

Alfa-alglicosidase para Pompe

Vania Canuto Diretora

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde –

DGITIS/SCTIE

31/08/21

DISQUE
SAÚDE
136

SUS+

MINISTÉRIO DA
SAÚDE

 **PÁTRIA AMADA
BRASIL**
GOVERNO FEDERAL

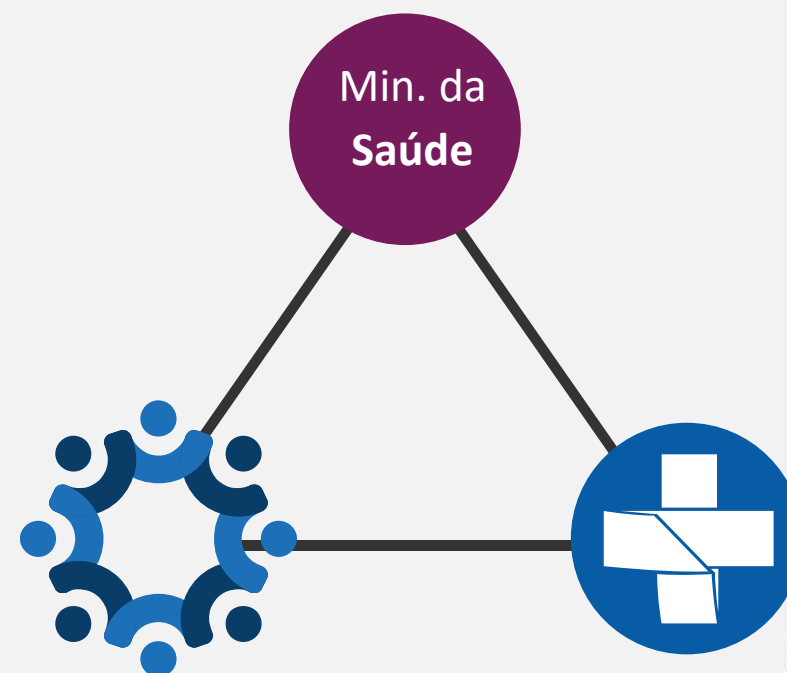
Lei nº 12.401/2011

Conitec

Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

É um órgão **colegiado de caráter permanente**, integrante da estrutura regimental do Ministério da Saúde.

Tem por **objetivo** assessorar a Pasta nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração, pelo SUS, de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas.



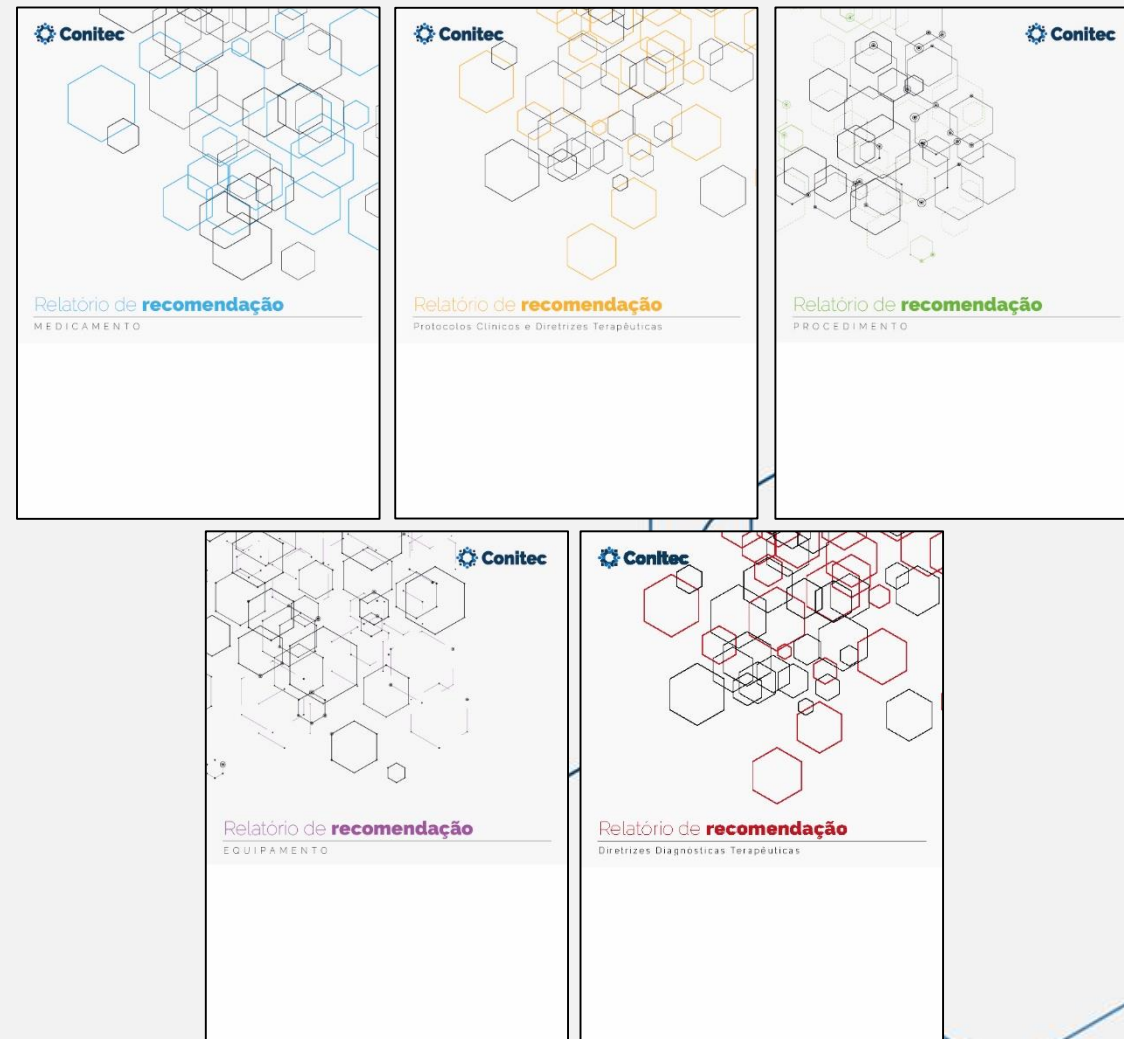
Tomada de decisão baseada em evidência



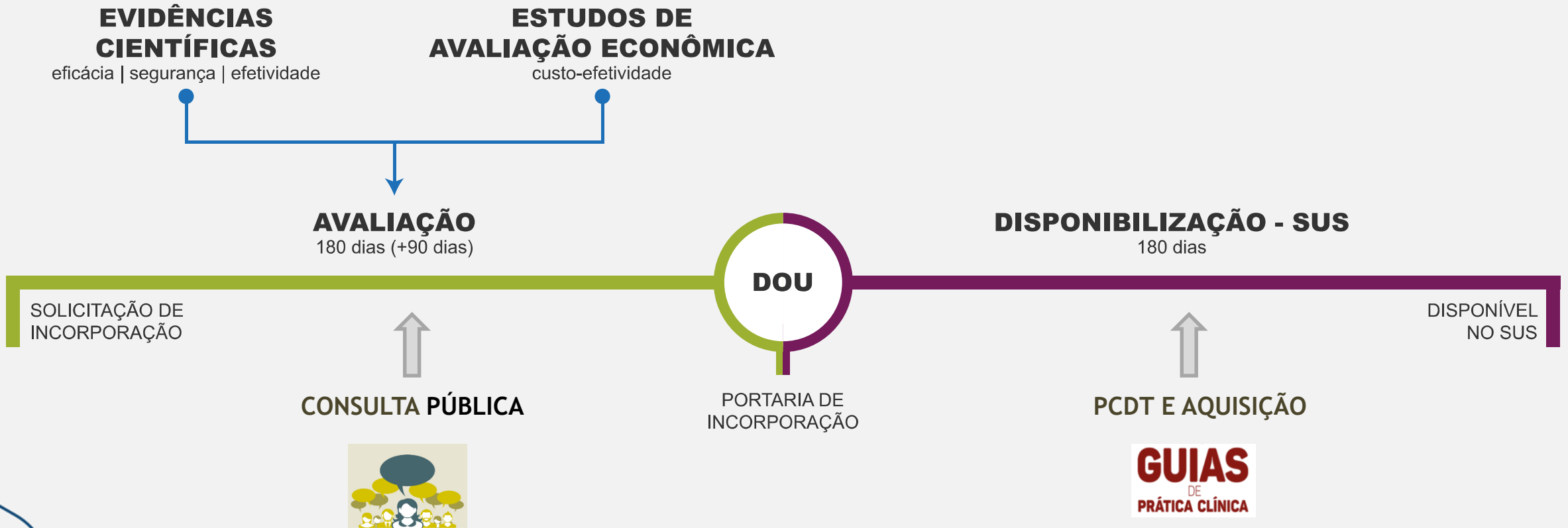
Relatório – Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS)

- Doença
- Tecnologia
- Análise das evidências apresentadas pelo Demandante
 - Evidência Clínica
 - Avaliação Econômica
 - Impacto Orçamentário
- Busca e Análise de Evidências
- Experiências internacionais
- Monitoramento do Horizonte Tecnológico
- Recomendação da Conitec
- Consulta Pública
- Deliberação Final
- Decisão

<http://conitec.gov.br/decisoes-sobre-incorporacoes>

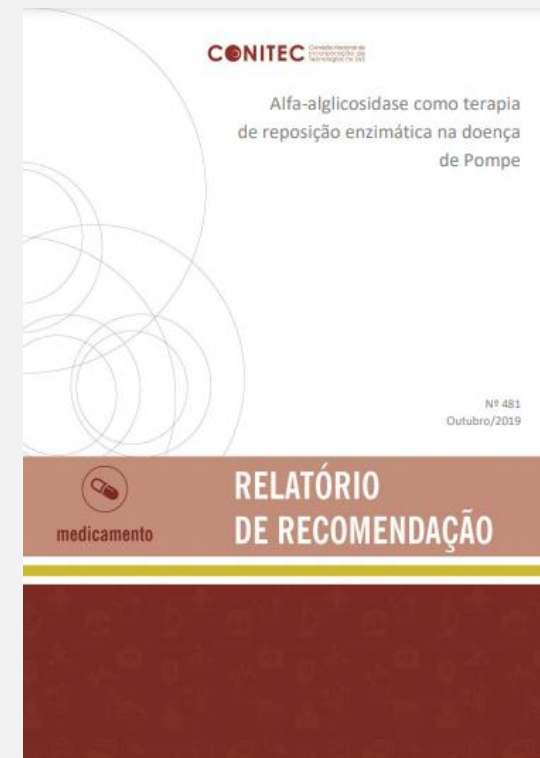
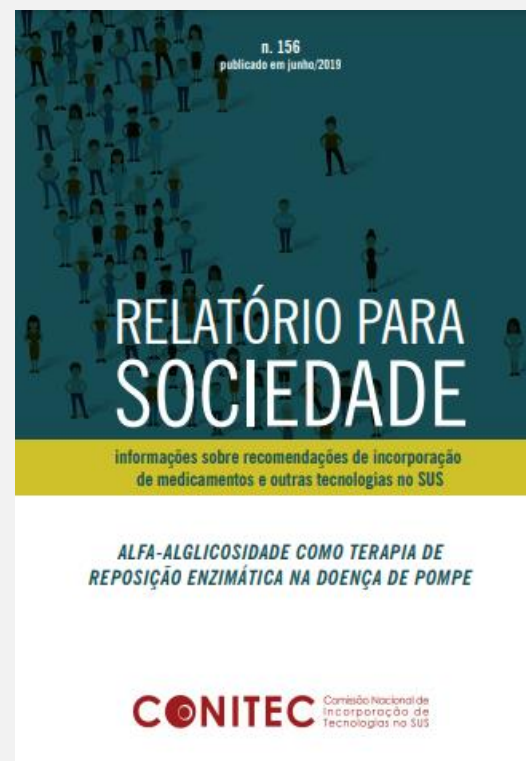


Regras para incorporação baseadas em:



Demanda por incorporação (2019)

- DEMANDANTE
- SCTIE/MS
- TECNOLOGIA
- alfa-alglicosidase (MYOZYME®)
- INDICAÇÃO RECOMENDADA
- Doença de Pompe
- RECOMENDAÇÃO DA CONITEC
- Tratamento da forma precoce da Doença de Pompe



Doença de Pompe

- CLASSIFICAÇÃO
- início precoce: forma clássica, com início de sintomas antes dos 12 meses de idade
- início tardio: sintomas após 12 meses de vida
- Pacientes com DP de início tardio possuem evolução mais lenta e podem apresentar a doença entre o primeiro ano de vida até a sexta década.
- A Terapia de Reposição Enzimática (TRE) com alfa alglucosidase ácida recombinante está incorporada ao SUS para pacientes com DP de início precoce.

Alfa-amilglicosidase para DP início precoce

- EVIDÊNCIA CIENTÍFICA
- Uma RS, um ECR aberto, 2 EC não randomizado e 9 estudos observacionais;
- Estudos primários: 155 pacientes;



Hierarquia da evidência científica.
Fonte: (Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz), 2019)

↓ Massa do ventrículo:
benefício na
cardiomiopatia

↓ Tempo de ventilação
mecânica e risco de
óbito

↑ Sobrevida de 72% a
94,4%

Considerado Seguro:
Eventos adversos leves
a moderados

Desfechos que motivaram a **INCORPORAÇÃO** pela Conitec

PCDT da Doença de Pompe

- Publicação: 10/08/2020
- CID E74.0: Doença de depósito de glicogênio;
- Suspeita clínica: diagnóstico laboratorial e teste genético;
- Critérios de inclusão: atividade da enzima alfa glicosidase ácida <10% do limite inferior dos valores de referência ou presença de variantes patogênicas (gene *GAA*);
- Critérios de exclusão: forma tardia da doença de Pompe, condição médica irreversível, idade > 18 anos, histórico de falha de adesão;
- Tratamento: suporte e farmacológico (alfa- α -glicosidase 20 mg/kg, via intravenosa, a cada 15 dias).
- Tempo de tratamento: para toda a vida.



Demanda por incorporação (2021)

- DEMANDANTE
- SANOFI MEDLEY FARMACÊUTICA LTDA
- TECNOLOGIA
- alfa-alglicosidase (MYOZYME®)
- INDICAÇÃO
- Doença de Pompe de início tardio



Alfa-amilglicosidase para DP início tardio

- EVIDÊNCIA CIENTIFICA
- Um ensaio clinico (90 pacientes)
- Uma revisão sistemática de estudos observacionais
- Moderado risco de viés e baixa qualidade metodológica



Hierarquia da evidência científica.
Fonte: (Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz), 2019)

↓ 59% mortalidade

↑ Distância percorrida
no teste de caminhada
de 6 min

Estabiliza a capacidade
vital forçada

Considerado Seguro:
Eventos Adversos leves
a moderados

Alfa-*gl*licosidase para DP início tardio

- AVALIAÇÃO ECONÔMICA
- Estimativa, a partir de 2021, de 67% dos pacientes com Pompe de início tardio, ou seja, 126 pacientes (com idade de 12 meses a 18 anos);
- O preço proposto pelo demandante foi de R\$ 1.131,60 por frasco ampola de 50 mg;
- A razão de custo-efetividade incremental foi de R\$3.890.280,00 por ano de vida ganho, comparado aos cuidados usuais;
- Impacto orçamentário: aprox. R\$ 72,3 milhões/1º ano e 357,6 milhões/em 5 anos;
- Com judicialização: estimativa superior a R\$ 583 milhões em cinco anos.

Alfa-alglicosidase para DP início tardio

- **Consulta Pública:** 18/03 a 06/04/21

RECOMENDAÇÃO FINAL

- **Não incorporação**
- O plenário da Conitec entendeu que não houve evidências adicionais na consulta pública e não houve mudança nas conclusões observadas para os desfechos considerados: **as evidências mostraram benefícios modestos do medicamento, uma RCEI elevada e um impacto orçamentário bastante significativo.**

PORTARIA SCTIE/MS Nº 24, DE 28 DE MAIO DE 2021

Torna pública a decisão de não incorporar a alfaalglicosidase, terapia de reposição enzimática, para tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Pompe de início tardio (DPIT), no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

Ref.: 25000.132133/2020-27, 0020770029.

O SECRETÁRIO DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA, INOVAÇÃO E INSUMOS ESTRATÉGICOS EM SAÚDE DO MINISTÉRIO DA SAÚDE, no uso de suas atribuições legais, e nos termos dos arts. 20 e 23, do Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, resolve:

Art. 1º Não incorporar a alfa-alglicosidase, terapia de reposição enzimática, para tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Pompe de início tardio (DPIT), no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

Art. 2º O relatório de recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec sobre essa tecnologia estará disponível no endereço eletrônico: <http://conitec.gov.br/>.

Art. 3º A matéria poderá ser submetida a novo processo de avaliação pela Conitec caso sejam apresentados fatos novos que possam alterar o resultado da análise efetuada.

Art. 4º Esta Portaria entra em vigor na data de sua publicação.

OBRIGADA!

DISQUE
SAÚDE
136



MINISTÉRIO DA
SAÚDE

