

Ofício nº 141/2023

São Paulo, 24 de outubro de 2023.

À

Agência Nacional de Saúde Suplementar

**Comissão de Atualização do Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde Suplementar –
COSAÚDE,**

Assunto: Contribuição, Consulta Pública nº 118 da ANS - UAT 109 Pomalidomida

Prezados (as),

A ABRALE (**Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia**), entidade sem fins lucrativos, com representação em todo território nacional, inscrita no CNPJ/MF sob o nº. 05.404.321/0001-75, sediada na Rua Dr. Fernandes Coelho, 64, 13º andar, Pinheiros, CEP 05423-040, São Paulo – SP, telefone (11) 3149-5190, instituída com a finalidade de informar e oferecer suporte aos pacientes de doenças onco-hematológica, vem apresentar suas **considerações acerca da proposta de atualização do Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde, Consulta Pública nº 118, especificamente com relação à UAT 109 - pomalidomida associada a daratumumabe e dexametasona para tratamento do Mieloma Múltiplo Recidivado Refratário, após pelo menos uma terapia anterior incluindo lenalidomida**, pelo que passa a expor:

1) DO OBJETO DA CONSULTA

Trata-se de proposta referente à incorporação da pomalidomida associada ao daratumumabe e dexametasona para tratamento de pacientes com Mieloma Múltiplo Recidivado Refratário, após pelo menos uma terapia anterior incluindo lenalidomida, debatida na 20ª reunião técnica da Comissão de Atualização do Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde Suplementar – COSAÚDE. A submissão do medicamento foi realizada pelo

seu proponente Bristol-Myers Squibb Farmacêutica LTDA, e recebeu recomendação preliminar desfavorável.

Frente ao parecer negativo da ANS, foi realizada audiência pública em 24/10/2023, momento em que defendemos a incorporação do medicamento.

2) DO MIELOMA MÚLTIPLO

O mieloma múltiplo é um tipo de câncer que afeta predominantemente pessoas com mais de 50 anos. Caracterizado pela proliferação descontrolada de plasmócitos defeituosos na medula óssea, ele forma aglomerados de células anômalas chamados plasmocitomas. Esses plasmocitomas são considerados "tumores malignos" devido ao seu potencial de prejudicar o funcionamento saudável das células na medula óssea.

O diagnóstico do mieloma múltiplo muitas vezes ocorre tardiamente, o que torna o tratamento desafiador. No entanto, é fundamental que o tratamento seja iniciado logo após o diagnóstico da doença ativa. Embora o mieloma múltiplo seja considerado incurável, o objetivo do tratamento é induzir a remissão da doença e prolongar a sobrevida do paciente, ao mesmo tempo em que preserva sua qualidade de vida.

A jornada de tratamento do mieloma múltiplo é notoriamente marcada por recidivas, o que agrava as consequências da doença. Essas recidivas têm um impacto negativo significativo na qualidade de vida do paciente, além de gerar custos adicionais para o sistema de saúde e impactos sociais. A disponibilidade de diversas opções terapêuticas no caso de recidiva pode ser uma ferramenta valiosa para reverter esse cenário.

Ao tomar decisões sobre tratamentos, é essencial considerar o impacto tanto no desfecho do paciente quanto nos aspectos sociais e econômicos. Isso requer uma abordagem que valorize a escuta qualificada das sociedades médicas, profissionais da saúde, pacientes, familiares e cuidadores.

Este câncer impõe uma grande carga física, emocional e financeira aos pacientes e suas famílias, resultando em significativa redução na qualidade de vida e expectativa de vida. Além disso, a valorização da participação social nos processos de incorporação de novas terapias é fundamental. A análise qualitativa deve ser aprimorada, fornecendo clareza sobre a metodologia utilizada e seu impacto nas decisões relacionadas ao tratamento do mieloma múltiplo.

O mieloma múltiplo é uma doença desafiadora e muitas vezes diagnosticada tardiamente, com recidivas frequentes que afetam negativamente a qualidade de vida dos pacientes. A busca por melhores opções terapêuticas, com uma abordagem que valorize a participação de todas as partes interessadas, é fundamental para melhorar o cenário atual da doença e proporcionar um tratamento mais eficaz e equitativo.

3) DA JORNADA DO PACIENTE

A jornada do paciente com Mieloma Múltiplo Recidivado Refratário, especialmente após pelo menos uma terapia anterior, incluindo Lenalidomida, é um desafio complexo que envolve diversas etapas e considerações. Nesse cenário clínico, a recorrência da doença após o uso de terapias anteriores torna o tratamento ainda mais intrincado.

Estudo observacional, transversal, sobre a jornada dos pacientes com mieloma múltiplo cadastrados no banco de dados da ABRALE , realizado em 2023 com 164 pessoas em tratamento deste tipo de câncer, apontou que 85% dos pacientes tiveram alterações na rotina por conta da doença/tratamento, desses, 65% deixou de trabalhar, 54% deixou de praticar atividade física e 36% deixou de relacionar-se socialmente e 32% mudança no convívio familiar.

Ainda sobre a qualidade de vida dos pacientes, 57% apresentaram efeito colateral crônico e/ou duradouro por conta do tratamento, os principais foram: 90% neuropatia

periférica, 32% chemobrain, 36% perda da libido e 9% dores ósseas. O estudo apontou que 48% das pessoas precisam trocar de tratamento, sendo que, dessas, 59% mudaram por refratariedade da doença, 12% por efeitos colaterais muito agressivos, e 9% não teve acesso ao primeiro tratamento indicado.

A ABRALE observa a grande necessidade de atenção aos pacientes de mieloma múltiplo para a melhoria da linha de cuidado. Os pacientes do Sistema de Saúde precisam de alternativas terapêuticas, as quais ainda não são atendidas. A jornada do paciente com mieloma múltiplo é complexa e desafiadora, exigindo um cuidado multidisciplinar e pode ser dividida em várias etapas de cuidado

Infelizmente, muitos pacientes com mieloma múltiplo podem enfrentar recaídas. Nessa fase, são necessárias opções de tratamento adicionais, como novos medicamentos e ensaios clínicos. A jornada do paciente com mieloma múltiplo é um desafio contínuo, e a personalização do cuidado é crucial para otimizar os resultados

Neste ponto, a combinação de Pomalidomida, Daratumumabe e Dexametasona é recomendada como uma estratégia terapêutica eficaz para pacientes com Mieloma Múltiplo Recidivado Refratário, por profissionais, pacientes e pela Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH). Nesse sentido, a realidade trazida pelos profissionais e pacientes em suas contribuições e na audiência pública devem ser levados em consideração e valorados.

A atual disponibilidade limitada das terapias para tratamentos do MM restringe o acesso dos pacientes a opções de tratamento mais avançadas e eficazes. Reforçamos que os pacientes de mieloma múltiplo que estão em tratamento na saúde suplementar possuem uma clara necessidade não atendida, sobretudo os pacientes que recaem ou são refratários

Os avanços no desenvolvimento de terapias direcionadas, como a combinação de pomalidomida, daratumumabe e dexametasona, oferecem esperança e novas oportunidades

para pacientes que enfrentam desafios clínicos significativos. A atenção multidisciplinar e o apoio contínuo ao paciente desempenham um papel fundamental nessa jornada de tratamento complexa e em constante evolução.

4) DOS PRESSUPOSTOS QUE CORROBORAM A INCORPORAÇÃO DO MEDICAMENTO

Estudos clínicos, como o estudo EQUULEUS, citado na proposta de atualização do rol pelo proponente, demonstraram que a combinação de Pomalidomida, Daratumumabe e Dexametasona resultou em taxas significativas de resposta completa e parcial, prolongando a sobrevida livre de progressão em pacientes com mieloma múltiplo recidivado refratário. Isso é essencial para pacientes que já esgotaram opções terapêuticas anteriores.

A combinação, possui mecanismos de ação distintos, atuando em diferentes alvos no ciclo de vida das células do mieloma. Isso cria sinergia e melhora as chances de resposta ao tratamento. Entretanto, pacientes com mieloma múltiplo recidivado refratário, especialmente após o uso de Lenalidomida, enfrentam uma necessidade médica não atendida significativa. A incorporação dessa terapia proporciona uma opção terapêutica valiosa nesse cenário clínico desafiador.

Além da eficácia no controle da doença, a terapia com combinação Pomalidomida, Daratumumabe e Dexametasona também demonstrou melhorar a qualidade de vida dos pacientes, reduzindo sintomas e complicações associadas ao mieloma múltiplo. Essa combinação terapêutica possui um perfil de segurança aceitável quando devidamente monitorado por profissionais de saúde, com medidas de suporte apropriadas.

As Sociedades médicas, como a American Society of Clinical Oncology (ASCO) e a European Hematology Association (EHA), têm reconhecido a eficácia dessas terapias e têm emitido diretrizes para seu uso em pacientes com mieloma múltiplo recidivado refratário.

A incorporação da pomalidomida associada ao daratumumabe e dexametasona para o tratamento do mieloma múltiplo recidivado refratário, após pelo menos uma terapia anterior, incluindo a lenalidomida, é respaldada por uma base sólida de evidências clínicas, que atende a uma necessidade não satisfeita e melhora a qualidade de vida dos pacientes, apresentando uma opção terapêutica eficaz e relevante para essa população de pacientes.

A maior disponibilidade de opções terapêuticas no caso de recidiva pode contribuir para reverter o cenário atual.

5) DA SEGURANÇA DO MEDICAMENTO

Como apresentado na 20ª reunião técnica da Comissão de Atualização do Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde Suplementar – COSAÚDE, realizada em 20 de setembro de 2023, a eficácia e segurança de pomalidomida associada ao daratumumabe e dexametasona foram avaliadas através do estudo de fase 3 APOLLO em pacientes com MMRR1.

O tratamento com DPd foi estudado em uma população com MMRR que recebeu ≥ 2 de tratamentos anteriores, 100% exposta e 79% refratária a lenalidomida¹ e reduziu em 40% o risco de progressão da doença e aumentou em 23% a TRG em uma população previamente exposta à lenalidomida. O perfil de segurança em ambos os estudos foi consistente com os eventos conhecidos, sem novo sinal de segurança observado.

Os regimes com pomalidomida são os únicos que foram estudados de forma robusta e extensiva no cenário MMRR após uso de lenalidomida. A combinação DPd, um anti-CD38 (daratumumabe) com um IMiD (pomalidomida), tem ação sinérgica, além de representar uma troca de geração que permite a estimulação imunológica contínua em pacientes expostos a lenalidomida.

A combinação DPd proporciona um perfil de segurança bem estabelecido e manejável com ajuste de dose e com baixas taxas de descontinuação, sendo uma opção para diferentes perfis de pacientes, para os quais outras combinações disponíveis podem não ser viáveis. As combinações dos regimes PVd e DPd fornecem opções de administração convenientes para pacientes (terapia oral + subcutânea), reduzindo custos diretos e indiretos relacionados a terapias infusionais utilizadas no tratamento do MMRR.

6) DAS QUESTÕES REGULATÓRIAS

Não obstante as questões técnicas, tendo em vista a lei 14.454, de 21 de setembro de 2022, que alterou a Lei nº 9.656, de 3 de junho de 1998, que dispõe sobre os planos privados de assistência à saúde, para estabelecer critérios que permitam a cobertura de exames ou tratamentos de saúde que não estão incluídos no rol de procedimentos e eventos em saúde suplementar; considerando notadamente os incisos do § 13, do artigo 10, o medicamento deve ser incorporado ao rol, pois possui a recomendação de um órgão de avaliação de tecnologias em saúde com renome internacional, aprovado também para seus nacionais, como é o caso da National Institute for Health and Care Excellence (NICE), Canada's Drug and Health Technology Agency (CADTH) e Food and Drug Administration (FDA).

§ 13. Em caso de tratamento ou procedimento prescrito por médico ou odontólogo assistente que não estejam previstos no rol referido no § 12 deste artigo, a cobertura deverá ser autorizada pela operadora de planos de assistência à saúde, desde que:

I - exista comprovação da eficácia, à luz das ciências da saúde, baseada em evidências científicas e plano terapêutico; ou

II - existam recomendações pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), ou exista recomendação de, no mínimo, 1 (um) órgão de avaliação de tecnologias em saúde que tenha renome internacional, desde que sejam aprovadas também para seus nacionais.” (NR)

Como a ANS ainda não apresentou regulamentação à nova lei, ou regulação, por meio de seus instrumentos jurídicos, a lei deve ser observada.

7) DO PEDIDO

Diante do exposto, a ABRALE reforça a necessidade de opções terapêuticas para o tratamento dos pacientes de mieloma múltiplo, e para que as melhores recomendações e esquemas terapêuticos médicos possam ser atendidas, tendo em vista todas as dificuldades apresentadas na jornada do paciente com mieloma múltiplo e todas as informações discutidas em reunião técnica e audiência pública, reforçamos a necessidade de reconsideração do parecer inicial para incorporar ao rol da ANS **a combinação Pomalidomida associada a daratumumabe e dexametasona ao rol da ANS.**

Atenciosamente,



Catherine Moura

CEO - Associação Brasileira Linfoma e Leucemia – Abrale



Luana Ferreira Lima

Coordenadora de Políticas Públicas e Advocacy - Abrale