Nota Técnica 59160

Data de conclusão: 17/12/2021 20:29:10

Paciente

Idade: 75 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Viamão/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 4ª Vara Federal de Porto Alegre

Tecnologia 59160

CID: D47.3 - Trombocitemia essencial (hemorrágica)

Diagnóstico: Trombocitemia essencial (hemorrágica)

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

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: HIDROXIURÉIA

Via de administração: VO

Posologia: hidroxiuréia 500 mg, 2 cp por dia, uso contínuo

Uso contínuo? Sim

Duração do tratamento: (Indeterminado)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Não

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

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: HIDROXIURÉIA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: No SUS estão disponíveis outras terapias que podem ser utilizadas no tratamento da TE (aspirina, anticoagulação), porém com objetivos terapêuticos diferentes da hidroxiuréia. Desta forma, não há equivalente ao medicamento pleiteado no SUS para o tratamento da TE

Existe Genérico? Sim

Existe Similar? Não

Descrever as opções disponíveis de Genérico ou Similar: Vide a tabela do CMED

Custo da Tecnologia

Tecnologia: HIDROXIURÉIA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: 85,87

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: HIDROXIURÉIA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: HIDROXIURÉIA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A hidroxiureia é um agente antineoplásico usado em monoterapia ou em combinação com outros quimioterápicos e radioterapia no tratamento de leucemias resistentes e carcinomas de cabeça e pescoço. Também é usado para aumentar a concentração de hemoglobina fetal, reduzindo assim a frequência de crises graves e reduzindo a necessidade de transfusões de sangue em pacientes com anemia falciforme. Além disso, é usada de forma off-label no tratamento de policitemia vera, trombocitemia essencial, psoríase, leucemia mieloide aguda, meningioma, melanoma e câncer de ovário (3,4).
Nos pacientes com TE e indicação de tratamento citorredutor (com objetivo de diminuir o número de plaquetas), a hidroxiureia é o agente preferido. Esta preferência recai sobre este medicamento porque ele é eficaz na redução da contagem de plaquetas e risco trombótico em TE, e geralmente é bem tolerado, amplamente disponível e relativamente barato (2).
A eficácia da hidroxiureia no tratamento de pacientes com TE já foi demonstrada em diversos estudos (5-8). Em um ensaio clínico randomizado envolvendo 114 pacientes, o uso de hidroxiureia em comparação com nenhuma terapia mielossupressora reduziu o risco de trombose recorrente em pacientes de alto risco para este evento, após um acompanhamento de 27 meses: 3,6% vs. 24% (diferença de 20,4%; IC95% 8,5 a 32%; P=0,003) (5). Ambos os grupos usaram aspirina. Este benefício foi mantido após um acompanhamento médio de 73 meses (6). Além destes estudos, outros estudos observacionais demonstraram uma maior taxa de resposta ao tratamento, avaliada pela contagem de plaquetas (7,8).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Diminuição dos níveis de plaquetas e prevenção de eventos tromboembólicos

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: HIDROXIURÉIA

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: Há evidência de boa qualidade demonstrando a eficácia da hidroxiureia em diminuir o número de plaquetas e prevenir eventos tromboembólicos em pacientes com TE, inclusive, está disponível no SUS para outras doenças

Há evidências científicas? Sim

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

CFM? Não

Referências bibliográficas:

1. Tefferi A. Diagnosis and clinical manifestations of essential thrombocythemia. In: Larson RA, Rosmarin AG (editors). UpToDate. Topic 4491. Version 40.0.

2. Tefferi A. Prognosis and treatment of essential thrombocythemia. In: Larson RA, Rosmarin AG (editors). UpToDate. Topic 4486. Version 53.0.

3. Jinna S, Khandhar PB. Hydroxyurea Toxicity. 2020 Aug 27. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2021 Jan–.

4. Accurso V, Santoro M, Mancuso S, Napolitano M, Carlisi M, Mattana M, Russo C, Di Stefano A, Sirocchi D, Siragusa S. The Essential Thrombocythemia in 2020: What We Know and Where We Still Have to Dig Deep. Clin Med Insights Blood Disord. 2020 Dec 28;13:2634853520978210.

5. Cortelazzo S, Finazzi G, Ruggeri M, Vestri O, Galli M, Rodeghiero F, Barbui T. Hydroxyurea for patients with essential thrombocythemia and a high risk of thrombosis. N Engl J Med. 1995;332(17):1132.

6. Finazzi G, Ruggeri M, Rodeghiero F, Barbui T. Second malignancies in patients with essential thrombocythaemia treated with busulphan and hydroxyurea: long-term follow-up of a randomized clinical trial. Br J Haematol. 2000;110(3):577.

7. Hernández-Boluda JC, Alvarez-Larrán A, Gómez M, et al. Clinical evaluation of the European LeukaemiaNet criteria for clinicohaematological response and resistance/intolerance to hydroxycarbamide in essential thrombocythaemia. Br J Haematol 2011; 152:81.

8. Palandri F, Catani L, Testoni N, Ottaviani E, Polverelli N, Fiacchini M, De Vivo A, Salmi F, Lucchesi A, Baccarani M, Vianelli N. Long-term follow-up of 386 consecutive patients with essential thrombocythemia: safety of cytoreductive therapy. Am J Hematol. 2009;84(4):215.

9. Griesshammer M, Langer C. Pharmacotherapy of essential thrombocythaemia: economic considerations. Expert Opin Pharmacother. 2003 Sep;4(9):1499-505.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS-UFRGS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: A parte autora apresenta laudo médico informando ser portador de trombocitemia essencial com isquemia de pododáctilos como principal manifestação clínica inicial. Iniciou tratamento com hidroxiuréia (fármaco pleiteado no processo) com resolução do

quadro clínico, porém não conseguiu obter o medicamento por via administrativa uma vez que esse só é fornecido para anemia falciforme. Pleiteia, então, o tratamento por via judicial.

A trombocitemia essencial (TE, também chamada de trombocitose essencial e trombocitose primária) é uma neoplasia mieloproliferativa crônica que se caracteriza pela proliferação clonal de plaquetas com tendência a trombose e hemorragia. Até metade dos pacientes com TE são diagnosticados acidentalmente quando a trombocitose é observada em um hemograma obtido por algum outro motivo. Outros apresentam sintomas relacionados à doença (por exemplo, dor de cabeça, tontura, alterações visuais) ou complicações (por exemplo, trombose, sangramento, perda fetal no primeiro trimestre). Aproximadamente 90% dos pacientes têm uma mutação genética em alguns dos seguintes genes: JAK2, CALR ou MPL (1).

O objetivo do tratamento do TE é prevenir complicações trombóticas e hemorrágicas e aliviar os sintomas. As opções de tratamento disponíveis não são curativas e não mostraram prolongar a sobrevivência nem prevenir a transformação da doença em leucemia mieloide aguda (LMA) ou mielofibrose pós-TE. Dentre os tratamentos que podem ser utilizados estão a aspirina, a hidroxiureia, a anticoagulação, o interferon e a anagrelida. A seleção de qual (ou quais medicamentos) serão utilizados no tratamento depende de características da doença e do paciente (2).