oxigênio para todas as células do corpo. A hemoglobina costuma ser redonda, mas por causa da DF assume forma de foice, o que dificulta sua passagem pelos vasos sanguíneos, prejudicando o transporte do oxigênio para os tecidos.

A DF possui caráter hereditário, ou seja, tem origem genética e pode provocar dores, Acidente Vascular Cerebral (AVC), que acontece quando vasos que levam sangue ao cérebro entopem ou se rompem, provocando paralisia da área cerebral que ficou sem circulação sanguínea, doença pulmonar crônica e doença renal crônica, entre outras complicações.

Como forma de evitar ou diminuir os impactos das complicações na DF, é indicada a realização de transfusões sanguíneas, o que pode provocar um aumento da quantidade de ferro no sangue. Nos pacientes com DF, o ferro excedente costuma se acumular no fígado, mas com o tempo também pode afetar o coração e os órgãos endócrinos (como pâncreas, tireóide e gônadas), provocando complicações associadas.

A DF afeta cerca de 250 milhões de pessoas no mundo. Cerca de 90% dos casos ocorrem em países de baixa e média renda. Em média, 300.000 bebês nascem globalmente com a doença. No Brasil, o Ministério da Saúde estima que a cada ano nascem cerca de 3.000 crianças com DF e 200.000 com alguma alteração genética relacionada à doença. A ocorrência de mortes provocadas pela DF, no país, está estimada em 1 a cada 400 mil habitantes.



Como os pacientes com sobrecarga de ferro são tratados no SUS?

Os pacientes que recebem transfusões devem ser continuamente monitorados para, quando necessário, utilizar quelantes de ferro, medicamentos que se ligam ao ferro, favorecendo a sua eliminação e estabilizando o nível desse mineral no organismo. O tratamento deve ser feito de forma individualizada, ou seja, de acordo com o quadro e as características de cada paciente.

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Sobrecarga de Ferro, publicado em 2018, inclui os seguintes quelantes de ferro: deferiprona (comprimidos de 500 mg), desferroxamina (frasco-ampola de 500 mg) e deferasirox (comprimidos de 125, 250 e 500 mg), entretanto, não indica a deferiprona para pacientes que apresentam DF.

Medicamento analisado: deferiprona

A deferiprona é um quelante de ferro de uso oral, que em 2021 obteve aprovação para o tratamento da sobrecarga de ferro em adultos e crianças com DF. Atua se ligando ao ferro e fazendo a sua eliminação por meio da urina. Sua incorporação ao Sistema Único de Saúde (SUS) para tratamento da sobrecarga de ferro em pacientes com DF foi demandada pela Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde, do Ministério da Saúde (SECTICS/MS).

No âmbito das evidências clínicas, a comparação direta entre deferiprona e desferroxamina não indicou diferença significativa entre os dois medicamentos. A comparação entre deferiprona e deferasirox, por sua vez, foi realizada de maneira indireta, tendo sido observada a mesma conclusão. A certeza da evidência variou entre baixa e muito baixa.

Para a avaliação econômica foi realizada uma análise de custo-utilidade, a qual mede os anos de vida vividos com qualidade que uma tecnologia pode proporcionar, sob a perspectiva do SUS. Tomou-se a expectativa de vida de pacientes com doença falciforme como horizonte temporal e foi feita uma simulação comparando deferiprona com os medicamentos disponíveis no SUS para o tratamento de indivíduos com sobrecarga de ferro na DF. O resultado da análise indicou que em menos da metade das simulações a deferiprona se revelou mais econômica para o SUS, quando comparada com a desferroxamina. Quando comparada ao deferasirox, a deferiprona, de acordo com mais da metade das simulações efetuadas, se revelou menos econômica.

Para a análise de impacto orçamentário foi necessário estimar o quantitativo de potenciais usuários da deferiprona no SUS. Para isso foram construídos dois cenários, um deles a partir de dados governamentais sobre pacientes com DF que realizaram transfusões sanguíneas

(demanda aferida) e outro pelo método epidemiológico, ou seja, por meio da estimativa de pessoas acometidas pela DF na população brasileira que necessitarão de transfusões. Foi estabelecido um período de cinco anos como horizonte temporal. O cálculo indicou um incremento ao orçamento do SUS de R\$ 47 milhões, quando feito a partir da demanda aferida, e de R\$ 84 milhões, quando utilizado o método epidemiológico.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 27/2024 ficou aberta de 16 a 26 de maio de 2024 e recebeu 12 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 para todos os inscritos.

O representante titular, de 45 anos, falou sobre sua experiência com os medicamentos desferroxamina, deferasirox e deferiprona. Embora tenha afirmado em seu relato que considera os três eficazes, elencou algumas dificuldades relacionadas ao uso da desferroxamina e do deferasirox.

Em relação à desferroxamina, afirmou que a administração ocorre por infusão, por cerca de 6 a 10 horas e necessita ser feita em hemocentro ou ambulatório. Com isso, a posologia se torna inconveniente tanto para o paciente quanto para o centro de saúde, que perde espaço para tratar casos mais graves e/ou emergenciais. Já o paciente gasta um tempo grande do dia realizando a infusão no hemocentro ou ambulatório. Explicou que, tempos atrás, existia uma “bomrinha” que permitia que a infusão fosse feita em casa, durante a noite, no período do sono, mas que esse recurso não está mais disponível. Quanto ao deferasirox, mencionou que provocou muitos eventos adversos, tais como náusea, constipação, erupções cutâneas e dor de cabeça. Sobre a deferiprona, que vem usando há cerca de um ano, considerou a posologia cômoda, mesmo quando há necessidade de ingerir muitos comprimidos, e a ausência de eventos adversos. Completou seu relato ponderando que cada organismo é diferente e que o médico é quem deve decidir qual o melhor medicamento para cada pessoa, após exames e análise das características individuais do paciente.

O vídeo da 135^a Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por unanimidade, a incorporação, ao SUS, da deferiprona para o tratamento a sobrecarga de ferro em pacientes com doença falciforme. Esse tema foi discutido durante a 135^a Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 06, 07 e 08 de novembro de 2024. No dia 07 de novembro, o Comitê de Medicamentos considerou que o medicamento pode constituir uma alternativa terapêutica oral para pacientes intolerantes ao

deferasirox, que apresentam comprometimento renal ou necessitam de terapia combinada de quelantes de ferro.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 100, durante 20 dias, no período de 19/12/2024 a 07/01/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 207 contribuições, dentre as quais 206 foram favoráveis à incorporação de deferiprona ao SUS. As contribuições mencionaram aspectos como a importância de ampliar as alternativas de tratamento no SUS, a eficácia e a segurança da tecnologia, além da possibilidade de aumentar a adesão ao tratamento e a qualidade de vida. Participantes que afirmaram possuir experiência com a tecnologia também mencionaram a possibilidade de uso por pacientes com questões renais. Foi bastante mencionada a conveniência de incorporar a apresentação do comprimido de deferiprona de 1.000 mg, de liberação prolongada, inclusive devido à equivalência do preço com a apresentação de 500 mg. As contribuições feitas nos campos de “evidências científicas” e “estudos econômicos” não promoveram o acréscimo de novas evidências aos estudos efetuados, mas destacaram a utilização de deferiprona para o tratamento da sobrecarga de ferro na doença falciforme e a importância de ampliar as opções terapêuticas para esses pacientes.

Recomendação final da Conitec

A 137ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 12,13, 19 e 20 de fevereiro de 2025. No dia 12 de fevereiro de 2025, o Comitê de Medicamentos recomendou, por unanimidade, a incorporação da deferiprona 500 mg e da deferiprona 1.000 mg para o tratamento de pacientes com sobrecarga de ferro. A consulta pública trouxe considerações sobre a conveniência da incorporação ao SUS de deferiprona em comprimidos de liberação prolongada de 1.000 mg e, diante da constatação de que a incorporação desta não promoveria acréscimo ao impacto orçamentário, também foi considerada a incorporação da apresentação de 1.000 mg para o tratamento de pacientes com sobrecarga de ferro, por reduzir a frequência de administração diária, promovendo maior comodidade posológica e favorecendo, com isso, maior adesão do paciente ao tratamento.

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 – substituto, no uso de suas

atribuições legais, decidiu pela incorporação de deferiprona para o tratamento a sobrecarga de ferro em pacientes com doença falciforme, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

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