

RELATÓRIO DE AVALIAÇÃO DO PEDIDO DE COMPARTICIPAÇÃO DE MEDICAMENTO PARA USO HUMANO

DCI – Deferasirox

N.º Registo	Nome Comercial	Apresentação/Forma Farmacêutica/Dosagem	Titular de AIM	PVP
5926787	Exjade	28 unidades/comprimido dispersível/125 mg	Novartis Europharm, Ltd.	€ 174,05
5926985	Exjade	28 unidades/comprimido dispersível/250 mg	Novartis Europharm, Ltd.	€ 333,88
5927181	Exjade	28 unidades/comprimido dispersível/500 mg	Novartis Europharm, Ltd.	€ 648,78

Escalão de comparticipação: Regime Geral –C (37 %)

Data de decisão da Comparticipação: 25-02-2013

Estatuto quanto à dispensa: Medicamento Sujeito a Receita Médica Restrita, alínea c) do art.º 118.º do Decreto-Lei n.º 179/2006

Medicamento Genérico: Sim Não

Indicações Terapêuticas à data da avaliação: Tratamento da sobrecarga crónica de ferro devido a transfusões de sangue frequentes (≥ 7 ml/kg/mês de concentrado de eritrócitos) nos doentes com beta talassémia major com 6 anos de idade ou mais. Exjade está também indicado para o tratamento da sobrecarga crónica de ferro devido a transfusões de sangue quando o tratamento com desferoxamina está contra-indicado ou inadequado nos seguintes grupos de doentes: doentes com outras anemias; doentes com 2 a 5 anos de idade, doentes com beta talassémia major com sobrecarga de ferro devido a transfusões de sangue pouco frequentes (< 7 ml/kg/mês de concentrado de eritrócitos).

Indicações terapêuticas para as quais esta avaliação é válida: Tratamento da sobrecarga crónica de ferro devido a transfusões de sangue frequentes (≥ 7 ml/kg/mês de concentrado de eritrócitos) nos doentes com beta talassémia major com 6 anos de idade ou mais.

Classificação Farmacoterapêutica: 17. Medicamentos usados no tratamento de intoxicações

Código ATC: V03AC03 DEFERASIROX

Nota: Os preços aprovados no âmbito da comparticipação e outras informações podem ser revistos periodicamente. Para informação actualizada, consultar o [Infomed](http://infarmed.pt).

1. CONCLUSÕES DA AVALIAÇÃO

O medicamento Exjade provou ser uma estratégia dominante (mais eficaz e associada a um custo de tratamento inferior) face à alternativa terapêutica desferroxamina, no tratamento do excesso crónico de ferro em doentes betatalassémicos.

2. AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA

Propriedades farmacológicas	<p>O deferasirox é um quelante oralmente ativo que é altamente seletivo para o ferro (III). É um ligando tridentado que se liga ao ferro com uma elevada afinidade numa razão de 2:1. O deferasirox promove a excreção do ferro, primariamente nas fezes. O deferasirox tem uma baixa afinidade para o zinco e o cobre e não provoca concentrações séricas baixas constantes destes metais.</p> <p>Para informação adicional sobre o perfil farmacológico e farmacocinético, consultar o RCM disponível no Infomed.</p>
Adequação das apresentações à posologia	<p>Adequado.</p> <p>Cumprido o estipulado na Portaria n.º 1471/2004, de 21 de dezembro.</p>
Enquadramento legal	<p>Alínea d) do n.º 2 do artigo 4.º do Anexo I do Decreto-Lei n.º 48-A/2010, de 13 de Maio.</p>
Comparador selecionado	<p>Desferroxamina (pó para solução injetável, 500 mg, 5 frascos para injetáveis)</p> <p>A substância ativa contra a qual foi comparada tem indicações sobreponíveis.</p>
Valor terapêutico acrescentado	<p>Trata-se de um novo medicamento que não constitui inovação terapêutica significativa nem possui composição qualitativa idêntica à de outros já comparticipados, na indicação betatalassémia major, mas apresenta vantagem terapêutica relativamente a medicamentos já comparticipados e utilizados nas mesmas finalidades terapêuticas.</p>

3. AVALIAÇÃO ECONÓMICA

Termos de comparação	<p>Indicação tratamento do excesso crónico de ferro em doentes betatalassémicos: 24,6 mg/Kg/dia de deferasirox <i>versus</i> 47,4 mg/Kg/dia de desferrioxamina.</p>
Tipo de análise	<p>Análise de custo-efetividade.</p>
Vantagem económica	<p>No cenário-base da análise de custo-efetividade, a avaliação efetuada concluiu que a utilização de deferasirox é uma estratégia de tratamento dominante face à utilização de desferrioxamina, na indicação tratamento do excesso crónico de ferro em doentes betatalassémicos.</p> <p>Estas conclusões apenas são válidas para a indicação betatalassémia major, uma vez que o medicamento deferasirox não demonstrou ser uma estratégia terapêutica custo-efetiva face ao não tratamento, quer no tratamento de doentes portadores de outras anemias, quer no tratamento de doentes com sobrecarga crónica de ferro</p>

devido a transfusões de sangue pouco frequentes.

4. OBSERVAÇÕES

O conteúdo deste relatório reflete a avaliação efetuada em 2010.

5. CONDIÇÕES CONTRATUAIS

A comparticipação deste medicamento foi condicionada através da celebração de um acordo entre o INFARMED, I.P. e o titular da autorização de introdução no mercado, ao abrigo do disposto no art.º 6.º do regime geral das comparticipações do Estado no preço dos medicamentos, aprovado em anexo ao Decreto-Lei n.º 48-A/2010, de 13 de Maio, na sua redacção actual.

A comparticipação de Exjade fica limitada à indicação terapêutica 'tratamento da sobrecarga crónica de ferro devido a transfusões de sangue frequentes (≥ 7 mL/Kg/mês de concentrado de eritrócitos) nos doentes com β -talassémia major com 6 anos de idade ou mais', tendo sido estabelecido um limite de encargos a suportar pelo Serviço Nacional de Saúde, com base no número de doentes elegíveis para tratamento na indicação betatalassémia major, nos dois primeiros anos de comercialização comparticipada.

6. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Resumo das Características do medicamento Exjade e do Desferal;
2. European public assessment report do medicamento Exjade e do Desferal;
3. Estudo de avaliação económica e respetivas referências bibliográficas submetidos pela empresa titular de AIM.