

## **NOTA TÉCNICA COMPLEMENTAR Nº 1019-A/2024- NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000557-23.2018.4.03.6119
- 1.3. Data da Solicitação: 19/06/2024
- 1.4. Data da Resposta: 28/06/2024

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 21/11/2002 – 21 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Guarulhos/SP
- 2.4. Histórico da doença: Doença de Fabry – CID10 E75.2

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

Solicitem-se ao NATJus esclarecimentos acerca da Nota Técnica ID 318223837, solicitando-se informações acerca da utilização da recomendação da Conitec de 18/05/2023 quanto à incorporação da medicação alfafalsidase para tratamento da Doença de Fabry.

### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO  
**REPLAGAL 3,5MG/ML**

### **5. Discussão e Conclusão**

- 5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Pacientes com a Doença de Fabry (DF) passam a contar com um medicamento específico para o tratamento no SUS depois que o Ministério da Saúde incorporou a alfafalsidase para pacientes com 7 anos de idade ou mais. A DF é progressiva, multissistêmica e os sintomas iniciais inespecíficos levam a uma média de quatorze anos até o diagnóstico. Até então, a terapia de suporte disponível no Sistema Único de Saúde auxiliava no controle de apenas alguns sintomas e na prevenção de complicações, não interrompendo a progressão da doença. A expectativa é que 450 pacientes com a Doença de Fabry sejam beneficiados no país.

No mundo, a DF atinge, aproximadamente, 1 a cada 100 mil pessoas. No Brasil, em média, os pacientes são diagnosticados após os 30 anos de idade, de acordo com estudo avaliado no relatório técnico da Conitec.

A tecnologia passou pela avaliação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) em 2018 e 2020, quando os integrantes da Comissão indicaram a não incorporação da tecnologia devido ao elevado impacto

orçamentário que isso representaria para o SUS. Conforme nova demanda encaminhada pela empresa, uma nova proposta de preço foi apresentada, com redução significativa de preço: o desconto representa 46% de redução do preço PMVG (preço máximo de venda ao governo).

A Conitec, durante a 116ª Reunião Ordinária, realizada no dia 15 de março de 2023, recomendou, por unanimidade, a incorporação da alfa-galactosidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir de sete anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

O trabalho da CONITEC não termina com a publicação da portaria de incorporação de uma tecnologia, pois há ainda um caminho até que a tecnologia esteja, de fato, disponível para o paciente que dela necessita. De acordo com o Decreto nº 7.646/2011, a partir da publicação da decisão de incorporar uma tecnologia em saúde, há um prazo **máximo de 180 dias** para que seja efetivada a sua oferta aos pacientes do SUS.

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

A alfa-galactosidase é indicada para terapia crônica de reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de Doença de Fabry. O medicamento atua suprimindo a falta das enzimas que gera o acúmulo da gordura Gb3, o que diminui os sintomas e os danos causados aos órgãos afetados.

As evidências apresentadas indicam que o tratamento precoce está associado a melhores resultados na redução dos danos aos rins e ao coração, quando comparado com o início tardio do tratamento. Além disso, a alfa-galactosidase traz resultados significativos ao reduzir as dores, melhorar a qualidade de vida e as funções do coração e dos rins.

No ano passado, o Ministério da Saúde publicou as Diretrizes Brasileiras para Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry. A publicação do documento foi um passo importante para padronizar o atendimento a esses pacientes no SUS, além de orientar o diagnóstico, monitoramento e o tratamento para prevenir complicações da doença, tratar sintomas e a terapia de reabilitação.

O atendimento de pacientes com doenças raras é feito prioritariamente na Atenção Primária, principal porta de entrada para o SUS, e se houver necessidade o paciente será encaminhado para atendimento especializado de média ou alta complexidade, conforme a necessidade dos doentes.

O Ministério da Saúde está atento às necessidades dos pacientes com doença rara e reafirma o compromisso de melhorar a qualidade de vida dos pacientes, dentro da compatibilidade orçamentária do SUS.

#### 5.3. Parecer

( x ) Favorável

( ) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada: Houve incorporação, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, da alfafalsidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde, publicada no Diário Oficial da União nº 96, seção 1, página 254, em 22 de maio de 2023.

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

( ) SIM, com potencial risco de vida

( x ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

( ) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230522\\_relatorio\\_803\\_alfagalsidase\\_doenca\\_de\\_fabry-1.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230522_relatorio_803_alfagalsidase_doenca_de_fabry-1.pdf)

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**