

Nota Técnica 20503

Data de criação: 03/11/2020 11:13:40

Data de conclusão: 03/11/2020 11:16:37

Paciente

Idade:

33 anos

Sexo:

Masculino

Cidade:

São Miguel das Missões/RS

Dados do Processo

Vara/Serventia:

1ª Vara Federal de Santo Ângelo

Diagnóstico

Diagnóstico:

Anemia aplástica constitucional.

CID:

D61.0 - Anemia aplástica constitucional

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s):

Laudo Médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia:

Medicamento

Princípio Ativo:

ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Via de administração:

ORAL

Posologia:

Eltrombopague olamina 50 mg/comp. Tomar 3 comprimidos 1x ao dia. Uso contínuo por tempo indeterminado.

Uso contínuo?

Sim

Duração do tratamento:

(Indeterminado)

Registro na ANVISA?

Sim

Situação do registro:

Ativo

Indicação em conformidade com a aprovada no registro?

Sim

Oncológico?

Não

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde para a situação clínica do demandante?

Não

O medicamento está disponível no SUS?

Sim

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia:

ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar:

Conforme o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde de anemia aplástica estão disponíveis no SUS os fármacos imunoglobulina antitimócito, ciclosporina e prednisona. Além disso, o SUS também disponibiliza o transplante de medula óssea e o suporte transfusional quando necessário (1). Cabe ressaltar que o paciente em questão já utilizou todos os tipos de tratamento disponíveis no SUS, sem resposta.

Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar:

Não existem genéricos e similares previstos na Lista de Preços de Medicamentos da ANVISA.

Custo da Tecnologia

Tecnologia:

ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Laboratório:

NOVARTIS BIOCENCIAS S.A

Marca Comercial:

Revolade®

Apresentação:

ELTROMBOPAGUE OLAMINA 50 MG COM REV CT BL AL/AL X 14

Preço de Fábrica:

-

Preço Máximo de Venda ao Governo:

3.198,09

Preço Máximo ao Consumidor:

-

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia:

ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Dose Diária Recomendada:

150mg/dia (3cp)

Preço Máximo de Venda ao Governo:

-

Preço Máximo ao Consumidor:

-

Fonte do custo da tecnologia:

LISTA DE PREÇOS DE MEDICAMENTOS - ANVISA

Evidências e resultados esperados

Tecnologia:

ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

O eltrombopague olamina é um agonista não peptídico do receptor de trombopoietina (TPO-R) que pode melhorar a contagem sanguínea quando administrado como um agente único ou como um componente da terapia imunossupressora. Este fármaco atua como um agente estimulador da medula óssea de ação ampla, porque o TPO-R é expresso por células-tronco hematopoiéticas e células progenitoras da medula óssea, bem como pela maturação de megacariócitos (3).

O uso de eltrombopague olamina para tratamento de pacientes com citopenia persistente após TCTH foi avaliada em um ensaio clínico randomizado de fase 2 controlado por placebo, publicado somente como resumo (4). Neste estudo, o eltrombopague foi iniciado com uma dose de 50 mg e aumentado a cada 2 semanas para 75 mg, 125 mg e 150 mg se a contagem de plaquetas permanecesse baixa. O desfecho primário foi a contagem de plaquetas no final do tratamento (8 semanas). Sessenta pacientes foram randomizados para eltrombopague (n=42) ou placebo (n=18) e receberam pelo menos uma dose do medicamento. Dos 42 pacientes randomizados para eltrombopague, 15 (36%, IC95% 22 a 50%) responderam em comparação com 5 dos 18 pacientes randomizados para placebo (28%, IC95% 11 a 48%).

Estes resultados foram considerados inconclusivos e não permitem afirmar que o tratamento com eltrombopague é superior a placebo.

Além desse estudo, um estudo de séries de casos, retrospectivo, de um único centro avaliou 13 pacientes receberam eltrombopague para função deficiente do enxerto (n = 12) ou falha primária do enxerto (n = 1) (5). Nos 12 pacientes com função deficiente do enxerto, o eltrombopague foi iniciado no tempo médio de 79 dias após o TCTH, devido à trombocitopenia persistente, com anemia e neutropenia concomitantes em 7 e 3 pacientes, respectivamente. O tratamento foi iniciado com a dose de 50 mg por dia e eventualmente aumentou até 150 mg em caso de falta de resposta. A dose média ao longo do acompanhamento nos 13 pacientes foi de 60 mg por dia. A resposta hematológica foi observada em 7 pacientes (53%), com 6 respostas completas. Respostas hematológicas foram observadas em pacientes com evidência de fisiopatologia imunomediada e com possíveis causas infecciosas / iatrogênicas. Em pacientes que responderam, o eltrombopague foi descontinuado em 6/7 pacientes sem recidiva adicional. Uma vez que este estudo não tem grupo comparador, não há como saber se há de fato benefício do eltrombopague olamina, pois este não foi comparado com outro tratamento ativo ou mesmo com a ausência de tratamento.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Ver benefícios no item anterior.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante:

Não avaliado

Conclusão

Conclusão Justificada:

Não favorável

Conclusão:

Existe somente um ensaio clínico que comparou uso do eltrombopague olamina para tratamento de plaquetopenia pós TCTH e que não demonstrou benefício. Além deste, há somente uma série de casos e relatos de casos isolados. Dessa forma, há elevado grau de incerteza se esse fármaco traz benefícios para os pacientes que apresentam esta condição, como a parte autora. Ademais, trata-se de um fármaco de elevado custo que, mesmo em decisão isolada, representaria importante impacto orçamentário.

Há evidências científicas?

Sim

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

Não

Referências bibliográficas:

1 - BRASIL. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde de anemia aplástica. Disponível em <https://www.saude.gov.br/images/pdf/2014/abril/02/pcdt-anemia-apl-adq-livro-2013.pdf>

2 - Coordenação de Avaliação e Monitoramento de Tecnologias (CONITEC). Eltrombopague olamina no tratamento da púrpura trombocitopênica idiopática (PTI). Brasília – DF. Novembro/2018. Disponível em

http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Recomendacao/Relatorio_EltrombopagueOlamina_PTI.pdf

3 - Scheinberg P. Activity of eltrombopag in severe aplastic anemia. Blood Adv. 2018; 2(21):3054.

4 - Popat UR, et al. Eltrombopag for post-transplant thrombocytopenia: results of phase II randomized double blind placebo controlled trial. Blood 2015; 126:738.

5 - Marotta S, Marano L, Ricci P, Cacace F, Frieri C, Simeone L, Trastulli F, Vitiello S, Cardano F, Pane F, Risitano AM. Eltrombopag for post-transplant cytopenias due to poor graft function. Bone Marrow Transplant. 2019; 54(8):1346-1353.

NATS/NAT-Jus Responsável:

NAT-jus/JFRS

Instituição Responsável:

TelessaúdeRS-UFRGS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria?

Não

Outras Informações:

A parte autora apresenta laudos médicos afirmando que o paciente é portador de anemia aplástica constitucional (também chamada de aplasia de medula óssea), com diagnóstico desde fevereiro de 2018. Para tratamento desta condição, fez uso de imunossuppressores (ciclosporina e prednisona), porém, não obteve resposta, sendo considerado refratário. Como segunda opção, em dezembro de 2018, fez uso de timoglobulina também sem resposta. Seguiu então para transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH) alogênico de medula óssea, realizado em janeiro de 2020. Apesar de ser considerado um tratamento curativo, o transplante de medula óssea apresentou mau funcionamento e o paciente segue necessitando de transfusão frequente de plaquetas e hemácias. Nesse contexto o médico prescritor indicou tratamento com o medicamento pleiteado no processo, a fim de estimular a série megacariocítica, diminuindo a necessidade de transfusão de plaquetas.

A anemia aplástica ou aplasia de medula óssea é uma doença rara, caracterizada por pancitopenia (diminuição das células do sangue) moderada a grave e hipocelularidade acentuada na medula óssea, sendo a mais frequente das síndromes de falência medular. É uma doença desencadeada por causas congênitas ou adquiridas. Uso de medicamentos, infecções ativas, neoplasias hematológicas, invasão medular por neoplasias não hematológicas, doenças sistêmicas (como as colagenoses) e exposição a radiação e a agentes químicos encontram-se entre as causas adquiridas (1).

A anemia aplástica pode ser classificada em moderada e grave de acordo com as contagens de células do sangue e esta classificação auxilia na indicação do tratamento mais adequado a ser instituído. Nos casos moderados, estão indicados somente tratamento de suporte, com transfusões de concentrado de hemácias e plaquetas conforme indicações clínicas, e tratamento com antibióticos em casos de infecção. Já nos casos graves e muito graves (como o da parte autora), o tratamento envolve TCTH alogênico ou terapia imunossupressora combinada. Os medicamentos atualmente utilizados no tratamento imunossupressor são ciclosporina combinada com imunoglobulina antitimócito. Esta combinação é considerada uma terapia agressiva, e atinge taxas de resposta de 60%-80%, com sobrevida estimada em 5 anos de 75%-85% (1).