

RELATÓRIO DE AVALIAÇÃO PRÉVIA DO MEDICAMENTO PARA USO HUMANO EM MEIO HOSPITALAR

DCI – Factor XIII da coagulação humana

N.º Registo	Nome Comercial	Apresentação/Forma Farmacêutica/Dosagem	PVH	PVH com IVA	Titular de AIM
5650759	Cluvot	1 frasco para injetáveis / Pó e solvente para solução injetável ou para perfusão / 1250 U.I./20 ml	*	*	CSL Behring GmbH

* Os preços foram comunicados aos Hospitais do Serviço Nacional de Saúde

Data de autorização de utilização: 02/12/2016

Duração da autorização de utilização – 2 anos

Estatuto quanto à dispensa – Medicamento Sujeito a Receita Médica Restrita, alínea a) do Artigo 118º do Decreto-Lei n.º 176/2006, de 30 de agosto

Medicamento órfão: Sim Não

Classificação Farmacoterapêutica: 4.4.2 Hemostáticos

Código ATC: B02BD07

Indicações Terapêuticas constantes do RCM:

Cluvot está indicado para doentes adultos e pediátricos

- no tratamento profilático da deficiência congénita de FXIII e
- no controlo peri-operatório da hemorragia cirúrgica na deficiência congénita de FXIII

Indicações terapêuticas para as quais foi solicitada avaliação – Todas as indicações constantes do RCM

Indicações terapêuticas para as quais esta avaliação é válida – Todas as indicações constantes do RCM

Nota: Algumas informações respeitantes ao medicamento podem ser revistas periodicamente. Para informação atualizada, consultar o Infomed.

1. CONCLUSÕES DA AVALIAÇÃO

O medicamento Cluvot apresenta, relativamente ao comparador, com valor terapêutico acrescido no tratamento profilático prolongado da hemorragia em doentes adultos e pediátricos com deficiência congénita em fator XIII, e na profilaxia antes da cirurgia.

O tratamento com o medicamento Cluvot apresenta custos inferiores ao do comparador selecionado e, portanto, vantagem económica versus essa alternativa.

2. AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA

Propriedades farmacológicas	A deficiência congénita de Factor XIII (FXIII) é uma doença da coagulação
------------------------------------	---

	<p>potencialmente fatal, principalmente pelos eventos hemorrágicos, designadamente hemorragias intracranianas. Assim, a terapia de substituição é obrigatória em doentes com uma deficiência de FXIII clinicamente relevante. A deficiência congénita do FXIII é habitualmente causada por mutações no gene F13A1 que codifica a subunidade catalítica A, tendo sido também encontradas mutações no gene F13B que codifica a subunidade B. A transmissão é autossómica recessiva. O fenótipo é menos grave quando o gene F13B sofreu mutação.</p> <p>No plasma, o FXIII circula como um heterotetrâmero composto por 2 subunidades A do FXIII e 2 subunidades B do FXIII ligadas por fortes interações não covalentes. A subunidade B do FXIII atua como uma molécula de transporte para a subunidade A do FXIII na circulação e está presente em excesso no plasma. Quando a subunidade A do FXIII está ligada à subunidade B do FXIII, a T/2 da subunidade A do FXIII é prolongada. O FXIII é uma pró-enzima (pro-transglutaminase) que é ativada pela trombina na presença de Ca²⁺. A transglutaminase ativa provoca a interligação da fibrina e outras proteínas, resultando num aumento da força mecânica e resistência à fibrinólise do coágulo de fibrina e promove a adesão de plaquetas e do coágulo ao tecido lesionado.</p> <p>Para informação adicional sobre o perfil farmacológico e farmacocinético, consultar o RCM disponível no Infomed.</p>
Comparador selecionado	Foi selecionado como comparador a utilização de Plasma fresco congelado (15ml/Kg cada 4-6 semanas).
Valor terapêutico acrescentado	É um medicamento com valor terapêutico acrescido no tratamento profilático prolongado da hemorragia em doentes adultos e pediátricos com deficiência congénita em fator XIII, e na profilaxia antes da cirurgia.

3. AVALIAÇÃO ECONÓMICA

Termos de comparação	Posologia Média Diária (PMD)
Tipo de análise	Análise de minimização de custos.
Vantagem económica	Procedeu-se a uma análise comparativa de preços entre o medicamento em avaliação e a alternativa de tratamento considerada. Da análise efetuada, conclui-se que o custo da terapêutica com o medicamento Cluvot é inferior ao custo da terapêutica alternativa.

4. CONDIÇÕES CONTRATUAIS

O acesso do medicamento ao mercado hospitalar foi objeto de um contrato entre o INFARMED I.P. e o representante do titular de AIM, ao abrigo do disposto do artigo 6.º do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho.

5. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Resumo das características do medicamento Cluvot
 2. Ashley et al., Efficacy and safety of prophylactic treatment with plasma-derived factor XIII concentrate (human) in patients with congenital factor XIII deficiency. *Haemophilia* 2015; 21: 102–8.
 3. Dreyfus et al., Successful long-term replacement therapy with FXIII concentrate (Fibrogammin_ P) for severe congenital factor XIII deficiency: a prospective multicentre study. *J Thromb Haemost* 2011; 9: 1264–6.
 4. Inbal et al., Recombinant factor XIII: a safe and novel treatment for congenital factor XIII deficiency. *Blood* 2012; 119 (22): 5111–7.
 5. Ivaskevicius et al., International Registry on Factor XIII Deficiency: A basis formed mostly on European data. *Thrombosis and Haemostasis* 2007; 97 (6): 914–21.
 6. Nugent D. Corifact™/Fibrogammin® P in the prophylactic treatment of hereditary factor XIII deficiency: results of a prospective, multicenter, open-label study. *Thrombosis Research* 2012; 130: S12–4.
-