

Data: 16/10/2013

NTRR 195/2013

Medicamento	X
Material	
Procedimento	
Cobertura	

Solicitante:

Desembargador Geraldo Augusto de Almeida

Número do processo: 1.0000.13.077814-5/000

Réu: Secretaria de Saúde de Estado de Minas

TEMA: Sirolimus para tratamento de linfangiomatose sistêmica.

Sumário

1. Resumo executivo	2
1.1 Recomendação	2
2. Análise da solicitação	3
2.1 Pergunta clínica estruturada	3
2.2 Contexto(1)	3
2.3 Descrição da tecnologia a ser avaliada	3
2.4 Disponibilidade no SUS	4
2.5 Preço do medicamento:	4
3. Resultados da Revisão da literatura	5
4. Conclusão	5
5. Referências	5

1. RESUMO EXECUTIVO

Solicitação

“Solicitamos com preferência/urgência diante do caso específico, informação/nota técnica sobre o medicamento SIROLIMUS.

O caso concreto corresponde ao Mandado de Segurança nº 1.0000.13.077814-5/000, Belo Horizonte.

Impetrante: A.C.S.O., menor, representada por sua mãe. Impetrado:

Secretário de Estado da Saúde de Minas Gerais.

Segundo relatório médico expedido pela Dra. Fernanda Rodrigues Tibúrcio - CRM/MG 36365, oncologia pediátrica do Hospital das Clínicas da UFMG, a paciente menor é portadora de Linfangiomatose Sistêmica com acometimento pleural, pulmonar, esplênico e hepático. Está sendo acompanhada naquele Hospital, com diagnóstico desde 2006. Foi submetida desde então a tratamento com corticoterapia, propranolol e interferon, todos sem sucesso. Evoluiu com piora progressiva do acometimento pulmonar direito e também da base pulmonar esquerda, com progressão da doença. Foi contraindicada a abordagem cirúrgica, devido à morbidade do procedimento e também ao fato da pneumectomia não ajudar para o controle sistêmico da doença, já que o fígado permaneceria acometido. Após reunião da equipe, solicitaram a liberação da medicação SIROLIMUS, na dosagem de 2mg/dia, totalizando 60ml/mês, com tempo estimado de seis meses.”

Desembargador Geraldo Augusto de Almeida - Relator - 1ª Câmara Cível/TJMG..”

1.1 RECOMENDAÇÃO

Face à falta de alternativas e o prognóstico reservado da doença, se a criança tiver mais de 13 anos consideramos pertinente a liberação do medicamento associada às seguintes recomendações: assinatura de termo consentimento informado por tratar-se de terapia iminentemente experimental, apresentação de relatório trimestral para o gestor público sobre a evolução da doença para justificar a

continuidade do tratamento e, se possível, compromisso dos médicos assistentes em documentar e publicar devidamente o caso para que os resultados possam servir como orientação para o tratamento de outros casos.

2. ANÁLISE DA SOLICITAÇÃO

2.1 PERGUNTA CLÍNICA ESTRUTURADA.

População: Paciente portador linfangiomatose sistêmica, refratária ao tratamento com corticoide, interferon e propanolol.

Intervenção: sirolimus

Comparação: tratamento sintomático

Desfecho: ganho de sobrevida, qualidade de vida e toxicidade.

2.2 CONTEXTO(1)

A linfangiomatose difusa é uma afecção rara do sistema linfático, de etiologia ainda controversa, que ocorre predominantemente em crianças e adultos jovens, sem predileção por sexo. Há casos relatados do nascimento até os 80 anos de idade. Sintomas respiratórios são, geralmente, a manifestação inicial da doença e, quando a anormalidade envolve apenas os vasos linfáticos torácicos, a doença é denominada Linfangiomatose Pulmonar Difusa.

A doença afeta quase exclusivamente crianças. Essa condição pode acometer um único órgão, mas em 75% das vezes acomete múltiplos órgãos.

Os sintomas da linfangiomatose variam conforme o órgão acometido e gravidade da doença. Sintomas que aparecem após o crescimento de cistos ou tumores no pulmão ou pleura podem ser tosse seca, diminuição do fôlego, dificuldade respiratória e chiado.

2.3 DESCRIÇÃO DA TECNOLOGIA A SER AVALIADA

Nome químico do medicamento: sirolimus

Nome comercial: Rapamune®

Fabricado por: Wyeth Pharmaceuticals Company

Registro na ANVISA e Indicações de Bula

Registro ANVISA^a: 1.2110.0117

Indicação de bula:^a

Rapamune® (sirolimo) é indicado para a profilaxia da rejeição de órgãos em pacientes transplantados renais.

Contraindicação

**Este medicamento é contraindicado para menores de 13 anos de idade.
(bula foi aprovada pela ANVISA em 11/01/2013)**

2.4 DISPONIBILIDADE NO SUS

Não

Existe diretriz de utilização no SUS?^e

Não, trata-se de doença rara.

2.5 PREÇO DO MEDICAMENTO^b:

Preço Fábrica CMED

Rapamune® apresentação caixa com 60 drageas de 1mg: R\$ 2023,86.

Rapamune® Frasco com 60 ml, 1 mg/ml – R\$2023,86

^a Registro ANVISA, disponível em <https://www.pfizer.com.br/arquivoPdf/Rapamune.pdf>; acesso em 16/10/2013

^b Preço fábrica dos medicamentos, obtido no portal da ANVISA, atualizado em 11/09/2013, disponível em http://portal.anvisa.gov.br/wps/wcm/connect/55d99e8041151a71ad7eaf0ea338d2ac/LISTA+CO NFORMIDADE_2013-09-11.pdf?MOD=AJPERES, acesso em 16/10/2013

3. RESULTADOS DA REVISÃO DA LITERATURA

Após extensa busca na literatura, foram encontrados dois relatos de caso de crianças portadoras de linfangiomatose difusa tratadas com sirolimus. Nos dois casos publicados, houve boa resposta com o uso do medicamento em pacientes graves, com lesões múltiplas e quilotórax maciço, após várias tentativas terapêuticas.

4. CONCLUSÃO

A linfangiomatose sistêmica é uma doença rara, de prognóstico reservado e com poucas possibilidades terapêuticas, já realizadas na paciente em questão. O tratamento com sirolimus é experimental, e foram descritos na literatura apenas dois casos, ambos tiveram boa resposta com o tratamento com sirolimus.

O medicamento tem contraindicação de bula para pacientes com menos de 13 anos.

Face à falta de alternativas e o prognóstico reservado da doença, se a criança tiver mais de 13 anos consideramos pertinente a liberação do medicamento associada às seguintes recomendações: assinatura de termo consentimento informado por tratar-se de terapia iminentemente experimental, apresentação de relatório trimestral para o gestor público sobre a evolução da doença para justificar a continuidade do tratamento e, se possível, compromisso dos médicos assistentes em documentar e publicar devidamente o caso para que os resultados possam servir como orientação para o tratamento de outros casos.

5. REFERÊNCIAS

1. Lima A.S., Martynychen M. G, Florêncio R. T., Rabello L. M. , Barros J. A., Escuissato D. L. Linfangiomatose pulmonar: relato de dois casos. J Bras Pneumol. 2007;33(2):229-233
2. REINGLAS J, RAMPHAL R, BROMWICH M THE SUCCESSFUL MANAGEMENT OF DIFFUSE LYMPHANGIOMATOSIS USING SIROLIMUS: A CASE REPORT. J PEDIATR GASTROENTEROL NUTR. 2011 MAR;52(3):366-9.

3..Gordon K.D., Mortimer P.S..Progressive lymphangiomatosis and Gorham's disease: case report and clinical implications. *Lymphat Res Biol.* 2011;9(4):201-4.