Em resposta às solicitações demandadas a este NATJUS, e baseado nas recomendações do Ministério da Saúde pela Portaria 364, de 06/05/2014, esta Nota Técnica foi produzida para os processos com a mesma demanda relacionada aos tratamentos profiláticos das Hemofilias A e B,

Este Parecer Técnico é baseado nas orientações do Ministério da Saúde através do Protocolo relacionado ao tratamento para Hemofilia Grave, pela seguinte portaria:

PORTARIA Nº 364, DE 6 DE MAIO DE 2014

Aprova o Protocolo de Uso de Profilaxia Primária para Hemofilia Grave.

A Hemofilia é uma doença caracterizada por alterações genéticas que causam deficiências dos fatores de coagulação. No caso da Hemofilia A (deficiência do Fator VIII) e no caso da Hemofilia B (deficiência do Fator IX). Do ponto de vista clínico, as hemofilias A e B são semelhantes. O diagnóstico diferencial entre elas é realizado por exames laboratoriais de dosagens específicas da atividade de fator VIII e de fator IX.

São doenças incuráveis e que acarretam sangramentos, sendo que uma das conseqüências é a evolução para distúrbios articulares progressivos, que ocorrem em virtude de sangramentos no interior de grandes articulações como ombros, cotovelos, joelhos e tornozelos, de modo a comprometer a funcionalidade e a mobilidade de tais estruturas – o que se denomina artropatias hemofílicas. A manifestação clínica mais freqüente nos pacientes com hemofilia grave são as hemorragias músculo-esqueléticas, principalmente as hemartroses de repetição em uma mesma articulação ("articulação-alvo") podem levar à degeneração articular progressiva, denominada artropatia hemofílica.

O tratamento da Hemofilia divide-se em dois tipos: a terapêutica sob demanda (quando há sangramentos já instalados, objetivando que cessem) e a terapêutica profilática (com doses dos fatores de coagulação objetivando prevenir sangramentos). Visando evitar com que estes pacientes hemofílicos apresentem hemorragias e prejuízos articulares, torna-se necessário em muitos casos a realização de administração profilática dos fatores de coagulação, os quais podem ser dois tipos: Concentrados de Fatores de Coagulação de origem Plasmática (padronizados pelo SUS) e os Fatores de Coagulação de origem Recombinante (sendo que o tipo VIII Recombinante é padronizado pelo SUS, já o tipo IX Recombinante não é padronizado). Quanto à segurança, os fatores de coagulação plasmáticos apresentam-se seguros graças aos avanços de seus processamentos. Desta forma, o último caso de transmissão infecciosa por fatores de coagulação plasmáticos ocorreu na década de 80. Os concentrados de fatores de origem plasmática são altamente eficazes no controle dos sangramentos. Tipicamente, a taxa de sucesso é de 90% ou mais após 1 a 2 infusões do concentrado para o tratamento de um episódio de hemartrose. A realização de teste do ácido nucléico (NAT) para detecção de agentes infecciosos virais no plasma, tornou os concentrados plasmáticos altamente seguros. A principal evidência desta segurança é demonstrada através da ausência de relatos de transmissão de vírus em pessoas com hemofilia desde o final da década de 80.

Quanto à eficácia, não há alterações ao se compararem os fatores de coagulação plasmáticos e recombinantes. Devido a estes fatores, a CONITEC deliberou pela não incorporação do Fator IX recombinante.

PORTARIA Nº 17, DE 19 DE ABRIL DE 2017

Torna pública a decisão de não incorporar o alfanonacogue para hemofilia B em pacientes menores de 19 anos de idade, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

Já quanto ao Fator VIII recombinante, a CONITEC recomendou a incorporação da tecnologia na listagem da RENAME, baseado na redução dos custos de fabricação quando da transferência de tecnologia à Hemobrás.

2.3. Concentrados de fator de origem plasmática x recombinante

Com relação à eficácia, existem evidências suficientes que demonstram que todos os produtos registrados, tanto de origem plasmática quanto recombinante, são altamente eficazes no controle dos sangramentos, com taxa de sucesso superior a 90%. Assim, com relação à eficácia, todos os produtos devem ser considerados como semelhantes, desde que infundidos conforme dosagem recomendada e no tempo apropriado. Com relação à

segurança, no que se relaciona à transmissão de agentes infecciosos, ambos os produtos são altamente seguros, embora os produtos recombinantes de terceira geração tenham nível de segurança máxima. No entanto, não se deve esquecer que tanto os concentrados de origem plasmática quanto os recombinantes são produtos biológicos, de modo que o risco zero é irrealista, sendo necessário manter monitoramento e vigilância contínuas.

PORTARIA No- 11, DE 6 DE MARÇO DE 2013
Torna pública a decisão de incorporar o medicamento fator VIII de origem recombinante para a profilaxia primária e tratamento de pacientes com hemofilia A no Sistema Único de Saúde (SUS).

CONCLUSÕES:

- CONSIDERANDO que a terapêutica relacionada ao seguimento dos pacientes portadores de Hemofilia A e Hemofilia B seja baseada na administração dos fatores de coagulação VIII (Hemofilia A) e IX (Hemofilia B).

- CONSIDERANDO que existem duas modalidades de terapêutica sendo: sob demanda (quando há sangramento instalado) e profilática (buscando evitar o sangramento).

- CONSIDERANDO que a CONITEC recomendou a Incorporação do Fator de Coagulação VIII Recombinante à listagem da RENAME.

- CONSIDERANDO que a CONITEC recomendou a Não Incorporação do Fator de Coagulação IX à listagem da RENAME.

- CONSIDERANDO que ambos os Fatores de Coagulação, tanto Plasmático quanto Recombinante, apresentam eficácia e segurança similares.

Este NATJUS entende por considerar o uso dos Fatores de Coagulação RECOMBINANTES dos tipos VIII e IX como NÃO JUSTIFICADOS, pois o Protocolo de Tratamento das Hemofilias A e B do Ministério da Saúde não contemplam estes Fatores Recombinantes VIII e IX, visto que se referem apenas aos Fatores de Coagulação de origem Plasmática, os quais apresentam segurança e eficácia semelhantes quando comparados entre si. Ressalva se faz em relação ao Fator VIII Recombinante, o qual foi incorporado ao RENAME e, assim, o seu uso deve ser baseado conforme prescrição do médico assistente do paciente, visto que o SUS também fornece o fator VIII plasmático como alternativa.