

 **ORIGIN**
HEALTH COMPANY

AUDIÊNCIA PÚBLICA

**Ampliação de uso da alfa-*alglicosidase*
como terapia de reposição enzimática
na Doença de Pompe de início tardio**



Contexto



Contexto

Doença de Pompe

- ✓ A alfa-*alglicosidase* é a primeira e única terapia de reposição enzimática (TRE) autorizada no Brasil para o tratamento da doença, e atualmente já está incorporada no âmbito do Sistema Único de Saúde para o tratamento da doença de Pompe de início precoce.

PORTARIA Nº 48, DE 16 DE OUTUBRO DE 2019

Torna pública a decisão de incorporar a alfa-*alglicosidase* para a forma precoce da doença de Pompe, conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

Ref.: 25000.056323/2019-05, 0011743417.

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 7.646, de 21 de dezembro de 2011, resolve:

Art. 1º Incorporar a alfa-*alglicosidase* para a forma precoce da doença de Pompe, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS.

Art. 2º Conforme determina o art. 25 do Decreto 7.646/2011, o prazo máximo para efetivar a oferta ao SUS é de cento e oitenta dias.

Art. 3º O relatório de recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) sobre essa tecnologia estará disponível no endereço eletrônico: <http://conitec.gov.br/>.

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

DENIZAR VIANNA ARAUJO

4. CRITÉRIOS DE INCLUSÃO

Serão incluídos neste Protocolo todos os pacientes com DP precoce (grupos A e B) ou tardia (grupos C e D) que apresentarem pelo menos um dos sinais ou sintomas descritos no item 3.1 (Suspeita Clínica), E confirmação do diagnóstico de acordo com um dos critérios abaixo relacionados:

- Atividade da enzima alfa *glicosidase* ácida <10% do limite inferior dos valores de referência em fibroblastos ou leucócitos, com atividade da enzima de referência, avaliada na mesma amostra e pelo mesmo método, apresentando valores normais; OU
- Presença de variantes patogênicas em homozigose ou heterozigose composta no gene *GAA*⁶.

4.1. Critérios de Inclusão para TRE

Poderão fazer uso de alfa-*alglicosidase* todos os indivíduos com diagnóstico de DP (conforme item 3) do **tipo precoce (início dos sintomas até 12 meses de idade)**.





Evidência Clínica



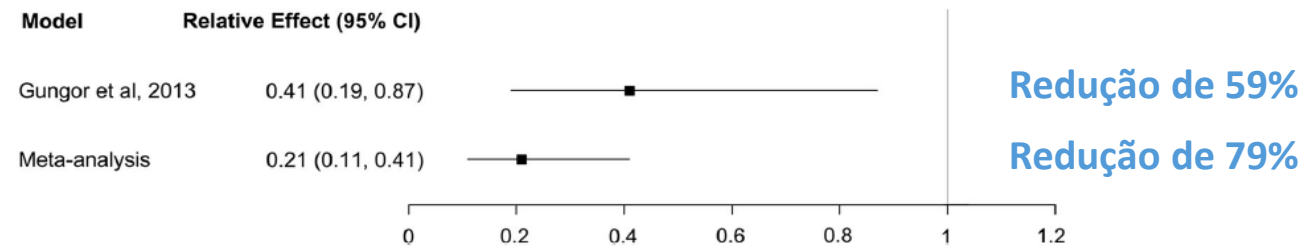
Evidência Clínica

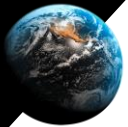
Doença de Pompe

- ✓ Evidências: 2 revisões sistemáticas, 1 ECR e 1 estudo de coorte comparada.
- ✓ Foram observadas reduções significativas no risco de morte para pacientes em uso de alfa-amilglicosidase:

Fig. 2 Comparison of estimated effects according to the meta-analysis and Gungor et al. [16] study

Fonte: Schoser *et al.*, 2016





Evidência Clínica

Doença de Pompe

- ✓ A avaliação da qualidade da evidência foi considerada crítica para a meta-análise (Schoser *et al.*), segundo a ferramenta AMSTAR-2:
 - Ausência avaliação/discussão do risco de viés dos estudos incluídos individualmente, ausência de uma lista de estudos excluídos e da investigação de viés de publicação.
- ✓ Para o estudo observacional (Gungor *et al.*), a avaliação realizada pela comissão indicou um risco de viés moderado segundo a ferramenta New Castle-Ottawa com justificativa de prejuízo no domínio de comparabilidade. Levando a uma evidência de baixa qualidade pelo sistema GRADE.

Certainty assessment							Certainty
Nº dos estudos	Delineamento do estudo	Risco de viés	Inconsistência	Evidência indireta	Imprecisão	Outras considerações	
1	estudo observacional	grave	não grave	não grave	não grave	nenhum	⊕⊕⊕○ MODERADA



Dados Econômicos

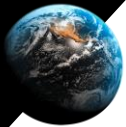


Dados Econômicos

Doença de Pompe

1. Preço da alfa-alglicosidade
2. Atualmente o governo já gasta um montante considerável para tratar pacientes com DPIT
3. Seleção correta de pacientes elegíveis e aplicação adequada de regras de parada

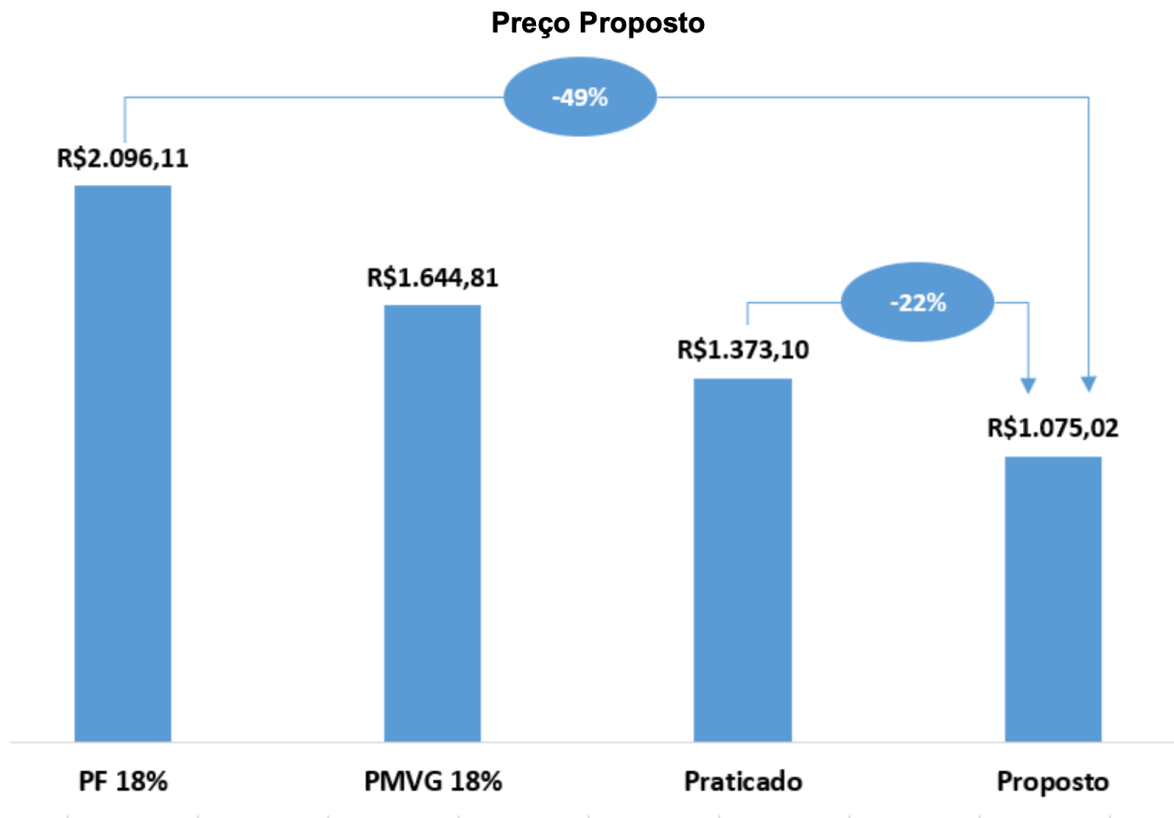




Dados Econômicos

Doença de Pompe

Preço da alfa- alglicosidase:





Dados Econômicos

Doença de Pompe

Atualmente o governo já gasta um montante considerável para tratar pacientes com DPIT:

- ✓ Atualmente o SUS não oferece nenhum tratamento para o paciente com DPIT. Sabemos que existem pacientes com esta condição clínica no Brasil que usam a medicação através de apelo ao Sistema Judiciário.
- ✓ Montante gasto com a judicialização deste medicamento no ano de 2019 => **76 milhões de reais**
 - ✓ Ministério da Saúde (38 milhões de reais)
 - ✓ CONASS (38,5 milhões de reais)
 - ✓ Informação de vendas pelo fabricante em 2019 também corroborou com os achados.



Dados Econômicos

Doença de Pompe

Atualmente o governo já gasta um montante considerável para tratar pacientes com DPIT:

- ✓ Impacto da intervenção do Poder Judiciário no SUS
 - ✓ Judicialização aprofunda algumas iniquidades no acesso à saúde
 - ✓ Judicialização aumenta o gasto do governo com a medicação
 - ✓ Judicialização posterga o início efetivo do tratamento
 - ✓ Judicialização traz ineficiência do sistema.
- ✓ Reforçamos que é de suma importância a ampliação de uso da alfa- glicosidase para o tratamento da Doença de Pompe.
 - ✓ Hoje já se gasta dinheiro para tratar estes pacientes (via apelo judicial)
 - ✓ Oficializar a incorporação permite compras mais eficientes por conta de acordos comerciais baseados nos descontos oferecidos pela fabricante.



Dados Econômicos

Doença de Pompe

Seleção correta de pacientes elegíveis e aplicação adequada de regras de parada:

- ✓ Existem regras específicas de **elegibilidade** para **início, manutenção e interrupção** do tratamento que não são devidamente aplicados quando não existe um protocolo clínico e diretrizes terapêuticas (PCDT) para tratamento desta doença descrevendo corretamente todas estas regras.



Dados Econômicos

Doença de Pompe

Seleção correta de pacientes elegíveis e aplicação adequada de regras de parada:

- ✓ **Elegibilidade: 87,2%** reportado no relatório apresentado pelo fabricante para a CONITEC com base no Registro de Pompe
 - ✓ Perda de força muscular, correspondendo a um escore ≤ 4 nos membros inferiores na escala MRC - correspondendo a realizar movimento articular completo contra a gravidade, vencendo alguma resistência;
 - ✓ CVF inferior a 80% do valor predito, à espirometria.

- ✓ **Interrupção: 29,4%** reportado no relatório apresentado pelo fabricante para a CONITEC com base no Registro de Pompe
 - ✓ Redução superior a 10% na CVF, ou
 - ✓ Redução superior a 20% na distância percorrida no TC6min.



Dados Econômicos

Doença de Pompe

Seleção correta de pacientes elegíveis e aplicação adequada de regras de parada:

- ✓ Economia de **113 milhões de reais**, considerando que o gasto atual do governo com judicialização é de 76 milhões de reais.