

NOTA TÉCNICA Nº 4136/2023 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 1ª Vara Federal de Piracicaba
- 1.3. Processo nº: 5002843-62.2022.4.03.6109
- 1.4. Data da Solicitação: 14/09/2023
- 1.5. Data da Resposta: 22/09/2023

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 19/10/2009 – 13 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: /SP
- 2.4. Histórico da doença: Raquitismo Hipofosfatêmico – CID10 E83.3

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

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO
BUROSUMAB 50MG
- 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 hipofosfemia 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
- 4.7. Custo da tecnologia:
 - 4.7.1. Denominação genérica: BUROSUMABE
 - 4.7.2. Laboratório: ULTRAGENYX BRASIL FARMACEUTICA LTDA
 - 4.7.3. Marca comercial: CRYSVITA
 - 4.7.3. Apresentação: 30 MG SOL INJ CT FA VD TRANS X 1 ML
 - 4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 74.351.04
 - 4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 74.351.04
- 4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços da ANVISA
- 4.10. Recomendações da CONITEC: Os membros da Conitec presentes na 94ª reunião ordinária, no dia 04 de fevereiro de 2021, consideraram que os benefícios clínicos do tratamento foram mais acentuados na população pediátrica apresentando desfechos consistentes. Diante do exposto, os membros presentes deliberaram, por unanimidade, a

recomendação do burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças conforme protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e recomendar a não incorporação do burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos. Assim, foi assinado o Registro de Deliberação nº 589/2021

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

O Ministério da Saúde publicou em 2016 o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas(PCDT) – Raquitismo e Osteomalácia, indicando que pacientes com raquitismo hipofosfatêmico devam ser tratados com suplementação de fósforo e calcitriol (quando não responsivos a vitamina D e cálcio), exceto no raquitismo hipofosfatêmico com hipercalcúria (acima de 4 mg/kg de peso em urina coletada em 24 horas) hereditário, onde não se recomenda usar calcitriol, pois esses pacientes apresentam níveis elevados de 1,25-diidroxivitamina D. A utilização de paricalcitol não é recomendado em pacientes com raquitismo hipofosfatêmico ligado ao cromossomo X pela ausência de estudos clínicos que comprovem sua eficácia nesta doença.

Atualmente, considera-se a possibilidade de inibição da atividade do FGF23 como uma medida terapêutica única para doenças hipofosfatêmicas causadas pelo excesso de FGF23. O burosumabe (Crysvita®) é um anticorpo monoclonal que se liga e inibe a atividade do fator de crescimento de fibroblastos 23 (FGF23). Ao inibir o FGF23, espera-se que o burosumabe aumente a reabsorção de fosfato pelo rim e, através da produção de vitamina D, melhore a absorção intestinal de cálcio e fosfato. O medicamento possui uma autorização de comercialização condicional para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X, com evidência radiográfica de doença óssea em crianças de 1 ano de idade ou mais e adolescentes com esqueletos em crescimento.

5.2. Benefício/feito/resultado esperado da tecnologia:

O tratamento da hipofosfatemia ligada ao X busca promover o crescimento, melhorar os sinais radiológicos e histológicos de raquitismo e osteomalácia, reduzir as dores em ossos ou articulações e prevenir (ou pelo menos reduzir) as deformidades esqueléticas

5.3. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável para acesso via judicial, favorável ao acesso garantido pelas vias habituais do SUS

5.4. Conclusão Justificada:

Os documentos clínicos apresentados confirmam a hipótese diagnóstica de hipofosfatemia ligada ao X e esclarecem o quadro clínico atual bem como a trajetória terapêutica até o momento. A medicação foi incorporada pela CONITEC para a situação clínica pleiteada, sendo coerente sua solicitação. Deve ser assegurado o acesso ao medicamento pelas vias

habituais, uma vez que o mesmo se encontra incorporado no componente especializado da relação nacional de medicamentos essenciais, em detrimento da obtenção da medicação por via judicial.

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:

Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos e crianças. Relatório de recomendação No 594, fevereiro/2021.

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