

## **NOTA TÉCNICA Nº 7435/2024 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5002158-79.2024.4.03.6143
- 1.3. Data da Solicitação: 07/11/2024
- 1.4. Data da Resposta: 14/11/2024

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 10/04/1979 - 45 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Agromegalia – CID10 E22.0

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

**1 – Considerando as condições descritas no relatório médico acostado aos autos, a parte autora se enquadra na especificação do público-alvo descrito na bula do medicamento?**  
Sim.

**2 – Há evidências científicas que justifiquem o uso do medicamento para o tratamento da doença que acomete a parte autora? Em caso positivo, citar as evidências científicas.**  
A CONITEC avaliou a incorporação da pasireotida ao SUS, com os seguintes resultados (Brasil, 2024): Foram incluídos quatro ensaios clínicos randomizados, sendo que 3 deles estavam presentes na análise do demandante externo. Dentre os efeitos desejáveis, a pasireotida aumentou a probabilidade de o paciente atingir resposta bioquímica em comparação ao controle. Ademais, tanto os escores de qualidade de vida como a redução do tamanho tumoral foram melhores com o uso de pasireotida em relação aos outros análogos da somatostatina. Com relação ao perfil de segurança, os eventos adversos mais frequentes foram principalmente diarreia leve a moderada, coledite, cefaleia, hiperglicemia e diabetes. Não houve diferença entre pasireotida e o controle em relação à taxa de ocorrência de evento adverso grave. Em comparação ao controle, pasireotida aumentou a taxa de ocorrência de episódios de hiperglicemia. Em relação à qualidade da evidência, foi considerada moderada para os desfechos resposta bioquímica, tamanho tumoral e eventos adversos gerais; e baixa para os desfechos qualidade de vida, eventos adversos graves e episódios de hiperglicemia.

**3- Justifica-se a alegação de urgência noticiada na petição inicial?**

A paciente apresenta a doença desde 2015 e o tratamento visa a redução de complicações de longo prazo.

**4- O medicamento requerido é registrado na ANVISA?**

Sim.

**5 – Em caso negativo, há pedido de registro do medicamento no Brasil? Se houver pedido de registro, apresentar informações sobre a tramitação do pedido de registro (data, fase em que se encontra, etc.);**

Não se aplica.

**6 – O medicamento pleiteado é registrado em renomadas agências de regulação no exterior (ex. EUA, União Europeia, Japão)? Em caso positivo quais?**

Sim, nos EUA pelo FDA ([https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2012/200677lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2012/200677lbl.pdf)), na Europa pela EMA (<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/signifor>) e no Japão (<https://www.pmda.go.jp/files/000234111.pdf>).

**7- O medicamento pode ser considerado órfão ou existem outras tecnologias disponíveis no SUS, de eficácia comprovada cientificamente, sejam eles cirúrgicos, terapêuticos ou medicamentosos, que ainda não tenham sido ministrados à parte autora e que se encontrem no rol dos recursos disponibilizados pelo SUS?**

Existem outras linhas de tratamento disponíveis no SUS, conforme descrito abaixo, tendo a paciente já sido submetida a outras linhas terapêuticas.

**8 – O medicamento requerido é o único possível para o tratamento da parte autora e, portanto, pode ser considerado imprescindível?**

Existem outras linhas de tratamento disponíveis no SUS, conforme descrito abaixo, tendo a paciente já sido submetida a outras linhas terapêuticas.

**9 – É possível que seja estabelecido um comparativo (custo x efetividade), entre o medicamento indicado no item anterior e o medicamento pleiteado?**

A paciente já está em tratamento.

**10 – Quais os riscos caso a parte autora não utilize o medicamento requerido?**

Complicações locais e à distância pela ação hormonal.

**11 – Há algum posicionamento da CONITEC acerca do uso do medicamento requerido para o tratamento da enfermidade que acomete a parte autora?**

Em junho de 2024 optou-se pela incorporação do medicamento.

**12 – Apresente outros elementos que considere importante para análise do caso:**

Descritos abaixo.

**13 – Há evidências científicas?**

Descritos abaixo.

**14 – Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência a Emergência do CFM?**

As complicações são consideradas de longo prazo.

**4. Descrição da Tecnologia**

4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO

**PAMOATO DE PASIREOTIDA**

4.2. Princípio Ativo: PAMOATO DE PASIREOTIDA

4.3. Registro na ANVISA: 1712600050037

4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: Não

4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: O tratamento da acromegalia inclui procedimentos cirúrgicos, radioterapia e terapia medicamentosa com agonistas da dopamina (cabergolina) e análogos da somatostatina (octreotida e lanreotida). Em geral, o tratamento inicial da acromegalia é cirúrgico, visando a remoção do adenoma hipofisário. Essa intervenção gera resposta terapêutica entre 50% e 70% dos casos. Em relação aos análogos da somatostatina, estudos abordam o uso desses medicamentos como tratamento primário, tratamento prévio à cirurgia e tratamento secundário (após a cirurgia), sendo efetivos em 40 a 70% dos casos. Quando o uso de análogos de somatostatina não gera a resposta esperada, são adicionados a eles os agonistas da dopamina (cabergolina). Assim, essa associação de medicamentos é considerada o tratamento de terceira linha disponível atualmente no SUS

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

4.7. Recomendações da CONITEC: PORTARIA SECTICS/MS Nº 25, DE 19 DE JUNHO DE 2024 Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o pamoato de pasireotida para o tratamento de pacientes com acromegalia, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Ref.: 25000.141185/2023-37

**5. Discussão e Conclusão**

### **5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:**

A acromegalia é uma doença endócrina rara (com prevalência estimada em 5,9 casos por 100.000 habitantes) de caráter progressivo, provocada pela hipersecreção crônica de hormônio do crescimento (GH), e, conseqüentemente, de IGF-1, responsável pelo crescimento desproporcional de órgãos e tecidos e pelo desenvolvimento de comorbidades sistêmicas.

Pacientes com acromegalia apresentam sintomas variados, como síndrome dismórfica de face e extremidades, dores de cabeça, acroparestesia (associada à síndrome do túnel do carpo), dores articulares, disfunção sexual, hipertensão arterial sistêmica e, mais raramente, defeitos no campo visual. O diagnóstico laboratorial se baseia na constatação de níveis séricos elevados de GH e IGF-1, assim como o objetivo terapêutico é a sua normalização (resposta bioquímica).

A primeira linha de tratamento envolve a cirurgia de ressecção do adenoma hipofisário, possuindo resposta terapêutica da ordem de 50% a 70%. Para pacientes que apresentaram resposta inadequada pós-tratamento, geralmente procede-se com farmacoterapia com análogos da somatostatina, estando disponíveis no SUS a octreotida e a lanreotida, fármacos que possuem cerca de 40 a 70% de efetividade. O tratamento de terceira linha hoje disponível no SUS consiste na associação de análogos da somatostatina à cabergolina. A radioterapia é uma alternativa adicional, sendo pouco utilizada na prática clínica para esse propósito. A CONITEC avaliou a incorporação da pasireotida ao SUS, com os seguintes resultados (Brasil, 2024): Foram incluídos quatro ensaios clínicos randomizados, sendo que 3 deles estavam presentes na análise do demandante externo. Dentre os efeitos desejáveis, a pasireotida aumentou a probabilidade de o paciente atingir resposta bioquímica em comparação ao controle. Ademais, tanto os escores de qualidade de vida como a redução do tamanho tumoral foram melhores com o uso de pasireotida em relação aos outros análogos da somatostatina. Com relação ao perfil de segurança, os eventos adversos mais frequentes foram principalmente diarreia leve a moderada, colelitíase, cefaleia, hiperglicemia e diabetes. Não houve diferença entre pasireotida e o controle em relação à taxa de ocorrência de evento adverso grave. Em comparação ao controle, pasireotida aumentou a taxa de ocorrência de episódios de hiperglicemia. Em relação à qualidade da evidência, foi considerada moderada para os desfechos resposta bioquímica, tamanho tumoral e eventos adversos gerais; e baixa para os desfechos qualidade de vida, eventos adversos graves e episódios de hiperglicemia.

### **5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

Redução da massa tumoral

### **5.3. Parecer**

- Favorável  
 Desfavorável

#### **5.4. Conclusão Justificada:**

A paciente já foi submetida a tratamentos priorizados pelo PCDT, sem sucesso. Nesse contexto, a medicação é considerada clinicamente eficaz.

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  
 NÃO

#### **5.5. Referências bibliográficas:**

Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde. Pamoato de Pasireotida no tratamento de pacientes com acromegalia. Relatório de recomendação. Brasília, 2024.

#### **5.6. Outras Informações – conceitos:**

**ANS** - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

**ANVISA** - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

**CONITEC** – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

**RENAME** - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

#### **REMUME** - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

#### **ANS** - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

#### **ANVISA** - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

**PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT)** - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

**FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA** é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de

atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

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

**Equipe NAT-Jus/SP**