

Audiência Pública para debater: “O Projeto de Lei n.º  
4208/2021, que dispõe sobre  
a inclusão do medicamento crizanlizumabe na lista RENAME,  
bem como sua disponibilização no Sistema Único de Saúde e  
nas farmácias populares” - 21 de Junho de 2022 -



CÂMARA DOS DEPUTADOS  
COMISSÃO DE SEGURIDADE SOCIAL E FAMÍLIA

# Novas Opções de Tratamento da Doença Falciforme

Rodolfo Delfini Cançado  
Hematologista - CRM 56697-SP  
Representante da Associação Brasileira de Hematologia,  
Hemoterapia e Terapia Celular – ABHH

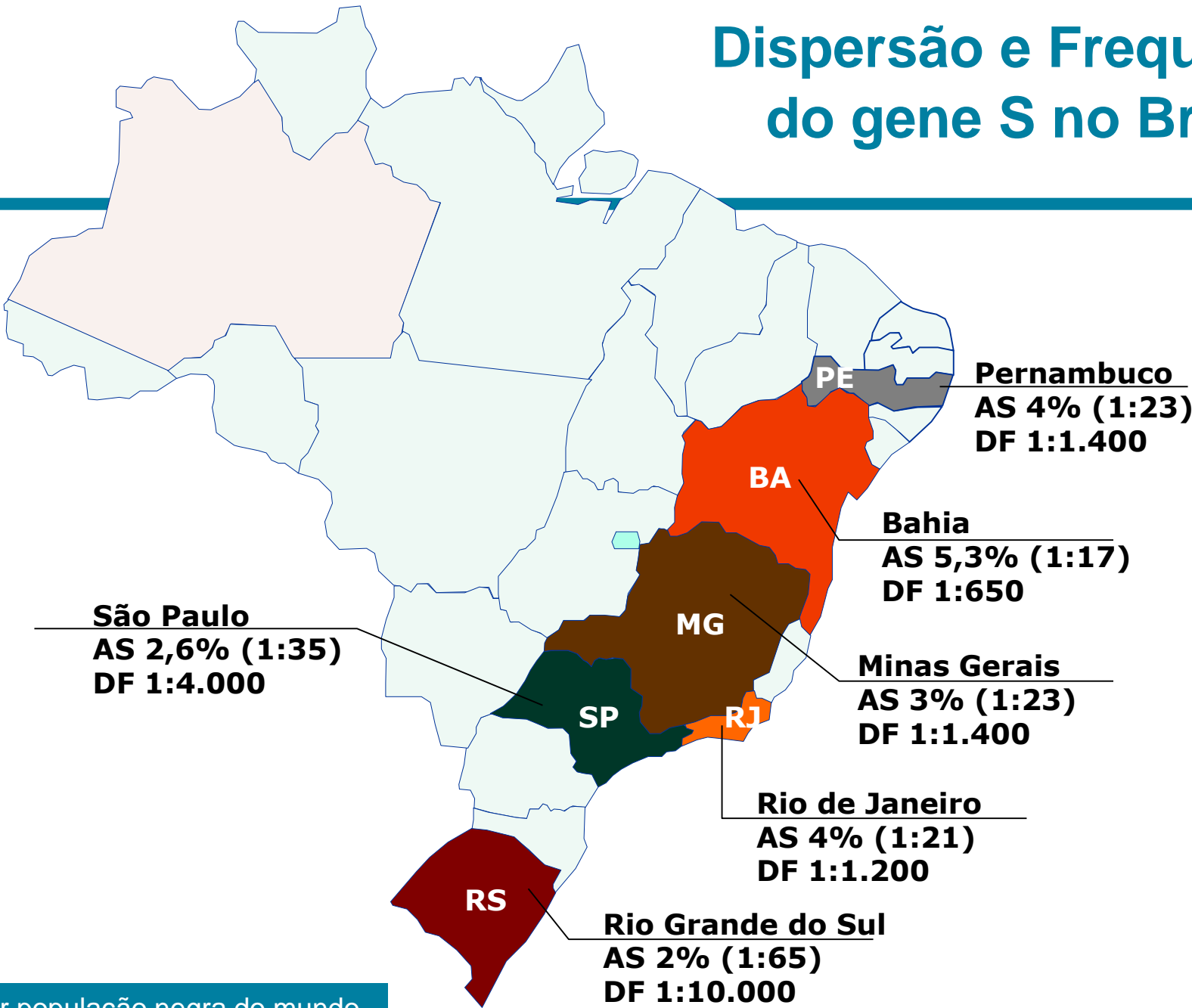


# Doença Falciforme (DF): um problema de saúde pública mundial



- 3.500/ano com DF
- 1 DF/1.000
- ~ 45.000 com DF
  - ~ 70% Hb SS
  - ~ 15-20% Hb SC
  - ~ 5-10 % Hb S/Tal

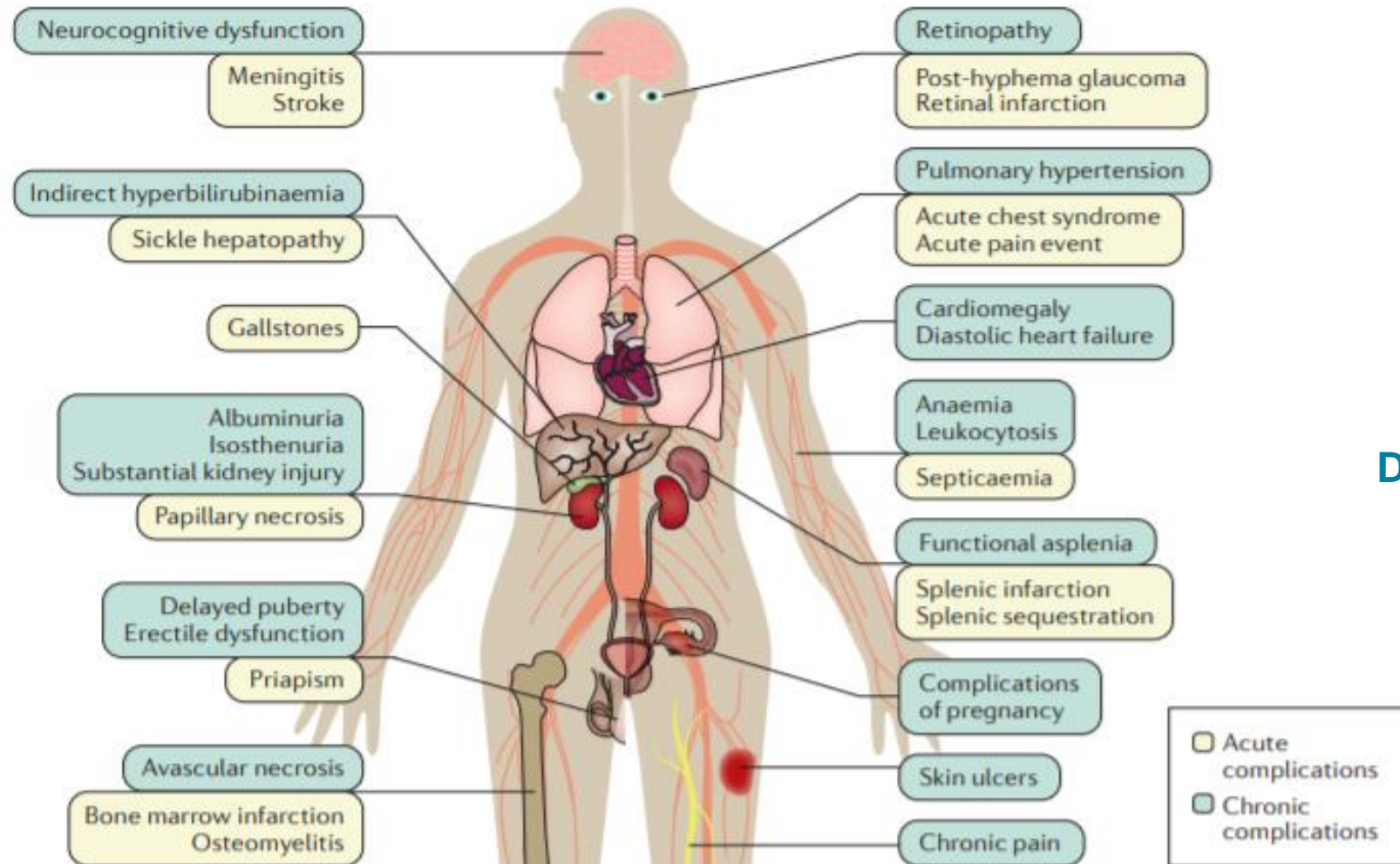
# Dispersão e Frequência do gene S no Brasil



O Brasil é a 2ª maior população negra do mundo

Fonte: Ministério da Saúde do Brasil  
Cançado RD & Jesus JA. Rev Bras Hematol Hemoter, 2007; 29:203-206

# Muito mais que uma anemia e eventos de dor ...



## Doença Falciforme: Manifestações Clínicas

# Quais as condutas que reduziram morbimortalidade na Doença Falciforme ?

**Triagem Neonatal**

**Centros de Referência**

**Vacinas e Antibiótico**

**Analgesia**

**Transfusão de Hemácias**

**Quelação de Ferro**

**Doppler Transcraniano**

**Hidroxiuréia**

**TACTH**

# Doença Falciforme

---

- Doença tratável
- Elevada morbidade e mortalidade
- Doença curável

# Abstract/Poster Board #3025

## December 12, 2021

### Reduced survival of individuals with sickle cell disease in Brazil: real-world evidence

Rodolfo D Cançado<sup>1</sup>, Fernando Costa<sup>2</sup>, Clarisse Lobo<sup>3</sup>, Celina Borges Migliavaca<sup>4</sup>, Maicon Falavigna<sup>4</sup>, Homero Filho<sup>5</sup>, Carolina Tosin Bueno<sup>5</sup> and Ana Cristina Silva Pinto<sup>6</sup>

Parameter	Individuals with sickle cell disease (n = 3,320)	General population (n = 6,549,812)
Median age at death (years)	<b>37.0</b>	<b>69.0</b>
Median survival (years)	<b>40</b>	<b>80</b>

Figure 1a: Mortality of individuals with sickle cell disease in Brazil according to age at death, from 2015 to 2019.

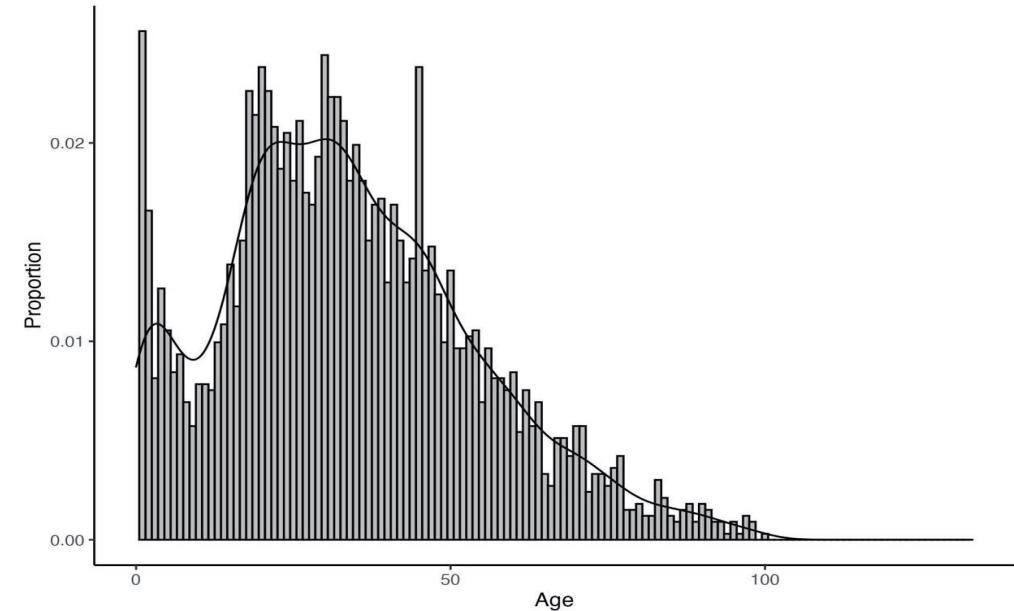
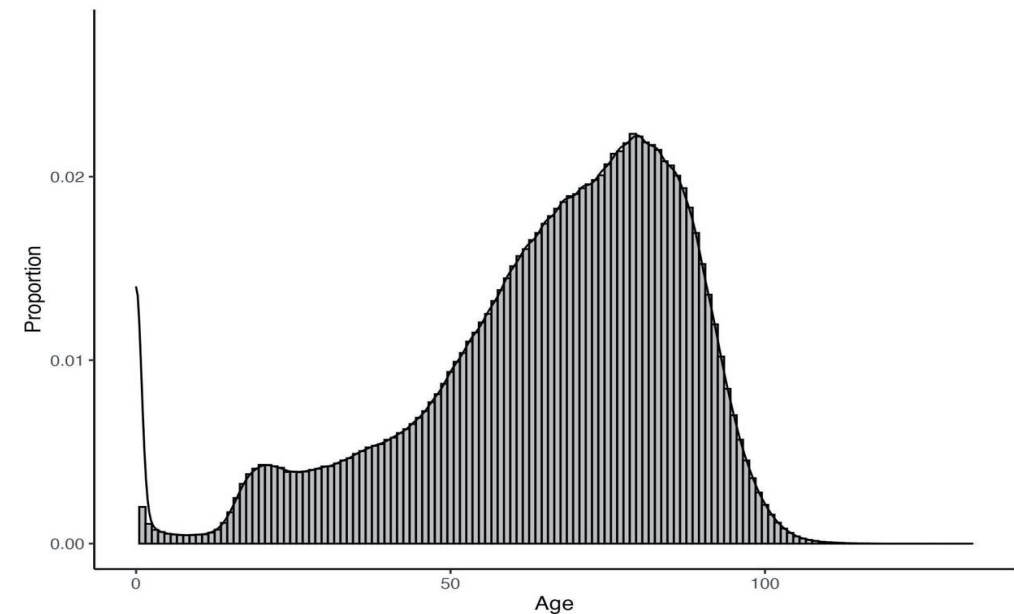
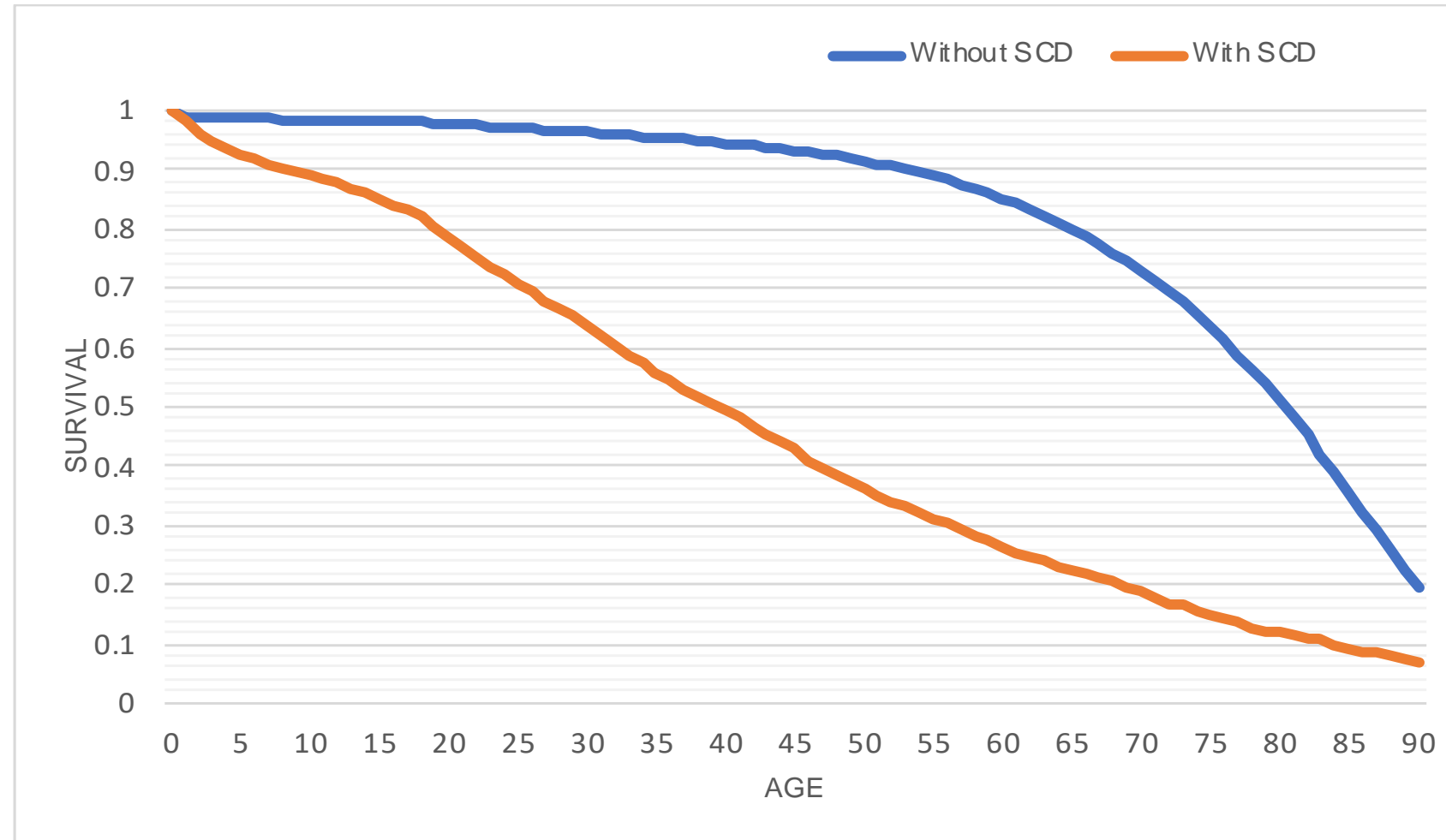


Figure 1b: Mortality of general population in Brazil according to age at death, from 2015 to 2019.



# Life Expectancy of Patients living with SCD in Brazil



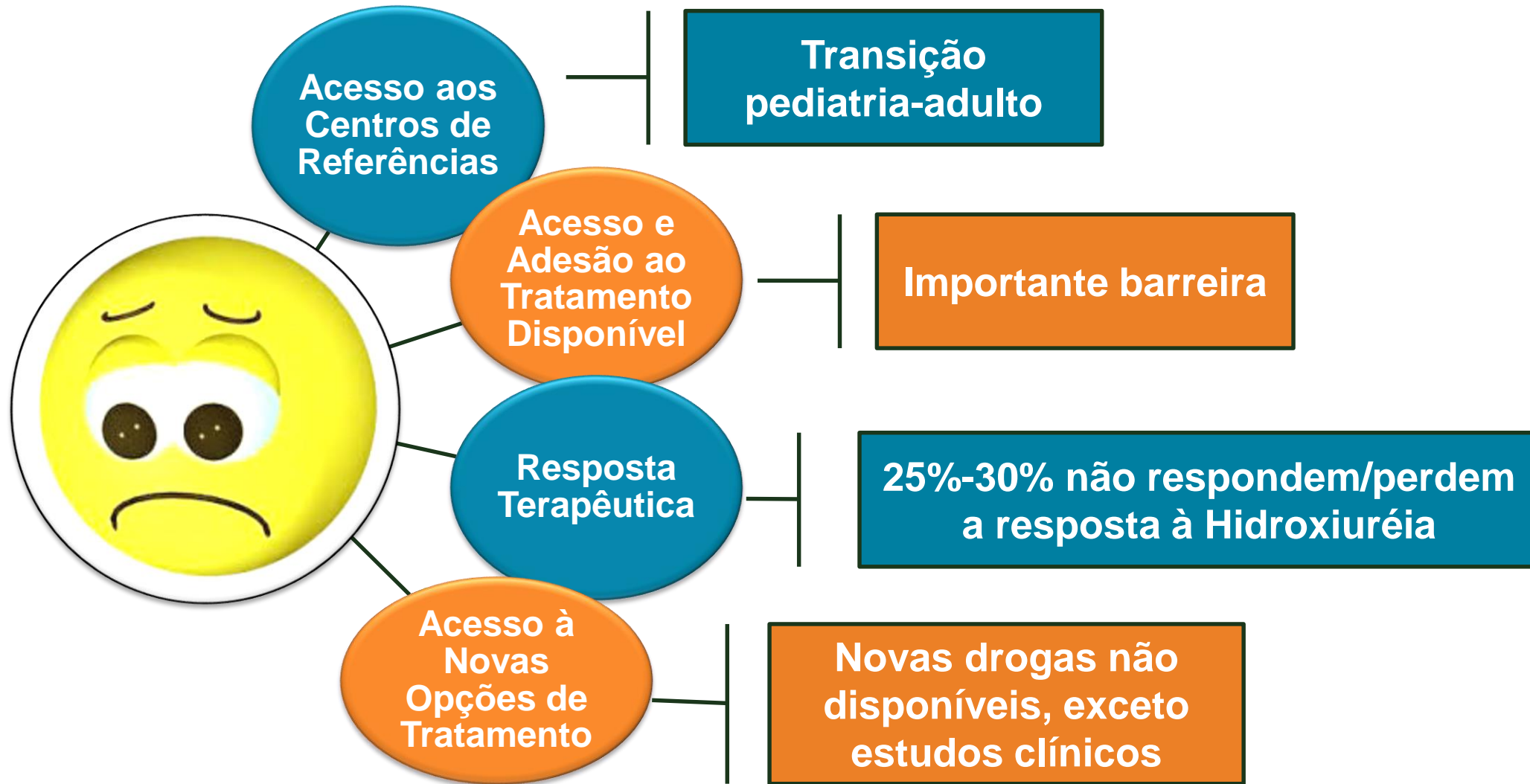
Abstract/Poster Board #3025 December 12, 2021

Reduced survival of individuals with sickle cell disease in Brazil: real-world evidence

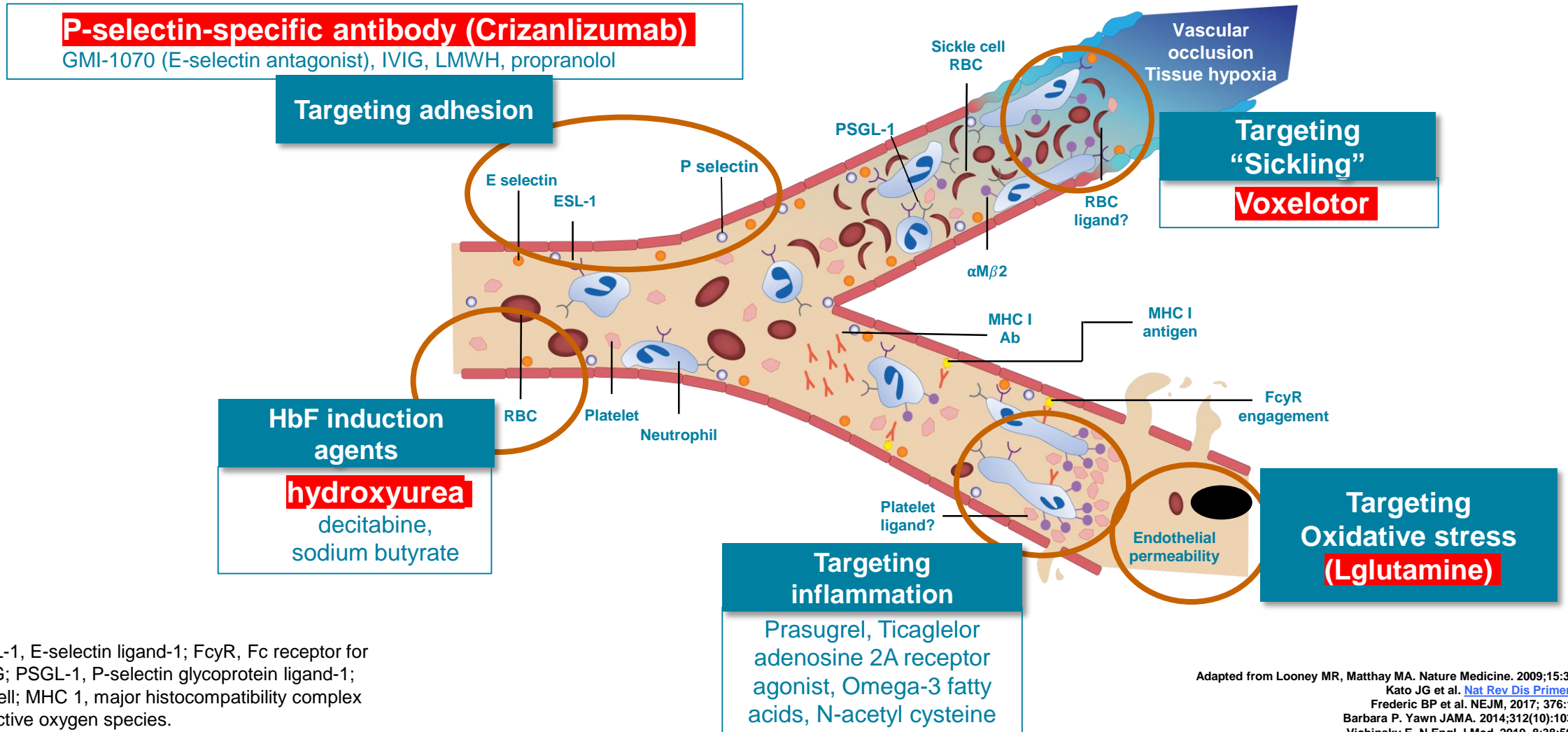
Rodolfo D Cançado et al.



# Necessidades Médicas/Saúde Não Atendidas



# Doença Falciforme: Novas Estratégias de Tratamento



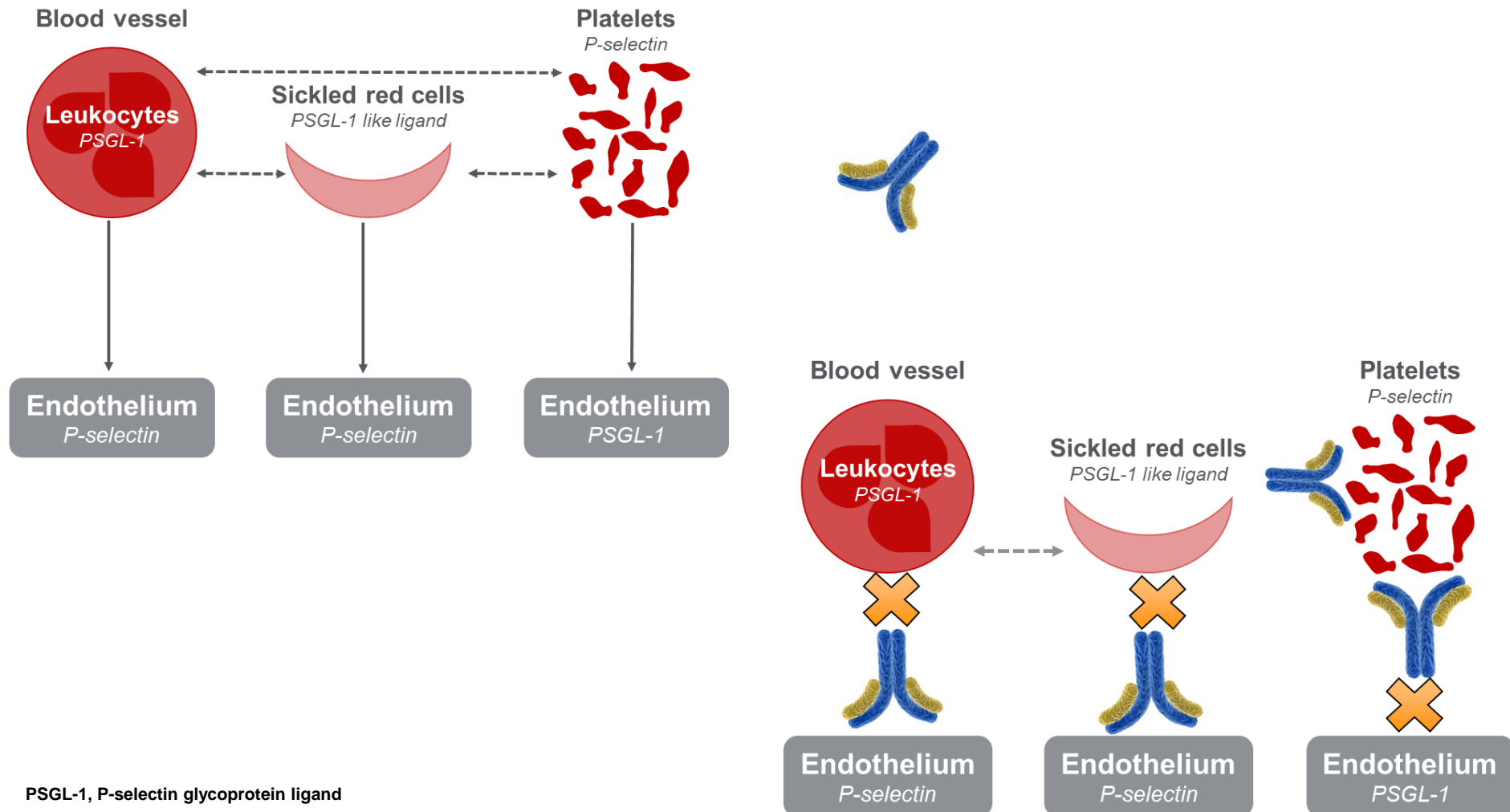
Adapted from Looney MR, Matthay MA. Nature Medicine. 2009;15:364-366.  
Kato JG et al. Nat Rev Dis Primers, 2018  
Frederic BP et al. NEJM, 2017; 376:1561-73  
Barbara P. Yawn JAMA. 2014;312(10):1033-1048  
Vichinsky E, N Engl J Med. 2019, 8;38:509-519.

Ab, antibody; ESL-1, E-selectin ligand-1; FcγR, Fc receptor for immunoglobulin G; PSGL-1, P-selectin glycoprotein ligand-1; RBC, red blood cell; MHC 1, major histocompatibility complex class I; ROS, reactive oxygen species.

# Crizanlizumabe

## Inibidor de P-selectina

Anticorpo monoclonal (mAb) que se liga à P-selectina com alta afinidade e especificidade






# Reduced rate of vaso-occlusive crises in patients with sickle cell disease treated with crizanlizumab for 12 months: results from a real-world, managed access program (MAP)




ANA CRISTINA SILVA-PINTO,<sup>1</sup> Raffaella Colombatti,<sup>2</sup>  
Annamaria Pasanisi,<sup>3</sup> Francesco Arcioni,<sup>4</sup> Laurie DeBonnett,<sup>5</sup>  
Wesam Soliman,<sup>6</sup> Rajendra Sarkar,<sup>7</sup> **Rodolfo D Caçado**<sup>8</sup>

<sup>1</sup>Regional Blood Center, Department of Medical Imaging, Ribeirão Preto School of Medicine, São Paulo, Brazil; <sup>2</sup>Azienda Ospedale-Università di Padova, Padova, Italy; <sup>3</sup>Ospedale 'A Perrino', Brindisi, Italy; <sup>4</sup>Pediatric Hematology and Oncology with Bone Marrow Transplantation, Azienda Ospedaliera di Perugia, Perugia, Italy; <sup>5</sup>Novartis Pharmaceuticals Corporation, East Hanover, NJ, USA; <sup>6</sup>Novartis Saudi Ltd, Riyadh, Saudi Arabia; <sup>7</sup>Novartis Healthcare Private Limited, Hyderabad, India; <sup>8</sup>Department of Hematology and Oncology, Santa Casa de São Paulo School of Medicine, São Paulo, Brazil

**As of October 2021, a total of 172 patients have received crizanlizumab in the MAP, of whom 37 been treated with the drug for 12 months or more\***

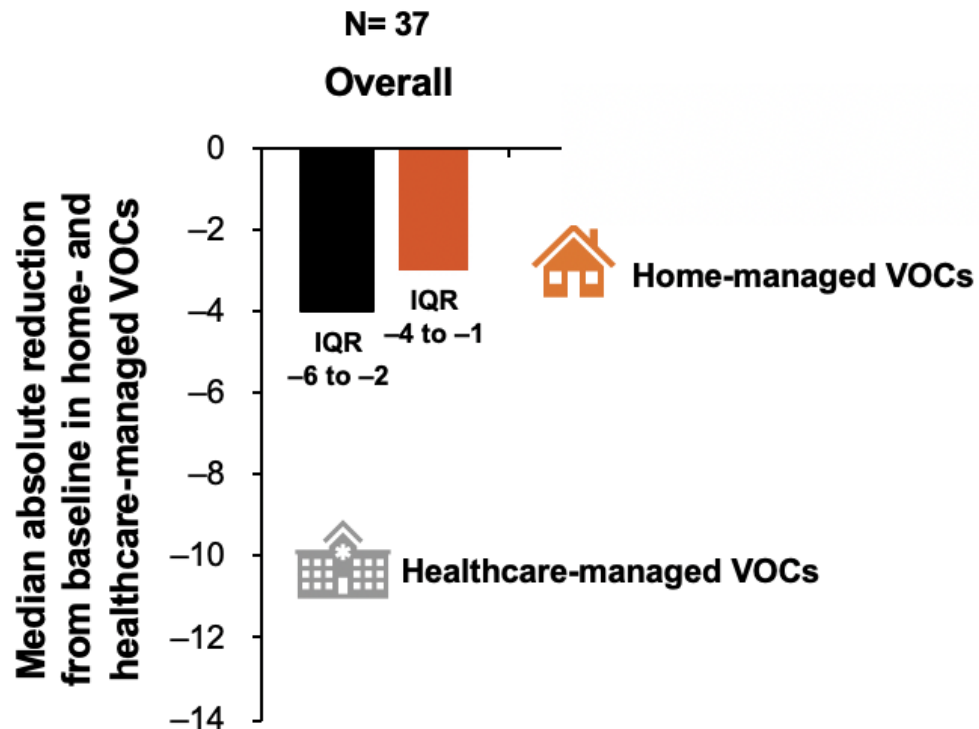
### Baseline characteristics

Characteristic	Patients (N=37)
 <b>Age, years</b> Median (IQR)	33 (25–40)
 <b>Sex, n (%)</b> Female Male	20 (54) 17 (46)
 <b>Race, n (%)</b> African American Hispanic/Latino Caucasian Other	12 (32) 7 (19) 1 (3) 17 (46)

Characteristic	Patients (N=37)
 <b>Genotype, n (%)</b> <b>HbSS</b> HbSC HbSβ <sup>0</sup> HbSβ <sup>+</sup>	<b>28 (76)</b> 5 (14) 2 (5) 2 (5)
 <b>Country, n (%)</b> <b>Brazil</b> Italy Israel	<b>34 (92)</b> 2 (5) 1 (3)
 <b>Prior HU use, n (%)</b> <b>Yes</b> No Data not available	<b>20 (54)</b> 7 (19) 10 (27)

# As of October 2021, 37 patients have been treated with crizanlizumab for 12 months or more in the MAP\*

In the 12 months before crizanlizumab initiation (baseline), 76% (n=28/37) of patients were hospitalized for a total of 89 SCD-related complications

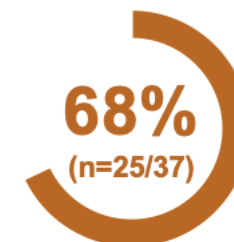


Proportion of patients taking opioids for VOC management

Before crizanlizumab initiation



After ≥12 months of crizanlizumab treatment



Median number of VOCs at baseline	6	4
Median number of VOCs after 12 months of crizanlizumab treatment	2	1

## Considerações Finais

---

- Atenção integral à saúde da pessoa com DF em Centros Especializados e o acesso ao tratamento individualizado tem impacto no prognóstico, na sobrevida e na qualidade de vida
- Mas, apesar disto, a DF continua com taxas elevadas de morbidade e mortalidade
- Acesso a novas drogas é fundamental !!

# Status Atual Processo de Precificação Medicamento Crizanlizumbe (Doença Falciforme)

Nº do Processo: 25351.166890/2020-16

(Início: mar/2020 | Previsão Inicial de Retorno: set/2020)

Resposta Inicial: negativa valor proposto;

Instância Atual: recurso técnico na CTE/CMED com pedido de vistas pela Casa Civil;

Membros CTE/CMED:

- Ministério da Saúde, Casa Civil, Ministério da Economia, Ministério da Justiça (relator).

## Andamento da Avaliação do Processo de Recurso na CTE/CMED







19/6/22 às 09:44, Atualizado em 19/6/22 às 09:59

## Doença falciforme deve ser diagnosticada ainda na infância

Hoje é o dia mundial de conscientização sobre a enfermidade, que acomete mais de 2 mil pessoas no DF e pode ser identificada com o teste do pezinho

Catarina Loiola, da Agência Brasília | Edição: Débora Cronemberger



Hemocentro promoveu evento sobre o Dia Mundial de Conscientização sobre a Doença Falciforme | Foto: Paulo H. Carvalho/Agência Brasília

“Existe esperança para as pessoas com doença falciforme e estamos lutando para que mais pessoas tenham acesso à cura”

Elvis Magalhães, coordenador da Associação Brasileira de Pessoas com Doença Falciforme

“A vida dos meus filhos já foi salva várias vezes, em internações e transfusões. O tratamento humanizado e o conhecimento sobre a doença salvam”

Emerson Silva, servidor público

## Congresso terá iluminação especial pelo Dia de Conscientização sobre a Doença Falciforme

15/06/2022 - 21:39

Pierre Triboli/Câmara dos Deputados



Congresso Nacional estará iluminado de vermelho neste domingo

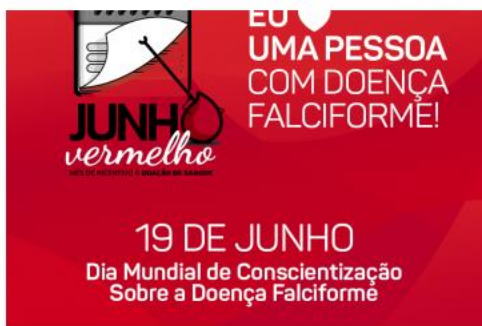


Elvis Magalhães, que coordena a Associação Brasileira de Pessoas com Doença Falciforme, foi uma das primeiras pessoas do Brasil a ficar curada | Foto: Paulo H. Carvalho/Agência Brasília

# Encontro na Hemoba celebra o Dia Mundial de Conscientização sobre a Doença Falciforme

Início / Eventos / Encontro na Hemoba celebra o Dia Mundial de Conscientização sobre a Doença Falciforme

15/06/2022 17:01



A Hemoba promove na próxima segunda-feira (20/06), das 9 às 12h, um encontro para celebrar o Dia Mundial de Conscientização sobre a Doença Falciforme (19 de junho), no auditório da sede da Fundação. O evento reunirá pacientes e a equipe multidisciplinar do ambulatório da Hemoba para discutir temas relacionados ao autocuidado e o tratamento de úlcera de perna, uma das manifestações clínicas dessa doença.

A Hemoba é referência no atendimento a pacientes com doença falciforme, acompanhando cerca de cinco mil pessoas na capital, além de ser responsável pela assistência transfusional e farmacêutica com a dispensação de medicamentos. Esta patologia genética e hereditária caracteriza-se por uma alteração nos glóbulos vermelhos que adquirem o aspecto de uma foice (falciforme), dificultando a passagem do sangue pelos vasos sanguíneos.

A Bahia tem a maior incidência da doença falciforme no Brasil. Segundo dados do Ministério da Saúde, de cada 650 nascidos vivos no estado, um possui a enfermidade, enquanto a média nacional é de um bebê a cada 1.000 nascimentos.

Ascom da Hemoba

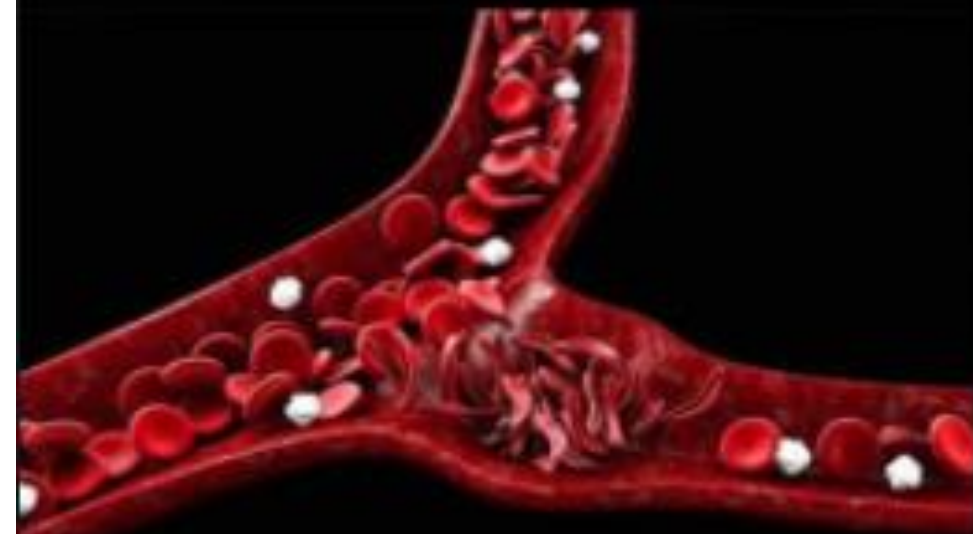


**Carta de Recomendações para as Políticas Públicas e a Atenção Integral à Saúde da Pessoa com Doença Falciforme no Brasil**



hematologia\_hemote...  
Hospital do Servidor Pu...

# 19 de Junho



**Dia Mundial da Conscientização  
Sobre a Doença Falciforme**



**World Sickle Cell Day**  
 —  
 June 19



CELEBRATES

**World Sickle Cell Day'22**

**Changing The Narrative of SCD in Our World;**

A COLLABORATIVE EFFORT

Join: <https://bit.ly/3QGSMQa>



[anisa\\_scf](#)

**DID YOU KNOW?**  
 — WORLD SICKLE CELL DAY —


**DID YOU KNOW THERE ARE APPROXIMATELY 25,000 - 50,000 INDIVIDUALS LIVING WITH #SICKLECELL SS IN BRAZIL (KATO ET AL., 2018)? ANNUALLY, THERE ARE 3,500 INFANTS BORN WITH SICKLE CELL IN BRAZIL (KATO ET AL., 2018).**



**Quotes We Love**

"I'm not faking being sick.  
I am faking being well."

Sickle Cell 101 (@sicklecell101)



In Memory of  
**Dr. Kwaku Ohene-Frempong**



WORLD  
**SICKLE CELL**  
DAY



JUNE 19 IS WORLD  
**SICKLE CELL DAY**



**STRONGER  
TOGETHER!**



FACULDADE DE CIÊNCIAS MÉDICAS DA  
**SANTA CASA**  
DE SÃO PAULO

Inovação e compromisso



# Obrigado !!

Rodolfo D. Cançado

[rodolfo.cancado@gmail.com](mailto:rodolfo.cancado@gmail.com)

Whatsapp: 11999355888