



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

NOTA TÉCNICA 1069/2021- NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 12ª Vara Cível Federal de São Paulo – TRF3
- 1.3. Processo nº: 5025351-68.2018.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 27/08/2021
- 1.5. Data da Resposta: 01/09/2021

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 05/04/1971 – 50 anos
- 2.2 Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Hipofosfatasia - Solicita Asfotase Alfa (Strensiq)

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento - Asfotase Alfa (Strensiq)
- 4.2. Princípio Ativo: alfa-asfotase
- 4.3. Registro na ANVISA: 1981100020045
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: fisioterapia para correção da postura e fortalecimento dos músculos
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não
- 4.7. Custo da tecnologia:
 - 4.7.1. Denominação genérica: alfa-asfotase
 - 4.7.2. Laboratório: ALEXION FARMACEUTICA BRASIL IMPORTACAO E DISTRIBUICAO DE PRODUTOS E SERVICOS DE ADMINISTRACAO



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

4.7.3. Marca comercial: Strensiq

4.7.3. Apresentação: 100 MG/ML SOL INJ SC CT 12 Frascos VD TRANS X 0,8 ML

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 319.087,23

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 424.715,73

4.8: Tratamento mensal:

4.8.1: Dose diária recomendada: 24 frascos por mês

4.8.2: Custo mensal - preço máximo de venda ao Governo: R\$ 638.174,46

4.8.3: Custo mensal - preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 849.431,46

4.9. Fonte do custo da tecnologia: lista de preços de medicamentos da ANVISA/CMED. Referência Agosto/2021. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>

4.10. Recomendações da CONITEC: não avaliado

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Hipofosfatasia é uma doença rara e recentemente reconhecida pela comunidade científica. Caracteriza-se por uma mutação no gene que decodifica a TNSALP, a qual provoca um acúmulo inapropriado de substratos que impedem a mineralização óssea apropriada. Clinicamente, isso se traduz na perda de dentes, arqueamento de ossos longos, fraturas, baixa estatura. As manifestações podem ser extremamente graves no início da vida ou mesmo não serem tão chamativas assim e ocasionar o diagnóstico apenas na vida adulta.

Asfotase alfa é um medicamento desenvolvido em há cerca de 13 anos, o qual permite a administração de TNSALP por via subcutânea.



5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

A pesquisa na base de dados ClinicalTrials.gov pelo termo “asfotase alfa” identifica o registro de 17 protocolos de pesquisa. A quase totalidade dos protocolos de pesquisa envolviam crianças com a doença. A maior parte das pesquisas registradas tinham financiamento da empresa produtora do medicamento. Nem todos os registros na plataforma disponibilizavam links para os artigos que foram publicados a partir das pesquisas. Nem todos os registros na plataforma disponibilizam dados tabulados na própria plataforma.

A pesquisa na plataforma PubMed.gov pelo termo “asfotase alfa” em associação com os filtros de “clinical trial” e “randomized controlled trial” encontrou 10 resultados. A quase totalidade dos resultados identifica pesquisas envolvendo crianças.

A raridade da doença dificulta a realização de ensaios clínicos prospectivos, demandando a criação de redes colaborativas de pesquisa para isso.

Uma coorte prospectiva envolvendo 19 pacientes adultos que foram acompanhados por 5 anos identificou melhoras discretas em desfechos secundários como densidade mineral óssea e no teste de caminhada de 6 minutos. Apesar de o protocolo de pesquisa não ter sido desenhado para capturar dados específicos sobre fraturas, esses eventos foram identificados como eventos adversos. O grupo controle era composto por 6 pessoas e todas tiveram fraturas. O grupo intervenção era composto por 13 pessoas e 12 tiveram fraturas. Não houve diferença em termos de controle de dores.

Não parecem existir dados suficientes, nem mesmo de baixa qualidade metodológica, que permitam assegurar o benefício desse medicamento para pacientes adultos.

5.3. Parecer

() Favorável

(**X**) Desfavorável



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

5.4. Conclusão Justificada:

Não parecem existir dados suficientes, nem mesmo de baixa qualidade metodológica, que permitam assegurar o benefício desse medicamento para pacientes adultos.

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:

Högler W, Langman C, Gomes da Silva H, Fang S, Linglart A, Ozono K, Petryk A, Rockman-Greenberg C, Seefried L, Kishnani PS. Diagnostic delay is common among patients with hypophosphatasia: initial findings from a longitudinal, prospective, global registry. BMC Musculoskelet Disord. 2019 Feb 14;20(1):80. doi: 10.1186/s12891-019-2420-8. PMID: 30764793; PMCID: PMC6376686.

Whyte MP. Hypophosphatasia - aetiology, nosology, pathogenesis, diagnosis and treatment. Nat Rev Endocrinol. 2016 Apr;12(4):233-46. doi: 10.1038/nrendo.2016.14. Epub 2016 Feb 19. PMID: 26893260.

Kishnani PS, Rockman-Greenberg C, Rauch F, Bhatti MT, Moseley S, Denker AE, Watsky E, Whyte MP. Five-year efficacy and safety of asfotase alfa therapy for adults and adolescents with hypophosphatasia. Bone. 2019 Apr;121:149-162. doi: 10.1016/j.bone.2018.12.011. Epub 2018 Dec 18. PMID: 30576866.

Seefried L, Rak D, Petryk A, Genest F. Bone turnover and mineral metabolism in adult patients with hypophosphatasia treated with asfotase alfa. Osteoporos Int. 2021 Jul 2. doi: 10.1007/s00198-021-06025-y. Epub ahead of print. PMID: 34215909.

Shapiro JR, Lewiecki EM. Hypophosphatasia in Adults: Clinical Assessment and Treatment Considerations. J Bone Miner Res. 2017 Oct;32(10):1977-1980. doi: 10.1002/jbmr.3226. Epub 2017 Aug 16. PMID: 28731215.



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

<https://www.cnj.jus.br/e-natjus/arquivo-download.php?hash=3a270490512fc32b381c328e991bf17c3f1c6d23>

<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351137379201642/>

<https://www.clinicaltrials.gov/ct2/results?cond=&term=Asfotase+Alfa&cntry=&state=&city=&dist=>

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/?term=Asfotase+Alfa&filter=pubt.clinicaltrial&filter=pubt.randomizedcontrolledtrial&size=200>

5.6. Outras Informações:

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

Equipe NAT-Jus/SP