



## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 1946/2024

Rio de Janeiro, 28 de maio de 2024.

Processo nº 0932617-77.2023.8.19.0001,  
ajuizado por

Resgata-se o **Parecer Técnico nº 1613/2023** (Num. 96522058), emitido em 29 de dezembro de 2023, no qual este Núcleo prestou os esclarecimentos acerca da indicação e do fornecimento pelo SUS do medicamento pleiteado **romiplostim 250mcg/0,5mL** (Nplate®).

Além disso, foi informado que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da **púrpura trombocitopênica idiopática**<sup>1</sup>, publicado pelo Ministério da Saúde em 2019, recomenda que o tratamento de pacientes adultos com **PTI refratária** ao tratamento com eltrombopague, caso do Autor, seja realizado com os medicamentos danazol e vincristina. Contudo, apenas o último é disponibilizado por via administrativa.

Em seguida, em documento do Instituto Estadual de Hematologia – Hemorio (Num. 99288519), emitido em 31 de janeiro de 2024, a médica  informou adicionalmente que o Autor já foi submetido a remoção do baço (esplenectomia) e fez uso de corticosteroide, imunoglobulina, rituximabe e eltrombopague, mas em exame realizado em 25/01/2024, mostrou número de plaquetas de 18 mil, o que demonstra risco de hemorragia espontânea de tubo digestivo e sistema nervoso central, fora as restrições da vida diária uma vez que tem que ficar em casa de repouso pelo risco de se acidentiar. Foi relatado ainda que não fez uso de danazol e vincristina tendo em vista não haver evidência científica de serem eficazes no tratamento da púrpura trombocitopenica imunológica ou idiopática (PTI), além da possibilidade de causar efeito colateral, especialmente a vincristina, um quimioterápico que causa supressão da medula óssea.

A **púrpura trombocitopênica idiopática (PTI)** é uma doença geralmente benigna e de causa desconhecida, que se caracteriza por trombocitopenia (baixa contagem de plaquetas). Embora a maioria dos pacientes geralmente possa ser tratada com tratamento convencional, existem pequenos grupos de pacientes que são muito difíceis de tratar e não respondem a nenhum tratamento (ou seja, têm **doença refratária**)<sup>2</sup>.

Segundo MILTIADOUS et al. (2020), em 50% dos casos, quando aparenta ser PTI refratária, ainda pode ser outro diagnóstico, a depender da experiência do hematologista e da extensão de investigação. No entanto, sendo PTI e vários agentes únicos não conseguem

<sup>1</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta nº 9, de 31 de julho de 2019. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Púrpura Trombocitopênica Idiopática. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt\\_purpuratrombocitopenicaidiopatica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt_purpuratrombocitopenicaidiopatica.pdf) >. Acesso em: 28 mai. 2024.

<sup>2</sup> Miltiadous O, Hou M, Bussel JB. Identifying and treating refractory ITP: difficulty in diagnosis and role of combination treatment. *Blood*. 2020;135(7):472-490. Disponível em: < <https://ashpublications.org/blood/article/135/7/472/428874/Identifying-and-treating-refractory-ITP-difficulty> >. Acesso em: 28 mai. 2024.



umentar de forma estável a contagem de plaquetas, os **tratamentos combinados** são o próximo passo. Esses tratamentos foram explorados no PTI, mas não foram bem revistos<sup>2</sup>.

Com relação às evidências relacionadas ao uso de vincristina (sugerida no PCDT do SUS para o tratamento da PTI refratária) informa-se num relatório inicial de 21 pacientes, dois terços atingiram uma contagem de plaquetas  $\geq 50 \times 10^9/L$ . No entanto, estudos posteriores descobriram que a maioria das respostas foram transitórias. Num ensaio prospectivo, 35% dos pacientes tratados com vincristina atingiram uma contagem de plaquetas  $>100 \times 10^9/L$ , mas foi observado um declínio de 40% na contagem de plaquetas logo 8 semanas após a conclusão de 3 infusões.<sup>3</sup> E essas drogas são acompanhadas por significativa toxicidade e quase todos os pacientes apresentam efeitos colaterais, sendo os mais comuns: neuropatia pela vincristina (27,8%), supressão da medula óssea associada à vinblastina, constipação (3,5%), hiponatremia e vesicção no local da infusão (10,5%)<sup>4</sup>.

Destaca-se que tanto o eltrombopague (fornecido pelo SUS) quanto o pleito **romiplostim 250mcg/0,5mL** (Nplate<sup>®</sup>) são medicamentos agonistas do receptor de trombopoetina e, apesar da ausência de ensaios clínicos randomizados que comparem diretamente tais medicamentos, existem estudos que realizaram uma comparação indireta a fim de avaliar a sua eficácia e segurança no tratamento da PTI. E os autores desses estudos concluíram que eltrombopague e **romiplostim podem ser equivalentes em eficácia e segurança para PTI em adultos e crianças**<sup>5,6</sup>.

Após feitos os esclarecimentos, este Núcleo conclui da seguinte maneira:

- O medicamento **romiplostim 250mcg/0,5mL** (Nplate<sup>®</sup>) **possui indicação** no tratamento da PTI refratária, contudo **não é fornecido** por nenhuma das esferas de gestão do SUS.
- O tratamento preconizado pelas diretrizes do SUS para o manejo da PTI em pacientes refratários ao uso de eltrombopague (caso do Autor) baseia-se no uso dos medicamentos danazol (não fornecido administrativamente) e vincristina; entretanto, a vincristina apresenta toxicidade significativa e os estudos demonstram que a maioria dos pacientes apresentaram resposta transitória com o seu uso.
- Destaca-se que há apenas estudos de comparação indireta dos medicamentos eltrombopague (fornecido pelo SUS e usado pelo Autor) e o pleito **romiplostim** sugerindo **equivalência de eficácia e segurança** desses medicamentos no tratamento da PTI.

<sup>3</sup> Adam Cuker, Cindy E. Neunert; How I treat refractory immune thrombocytopenia. *Blood* 2016; 128 (12): 1547–1554. Disponível em: < <https://ashpublications.org/blood/article/128/12/1547/73115/How-I-treat-refractory-immune-thrombocytopenia> >. Acesso em: 28 mai. 2024.

<sup>4</sup> Cindy Neunert, Deirdra R. Terrell, Donald M. Arnold, George Buchanan, Douglas B. Cines, Nichola Cooper, Adam Cuker, Jenny M. Despotovic, James N. George, Rachael F. Grace, Thomas Kühne, David J. Kuter, Wendy Lim, Keith R. McCrae, Barbara Pruitt, Hayley Shimanek, Sara K. Vesely; American Society of Hematology 2019 guidelines for immune thrombocytopenia. *Blood Adv* 2019; 3 (23): 3829–3866.

<sup>5</sup> Zhang J, Liang Y, Ai Y, Li X, Xie J, Li Y, Zheng W, He R. Eltrombopag versus romiplostim in treatment of adult patients with immune thrombocytopenia: A systematic review incorporating an indirect-comparison meta-analysis. *PLoS One*. 2018 Jun 1;13(6):e0198504.

<sup>6</sup> Zhang, J., Liang, Y., Ai, Y. *et al.* Eltrombopag versus romiplostim in treatment of children with persistent or chronic immune thrombocytopenia: a systematic review incorporating an indirect-comparison meta-analysis. *Sci Rep* 8, 576 (2018).

Secretaria de  
Saúde



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- Caso o medicamento seja fornecido ao Autor, está recomendado descontinuí-lo se a contagem de plaquetas não aumentar a um nível suficiente para evitar hemorragia clinicamente significativa, após 4 semanas com a dose máxima semanal de 10 mcg/kg<sup>7</sup>.

**É o parecer.**

**Ao 2º Juizado Especial Fazendário da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO**

Farmacêutico  
CRF-RJ 15023  
ID.5003221-6

**JACQUELINE ZAMBONI MEDEIROS**

Farmacêutica  
CRF- RJ 6485  
Mat. 50133977

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

---

<sup>7</sup> ANVISA. Bula do medicamento romiplostim 250mcg/0,5mL (Nplate<sup>®</sup>) por Amgen Biotecnologia do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=102440003>>. Acesso em: 28 mai. 2024.