Nota Técnica 380881

Data de conclusão: 25/07/2025 12:14:48

Paciente

Idade: 9 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Canoas/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 2° Núcleo de Justiça 4.0 - RS

Tecnologia 380881

CID: D69.3 - Púrpura trombocitopênica idiopática

Diagnóstico: púrpura trombocitopênica idiopática

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): laudo médico

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Via de administração: VO

Posologia: eltrombopague 50 mg, uso contínuo. Tomar 1 cp ao dia

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Sim

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: prednisona, dexametasona, metilprednisolona, imunoglobulina humana intravenosa, ciclofosfamida, azatioprina, danazol, vincristina.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O uso de eltrombopague, um estimulador da trombopoetina, tem se mostrado eficaz na elevação da contagem de plaquetas e na redução de sangramentos em pacientes adultos e crianças a partir de 6 anos de idade com PTI e previamente tratados com pelo menos uma linha de tratamento (1).
Tal resultado pôde ser verificado por meio de ensaios clínicos randomizados com período curto de acompanhamento, variando de seis semanas a seis meses (3–5). O medicamento é bem tolerado, mas está associado a eventos adversos, como alterações das enzimas hepáticas aminotransferases/transaminases, risco de complicações trombóticas/tromboembólicas, cefaleia, insônia, fadiga, anemia, náusea, diarreia, mialgias, estado gripal, astenia, edema periférico, síndrome gripal e rash cutâneo (3).
Especificamente no tratamento de crianças, o relatório da CONITEC incluiu uma revisão sistemática com metanálise que avaliou o uso de agonistas do receptor de trombopoietina (TPO) no tratamento da PTI (6). Foram avaliados 345 pacientes, 238 no grupo com TPO e 107 no grupo placebo. Em relação à eficácia, foram observados melhores resultados para o grupo com TPO para as taxas de resposta plaquetária geral, duração de resposta e necessidade de medicação de resgate. Este grupo também teve resultados superiores na incidência de eventos de sangramento clinicamente significativos, mas teve resultados comparáveis na incidência de qualquer sangramento ou de sangramento grave. As análises de subgrupos mostraram que o eltrombopague olamina estava associado à menores taxas de eventos de sangramento clinicamente significativos [RR 0,37; IC95% 0,15 a 0,93; P=0,035], enquanto nenhuma diferença significativa foi encontrada entre romiplostim e grupo controle [RR 1,00; IC95% 0,05 a 21,42P=1]. Quanto a qualquer evento de sangramento tanto o eltrombopague olamina quanto o romiplostim não diferiram do grupo controle (RR 0,64; IC95% 0,24 a 1,73 e RR 1,17; IC95% 0,87 a 1,56; respectivamente). Em relação aos eventos graves de sangramento, os resultados também foram comparáveis entre os TPO e o grupo controle, tanto com eltrombopague olamina (RR 0,10; IC95% 0,01 a 2,00) como com o romiplostim (RR 0,59; IC95% 0,03 a 11,41). Nenhuma diferença significativa foi encontrada entre os dois grupos na qualidade de vida ligada à saúde, nem no fardo dos pais. Quanto à segurança, não houve diferença significativa na incidência de qualquer efeito adverso ou efeitos adversos graves entre os grupos. Apenas 10% dos pacientes no grupo que usou TPO eram esplenectomizados e 6% no controle, enquanto a maioria (90% e 94%, respectivamente) não tinha a cirurgia. Como limitações deste estudo pode-se considerar a amostra pequena, desfechos não uniformes, duração variável entre os estudos, estudos não homogêneos e tempo curto para avaliar segurança a longo prazo. O eltrombopague olamina pareceu ser melhor que o romiplostim em termos de necessidade de terapia de resgate e em relação aos eventos de sangramento clinicamente significativos.

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Total
ELTROMBOPAGUE OLAMINA	50 MG COM REV CT BL AL/AL X 14	26	R$ 4.046,95	R$ 105.220,70

* Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Rio Grande do Sul (ICMS 17%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, PMVG = PF*(1-CAP). O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.
O medicamento eltrombopague olamina é comercializado no Brasil pelo laboratório Novartis S.A com o nome comercial Revolade®. A tabela acima foi elaborada em consulta à tabela CMED em fevereiro de 2025 e de acordo com a prescrição médica juntada aos autos, considerando o valor para um ano de tratamento.
Em sua avaliação a CONITEC realizou o cálculo de impacto orçamentário incremental para incorporação do eltrombopague olamina no SUS de, aproximadamente, R$ 39,5 milhões em 2019 e R$ 202 milhões nos cinco anos do horizonte temporal proposto (2019-2023) (3).
O National Institute For Health And Clinical Excellence (NICE) da Inglaterra incorporou o eltrombopague olamina e recomenda como opção para o tratamento de adultos com PTI pós esplenectomia e refratários ou com contraindicação para a esplenectomia e refratários ao tratamento padrão ativo e de resgate ou com doença grave e alto risco de sangramento com resgates frequentes e mediante acordo de preço com o fabricante (7).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: elevação da contagem de plaquetas e redução de sangramentos.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: ELTROMBOPAGUE OLAMINA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: O medicamento eltrombopague compõe o elenco do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), cuja responsabilidade executiva pela sua aquisição e dispensação é dos Estados. É ofertado para o tratamento de anemia aplástica e púrpura trombocitopênica (CIDs-10 D61.1, D61.2, D61.3, D61.8 e D69.3). As condições que devem ser satisfeitas para que a parte autora tenha acesso a este medicamento estão dispostas, em detalhe, no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Púrpura Trombocitopênica Idiopática, que deverá ser avaliado pelo médico assistente. Se cumpridas as condições, a parte autora deverá procurar a Secretaria Municipal de Saúde que indicará o serviço onde deverão ser entregues os documentos solicitados pelo referido PCDT, dando entrada à solicitação administrativa do tratamento. Alternativamente, a solicitação administrativa deste medicamento poderá ser encaminhada eletronicamente por meio do site Farmácia Digital RS (https://farmaciadigital.rs.gov.br/consultar).
Destacamos que a negativa administrativa inicial deveu-se ao fato de que a paciente não preenchia os critérios definidos para o uso do medicamento na época de sua solicitação, a saber idade acima de 6 anos. Além disso, segundo laudo médico atualizado, a paciente não apresenta indicação ao uso da tecnologia pois a mesma apresenta contagem de plaquetas

normalizada após realização de esplenectomia, sendo que a indicação do uso do medicamento é para elevar a contagem de plaquetas e reduzir sangramentos nos pacientes com PTI.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas: 1. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência Tecnologia e Insumos Estratégicos. PORTARIA CONJUNTA No 9, DE 31 DE JULHO DE 2019. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Púrpura Trombocitopênica Idiopática. [Internet]. Disponível em: https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/pcdt/arquivos/2022/portal-portaria-conjunta-09_2019_pcdt-pti-docx.pdf
2. Provan D, Arnold DM, Bussel JB, Chong BH, Cooper N, Gernsheimer T, et al. Updated international consensus report on the investigation and management of primary immune thrombocytopenia. Blood Adv. 26 de novembro de 2019;3(22):3780–817.
3. Saúde (CONITEC) CN de I de T no SÚ de. Eltrombopague olamina no tratamento da púrpura trombocitopênica idiopática (PTI). 2018 [citado 18 de fevereiro de 2025]; Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Recomendacao/Relatorio_EltrombopagueOlamina_PTI.pdf
4. Bussel JB, Cheng G, Saleh MN, Psaila B, Kovaleva L, Meddeb B, et al. Eltrombopag for the treatment of chronic idiopathic thrombocytopenic purpura. N Engl J Med. 29 de novembro de 2007;357(22):2237–47.
5. Bussel JB, Provan D, Shamsi T, Cheng G, Psaila B, Kovaleva L, et al. Effect of eltrombopag on platelet counts and bleeding during treatment of chronic idiopathic thrombocytopenic purpura: a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet Lond Engl. 21 de fevereiro de 2009;373(9664):641–8.
6. Guo JC, Zheng Y, Chen HT, Zhou H, Huang XH, Zhong LP, et al. Efficacy and safety of thrombopoietin receptor agonists in children with chronic immune thrombocytopenia: a meta-analysis. Oncotarget. 19 de dezembro de 2017;9(6):7112–25.
7. NICE. Eltrombopag for the treatment of chronic immune (idiopathic) thrombocytopenic purpura (review of technology appraisal 221) [Internet]. 2012. Disponível em: https://www.nice.org.uk/guidance/ta293/documents/thrombocytopenic-purpura-eltrombopag-rev-ta205-final-scope2

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Laudo médico de 03 de dezembro de 2024, detalha que a paciente em tela possui diagnóstico de púrpura trombocitopênica idiopática desde 2020. Iniciou tratamento em dezembro de 2020, sendo acompanhada regularmente desde então. Devido à plaquetopenia persistente, sob o risco de hemorragia grave e morte, necessitou de vários tratamentos (de 2020 a 2022 recebeu vários cursos de corticóide oral e imunoglobulina humana endovenosa sem resposta sustentada, passando ao eltrombopague nos anos de 2022 a 2023). Como a resposta aos tratamentos realizados era parcial e se mantinha não sustentada, com queda recorrente das plaquetas, em julho de 2023 foi submetida à esplenectomia, sendo suspenso o eltrombopague no segundo semestre de 2023, uma vez que

as contagens das plaquetas normalizaram. Atualmente faz uso de amoxicilina profilática diária devido à retirada do baço, com plano de uso por 3 anos (Evento 189, Laudo2). O pedido inicial para o medicamento eltrombopague foi realizado em 2021, data em que a paciente tinha 4 anos de idade, e, portanto, o pedido foi negado administrativamente pois este tratamento só é disponibilizado para pacientes a partir dos 6 anos de idade (Evento1,OUT17).

A púrpura trombocitopênica idiopática (PTI) é uma doença autoimune adquirida, de causa desconhecida, caracterizada pela presença isolada de trombocitopenia (baixas contagens de plaquetas no sangue periférico, <100.000 cél/mL). Há destruição aumentada das plaquetas associada à produção prejudicada na medula óssea. A PTI aguda é estabelecida quando as contagens plaquetárias encontram-se baixas por menos de 3 meses; persistente quando ocorre entre 3 a 12 meses após o diagnóstico; e crônica quando persiste por mais de 12 meses. A incidência estimada é de 100 casos por um milhão de pessoas por ano, com aproximadamente metade ocorrendo em crianças e metade em adultos, e uma prevalência de 9,5-23,6 casos por 100.000 pessoas (1) .

A gravidade dos sintomas está associada à contagem plaquetária, sendo maior quando inferior a 10.000/mL. O risco de sangramento correlaciona-se à gravidade da trombocitopenia. Pacientes assintomáticos com contagem plaquetária > 30.000/mL tendem a seguir um curso clínico favorável, sendo o tratamento restrito a casos que evoluem para trombocitopenia grave (plaquetas < 20.000/mL) ou àqueles com sangramento associado à trombocitopenia (plaquetas < 50.000/mL). Os medicamentos usados no tratamento não curam a PTI, porém controlam a doença através do aumento da contagem das plaquetas . O tratamento deve ser individualizado, tendo como objetivos: a) evitar episódios hemorrágicos graves; b) manter nível alvo de plaquetas entre 20.000 e 30.000/mL (ao menos para pacientes sintomáticos); c) ter toxicidade mínima; d) otimizar a qualidade de vida relacionada à saúde (2).