

Impacto da alfaepoetina humana recombinante na necessidade de transfusões sanguíneas regulares na Doença Falciforme: análises de custo-efetividade e impacto orçamentário

EIXO 1: SUSTENTABILIDADE NOS SISTEMAS DE SAÚDE

Autores: Ludmila Peres Gargano; Clarisse Lobo; Haliton Alves de Oliveira Junior; Rosa Camila Lucchetta

Introdução: A Doença Falciforme (DF) é uma condição que, apesar de estar elencada como doença rara, é uma condição genética bastante prevalente no Brasil. Apresenta complicações crônicas, graves e multissistêmicas, incluindo comprometimento renal que pode se iniciar ainda na infância sendo a albuminúria a primeira manifestação. Além do tratamento padrão com hidroxiureia e transfusões sanguíneas regulares, diretrizes internacionais recomendam agentes estimulantes da eritropoiese, como a alfaepoetina (rHuEPO), para pacientes com DF e comprometimento renal. O uso de rHuEPO está consolidado em anemia por doença renal crônica (DRC), e as evidências sugerem eficácia na elevação dos níveis de hemoglobina (Hb) para os valores basais do paciente com DF, o que pode reduzir a necessidade de transfusões regulares, comuns com a concomitância da lesão renal mesmo que insipiente. Elaboraram-se análises de custo-efetividade (ACE) e de impacto orçamentário (AIO) da rHuEPO + cuidado padrão, no curto prazo, sob a perspectiva do SUS.

Métodos: O modelo escolhido para a ACE foi uma árvore de decisão. A variável clínica relevante foi o impacto da rHuEPO na redução da necessidade de transfusões sanguíneas, transferida para a efetividade no modelo como ano de vida ajustado por qualidade (QALY). Foram considerados custos diretos médicos relacionados à aquisição de rHuEPO e outros custos em saúde relacionados à transfusão. Pacientes com declínio da função renal e piora dos níveis de Hb entram no modelo com indicação de receber transfusões regulares; aqueles que seguem para o braço da rHuEPO + cuidado padrão têm uma probabilidade de apresentar boa resposta (elevação clinicamente relevante nos níveis de Hb, i.e. $<1,5\text{g/dL}$), suspendendo as transfusões; aqueles que não apresentam resposta ao tratamento, permanecem com indicação de transfusões regulares. Para a AIO, a população foi estimada por demanda epidemiológica, sendo considerado os custos diretos para um horizonte de cinco anos.

Resultados: A rHuEPO + cuidado padrão comparada ao cuidado padrão gerou incremento de 0,033 QALY, resultado de 36,8% menos necessidade de transfusões, e uma economia de R\$ 9.759,55 por paciente/ano. A rHuEPO foi a alternativa dominante, isto é, maior benefício clínico e menor custo total. Na AIO, a população elegível foi de 5.274 pacientes por ano, em média. O custo direto de aquisição da rHuEPO para a população total elegível variou de R\$ 4.683.440 no primeiro ano a R\$ 28.196.317 no quinto ano de incorporação. Entretanto, considerando a eficácia estimada na ACE para redução das transfusões, a AIO demonstrou uma economia de R\$ 30.473.084 acumulada em cinco anos.

Discussão e conclusões: Avaliações de tecnologias para incorporação no SUS que demonstram maior eficácia com redução de custos são incomuns, especialmente em doenças raras. Nesta análise, a rHuEPO permaneceu como alternativa dominante e sua incorporação resultaria em economia para o sistema na maior parte das simulações na ACE e AIO, respectivamente. Entretanto, cenários de baixa efetividade em reduzir a necessidade de transfusões regulares podem afetar estas estimativas. Cabe destacar que a rHuEPO é um tratamento consolidado para anemia em decorrência da DRC, mas as evidências para população com DF são frágeis e não há indicação aprovada em bula para esta população.

Palavras-chave: Análise de Custo-Efetividade; Análise de Impacto Orçamentário; Avaliação de Tecnologias em Saúde; Doença Falciforme; Doenças Raras