

NOTA TÉCNICA Nº 6028/2024 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5002671-92.2024.4.03.6128
- 1.3. Data da Solicitação: 13/09/2024
- 1.4. Data da Resposta: 24.09.2024

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento: 10/04/1982 - 42 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Várzea Paulista/SP
- 2.4. Histórico da doença: CID-10 E83-3

A mãe do paciente refere Atraso do desenvolvimento neuro psicomotor, principalmente da marcha. Andou sem apoio com quase dois anos, caminhava sempre com muita dificuldade e instabilidade. Junto com o crescimento e desenvolvimento do paciente, foram percebidas as deformidades em membros inferiores. A primeira fratura patológica foi de fêmur aos 8 anos de idade (fratura em 3 lugares diferentes do fêmur, de baixo impacto). Entre os 8 e os 13 anos, foram aproximadamente 36 fraturas patológicas em membros inferiores, todas de baixo impacto. Com 13 anos parou de caminhar e a utilizar andador, chegando a utilizar definitivamente a cadeira de rodas aos 15 anos por conta das fraturas e as deformidades dos membros. Apresentou algumas fraturas em membros superiores até os 17 anos. Desde então, com mobilidade limitada para evitar novas lesões e fraturas, e com dor crônica, sem melhora com medicação convencional.

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO: BUROSUMABE**
- 4.2. Princípio Ativo: BUROSUMABE
- 4.3. Registro na ANVISA: 1396400020032
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: Sim, Incorporado no componente Especializado da RENAME para hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em pediátricos a partir de 1 ano de idade
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: Burosumabe, fosfato tricálcico, bicarbonato de sódio, calcitriol
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: Não

4.10. Recomendações da CONITEC: na 94ª reunião ordinária da Conitec, ocorrida em 04 de fevereiro de 2021, o uso do burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos e crianças foi avaliado e conforme Relatório de Recomendação nº 594/2021, ocorreu a recomendação final de incorporação do burosumabe para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e recomendação final de **não incorporação do burosumabe para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos.**

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Existe um PCDT específico sobre raquitismo e osteomalácia. Neste documento, burosumabe pode-se observar que burosumabe é oferecido ao tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças, mas não o é em adultos.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

A CONITEC fez uma abrangente revisão da literatura com análise de impacto orçamentário sobre o assunto. Neste documento, nota-se:

Avaliação econômica: (...) A razão de custo-efetividade incremental (RCEI) do burosumabe em relação ao uso de fosfato e vitamina D em pediatria foi de R\$ 2.401.312,64/QALY e para a população adulta de R\$ 2.534.873,52 /QALY. Nas análises de sensibilidade univariada para ambas as populações o modelo se mostrou sensível ao custo do burosumabe e idade de início do tratamento. O modelo possui limitações, entre elas a ausência de dados de incidência da HLX na população brasileira e os dados disponíveis no DATASUS relacionados a procedimentos e tratamentos provavelmente estão subestimados em relação a doença. Por tratar-se de doença rara, a falta de registro de dados e suas implicações podem impactar no modelo e suas análises de sensibilidade.

Avaliação de impacto orçamentário: (...) No cenário –base os impactos orçamentários em cinco anos foram: R\$ 197.249.738,34 para a população pediátrica e R\$ 224.968.284,47 para a população adulta. Um outro cenário considerando que 50% seriam diagnosticados e tratados com burosumabe ou fosfato e vitamina D em 5 anos foi apresentado: R\$ 98.624.869,17 para a população pediátrica e R\$ 67.490.485,34 para a população adulta. O cenário 3 considerou a introdução gradual do burosumabe em 20%, 40%, 50% e 75%, chegando a 100% no quinto ano, assim o impacto em 5 anos foi de: R\$ 65.209.976,69 para a população pediátrica R\$ 48.026.685,80 para a população adulta. Apesar desse cenário ser o

mais próximo do real, a disseminação pode ser maior já que há ausência de tratamento eficaz para a doença

Experiência internacional: O The National Institute for Health and Care Excellence (NICE), do Reino Unido, o Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH), do Canadá e a Scottish Medicines Consortium (Escócia) recomendaram burosumabe para tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em pediatria. O CADTH também recomendou para a população adulta condicionada a fatores determinados pela agência.

A análise preliminar recomendou contrariamente à incorporação do medicamento. Após análise pública, a decisão final foi pela incorporação no cenário pediátrico (conforme consta em PCDT), mas contrária à incorporação no cenário adulto por conta dos custos elevados, potencial benefício limitado e inapropriada relação custo-benefício.

5.3. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

Há parecer técnico-científico com ampla análise altamente especializada e discussão junto à sociedade civil sobre o assunto. O parecer é contrário ao uso do medicamento. Não há novas evidências científicas de alta qualidade que possam sugerir que o parecer estaria desatualizado.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

() SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

(X) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2020/20201103_relatorio_de_recomendacao_burosumabe_e_hlx_cp56.pdf

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2021/Sociedade/20210223_resoc228_burosumabe_hipofosfatemia_final.pdf

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220201_portal_portaria_conjunta_2_pcdt_raquitismo_e_osteomalacia-1.pdf

6. GLOSSÁRIO NAT JUS

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

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

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» Componente Básico da Assistência Farmacêutica: destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica: financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» Componente Especializado da Assistência Farmacêutica: este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias

contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

Outras Informações:

Considerações NAT-Jus/SP: A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

Equipe NAT-Jus/SP