

Monitoramento do uso da Alfa- α -glicosidase para o tratamento da Doença de Pompe após incorporação ao SUS

Autores: Mariá Gonçalves Pereira Silva, Amanda Oliveira Lyrio, Felipe Ferré, Tacila Pires Mega, Ana Carolina Freitas Lopes, Luciene Fontes Schluckebier Bonan

Instituição: CMTS/DGITS/SECTICS/MS - Brasília - DF - Brasil, CMTS/DGITS/SECTICS/MS - Brasília - DF - Brasil, DGITS/SECTICS/MS - Brasília - DF - Brasil

Introdução: A Doença de Pompe é uma doença genética rara de acometimento neuromuscular progressivo e frequentemente fatal nas formas graves. A Alfa- α -glicosidase, incorporada em outubro de 2019 por recomendação favorável da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec), é o tratamento oferecido pelo Sistema Único de Saúde (SUS) para a forma precoce, a qual tem início antes dos 12 meses de idade. **Objetivos:** Descrever a utilização e o impacto orçamentário da Alfa- α -glicosidase no tratamento da Doença de Pompe no âmbito do SUS. **Material e Método:** Trata-se de estudo descritivo com dados de mundo real, retrospectivos, administrativos e nacionais de dispensação, de maio de 2021 a setembro de 2022. Os dados foram extraídos por meio da Sala Aberta de Situação em Saúde (Sabeis), que é originada do Sistema de Informações Ambulatoriais do SUS (SIA/SUS). Foram incluídos dados de pacientes com diagnóstico de Doença de Pompe e que estavam em uso de Alfa- α -glicosidase. O preço unitário foi consultado na base do Sistema Integrado de Administração de Serviços Gerais (SIASG), por meio do Banco de Preços em Saúde. Os critérios para busca foram compras administrativas da Alfa- α -glicosidase pelo Departamento de Logística em Saúde (DLOG/SE/MS). **Resultados:** A Alfa- α -glicosidase é do grupo 1A do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), com financiamento pelo Ministério da Saúde. A primeira compra foi em março de 2021, e a primeira dispensação ocorreu em maio do mesmo ano, 19 meses após a incorporação. Foram identificados 29 usuários do medicamento, o estimado era entre 20 e 75 anos. A mediana de idade dos usuários foi de 22 anos e o peso médio foi 45 kg, o estimado era respectivamente menor que 12 meses e 9,5kg. A maioria dos registros (97%) apresentou consistência entre a quantidade aprovada e a quantidade mensal necessária com base no peso dos pacientes. Os preços unitários das compras realizadas (R\$ 1.373,10 e R\$ 1.386,00) foram inferiores ao preço proposto pela empresa produtora para a incorporação (R\$ 1.408,80). O custo por paciente no primeiro ano de implementação foi R\$ 632.724,48, superior ao estimado no relatório de recomendação (R\$ 146.515,20). O impacto orçamentário do uso da Alfa- α -glicosidase no tratamento da Doença de Pompe no SUS, nos primeiros 12 meses após a implementação foi R\$ 4.509.260,40, conforme o previsto em dois dos três cenários estimados no Relatório de Recomendação da tecnologia. **Discussão e Conclusões:** A implementação da Alfa- α -glicosidase no SUS demorou mais do que o previsto pela legislação. A idade e o peso dos pacientes foram maiores do que o esperado. Os preços de compra foram inferiores ao previsto, porém o custo anual por paciente foi maior, provavelmente devido à subestimação do peso médio dos pacientes. O impacto orçamentário ficou dentro do previsto. Esses resultados ressaltam a importância de uma avaliação contínua das tecnologias incorporadas.

Palavras-Chave: Doença de Pompe; Alfa- α -glicosidase; Monitoramento; Sistema Único de Saúde.

Referências Bibliográficas:

1. Equipe Sabeis. Relatório técnico contendo descrição da validação do processo de Extração, Transformação e Carga de registros de dispensação de medicamentos regidos por Protocolo Clínico e Diretriz Terapêutica contidos Sala Aberta de Inteligência em Saúde - Sabeis [Internet]. 2022.
2. Ministério da Saúde (Brasil). Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Pompe. 2020