

NOTA TÉCNICA Nº 535/2024 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 1ª Vara Federal de São Bernardo do Campo
- 1.3. Processo nº: 5003158-75.2022.4.03.6114
- 1.4. Data da Solicitação: 02/02/2024
- 1.5. Data da Resposta: 19/02/2024

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 29/10/1977 – 46 anos
- 2.2. Sexo: feminino
- 2.3. Cidade/UF: Diadema -SP
- 2.4. Histórico da doença: Lipodistrofia congênita generalizada (CID E 88.1)

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

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO**
METRELEPTINA
- 4.2. Princípio Ativo: METRELEPTINA
- 4.3. Registro na ANVISA: sim
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: mudança de estilo de vida (nutrição e atividade física), metformina, estatinas e/ou fibratos.
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não
- 4.7. Recomendações da CONITEC: não avaliada

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A lipodistrofia generalizada congênita é uma doença autossômica recessiva com frequente associação a consanguinidade parental. A doença é associada tipicamente a mutações dos genes AGPAT2 e BSCL2.

A doença cursa com ausência ou escassez de tecido adiposo no subcutâneo de abdome e tórax, assim como escassez de tecido adiposo em medula óssea. O paciente apresenta esteatose hepática, podendo evoluir para cirrose hepática, assim como síndrome metabólica com dislipidemia com destaque para hipertrigliceridemia com risco de pancreatite, e resistência insulínica que evolui para Diabetes Mellitus.

O tratamento da condição é análogo a pacientes com síndrome metabólica, envolvendo: mudança de estilo de vida (nutrição e atividade física), metformina, estatinas e/ou fibratos. Considerando que a doença é considerada órfã, existe um pequeno número de casos e de estudos para seus tratamentos específicos.

O Myalept (metreleptina) é utilizado na terapia de reposição de leptina em paciente com lipodistrofia generalizada congênita (Síndrome de Berardinelli-Seip) em pacientes acima dos 2 anos de idade. Há sugestão de que a medicação ofereça: redução de hemoglobina glicada, glicemia de jejum e triglicérides; redução de resistência insulínica; melhor saciedade. No entanto, deve-se levar em conta o risco de: fadiga, hipoglicemia, cefaleia (dor de cabeça), perda de peso, dor abdominal, desenvolvimento de anticorpos contra leptina, assim como o risco de linfoma de células T. A medicação foi aprovada pelo Food and Drug Administration em 2014 e pelo European Medicines Agency (EMA) em 2018.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Paciente do sexo feminino, 46 anos de idade, possui diagnóstico de lipodistrofia congênita generalizada e complicou com Diabetes Mellitus, hipertrigliceridemia e esteatose hepática. Solicitação de metreleptina, porém há necessidade de estudos mais robustos para atestar o benefício clínico da medicação, assim como a segurança do seu uso.

5.3. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada: ausência de estudos com ganhos em desfechos duros, somente identificação de modificação de parâmetros laboratoriais.

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:

1. Nota técnica - Metreleptina - Ministério da Saúde 2022
2. Oral EA, Simha V, Ruiz E, Andewelt A, Premkumar A, Snell P, Wagner AJ, DePaoli AM, Reitman ML, Taylor SI, Gorden P, Garg A. Leptin-replacement therapy for lipodystrophy. N Engl J Med. 2002 Feb 21;346(8):570-8. doi: 10.1056/NEJMoa012437. PMID: 11856796.

3. McDuffie JR, Riggs PA, Calis KA, Freedman RJ, Oral EA, DePaoli AM, Yanovski JA. Effects of exogenous leptin on satiety and satiation in patients with lipodystrophy and leptin insufficiency. *J Clin Endocrinol Metab.* 2004 Sep;89(9):4258-63. doi: 10.1210/jc.2003-031868. PMID: 15356018; PMCID: PMC2266890.
4. Javor ED, Cochran EK, Musso C, Young JR, Depaoli AM, Gorden P. Long-term efficacy of leptin replacement in patients with generalized lipodystrophy. *Diabetes.* 2005 Jul;54(7):1994-2002. doi: 10.2337/diabetes.54.7.1994. PMID: 15983199.
5. Chan JL, Lutz K, Cochran E, Huang W, Peters Y, Weyer C, Gorden P. Clinical effects of long-term metreleptin treatment in patients with lipodystrophy. *Endocr Pract.* 2011 Nov-Dec;17(6):922-32. doi: 10.4158/EP11229.OR. PMID: 22068254; PMCID: PMC3498767.
6. Metreleptin for treating lipodystrophy - National institute for Health and Care Excellence - 24 de fevereiro de 2021 - parecer positivo do Reino Unido

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