



Data: 28/06/2014

NOTA TÉCNICA 119/2014

Solicitante: Dra Cláudia Luciene Silva Oliveira

Número do processo: 0079.14.038866-5

Medicamento	x
Material	
Procedimento	
Cobertura	

MEDICAMENTOS DEFLAZACORT®

SUMÁRIO

Resumo executivo 2

Análise da solicitação 4

Descrição da tecnologia 4

Preço do medicamento 4

Resultados da Revisão da literatura..... 4

Conclusões: 6

Resumo executivo

Pergunta encaminhada

Prezado(a) Sr(a),

por ordem da Exma. Juíza de Direito, Dra. Cláudia Luciene Silva Oliveira, e nos termos do convênio assinado entre o TJMG, o Ibedess e a HC Coop, solicito com urgência a elaboração de documentos técnicos sobre o caso narrado nos autos nº 0079.14.038866-5, cuja cópia digitalizada segue anexa.

Att. Vinícius Ventura

Of. de Apoio Judicial

1ª V. Empresarial de Contagem

Relatório médico atualizado enviado



Hospital das Clínicas da UFMG

Receituário

NOME:			
IDADE:	SEXO	<input checked="" type="checkbox"/> M <input type="checkbox"/> F	DATA: 17/03/14
CLÍNICA	Neurologia infantil - Neuromuscular.		
= Relatório Médico =			
Trata-se de criança de sexo masculino, 77 anos e 5 meses, portador de síndrome muscular tipo Duchenne, diagnosticado aos 7 anos de idade através de biópsia muscular que revelou padrão distrofico, com ausência de mancha para proteína distrofina.			
Atualmente o tratamento preconizado para distrofia de Duchenne consiste no uso de corticosteróides de forma contínua ou intermitente.			
O paciente fez uso de esquema intermitente com prednisona, porém evoluiu com ganho excessivo de peso prejudicando a sua deambulação; foi necessário suspender o prednisona e iniciar deflazacort, que é um			

corticosteroide com menos efeitos colaterais.

Houve boa resposta com redução do peso para valores normais para faixa etária e melhora da marcha.

No entanto, tal medicação é de alto custo e a família não tem condições de arcar com este tratamento.

Resalta a importância de uso desta medicação e sua interrupção poderá trazer danos significativos para função motora do paciente, (aceleração da perda de marcha).



Conclusão:

- ✓ A distrofia Muscular tipo Duchenne (DMD) é uma doença genética, relacionada ao cromossoma X, progressiva e que não tem cura.
- ✓ O tratamento procura postergar o estabelecimento da incapacidade de deambular e de outros problemas advindos da fragilidade muscular.
- ✓ A maior parte dos estudos para tratamento da DMD foi realizada com prednisona.
- ✓ O tratamento com deflazacorte ou prednisona foi estudado há mais de uma década. Os ensaios clínicos mostram que, do ponto de vista de eficácia, os dois medicamentos se equivalem.
- ✓ Somente um estudo comparativo, realizado em 2000, com amostra pequena e seguimento curto, mostrou que pacientes que usaram o deflazacorte tiveram menor ganho de peso em relação aos que usaram a prednisona.
- ✓ Por não estar estabelecido qual corticoide apresenta os melhores resultados no tratamento da DMD, há um estudo em andamento, patrocinado pelo Instituto de Saúde Americano, para definir essa questão.

- ✓ O SUS (Postos de Saúde) disponibiliza a prednisona, que é o tratamento mais estudado em todo o mundo.
- ✓ **Diante das incertezas apresentadas na literatura, não recomendamos o medicamento solicitado.**

Análise da solicitação

A distrofia muscular tipo Duchenne (DMD) é uma distrofia muscular progressiva, ligada ao cromossoma X, causada por perda de proteína na membrana da célula muscular.

Descrição da tecnologia

Deflazacorte é um glicocorticoide, da mesma classe terapêutica da prednisona, porém menos potente que esta.

Existem oito marcas comerciais com apresentação de comprimidos 30 mg, caixa com 10 comprimidos: Denacen® (Marjan); Deflazacorte® (EMS), Calcort® (Sanofi-Aventis), Deflazacort® (Nova Química); Deflazacorte® (Germed); Deflanil® (LIBBS); Flazal® (Neoquímica); Deflazacort® (Legrand Pharma).

Preço do medicamento

Os preços de deflazacorte para caixa com 10 comp de 30 mg variam entre R\$69,23 e R\$131,72.^a

Resultados da Revisão da literatura

O tratamento farmacológico da DMD com glicocorticoides pode melhorar a força muscular e prolongar a deambulação, com melhora concomitante de qualidade de vida.

^a Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos – ANVISA. Disponível em http://portal.anvisa.gov.br/wps/wcm/connect/50652d004414f77aa679eeb19414950f/LISTA+CONFORMID_ADE_2014-05-20.pdf?MOD=AJPERES; atualizado em 20/05/2014

A maior parte dos estudos sobre DMD foi feita utilizando prednisona, que é um glicocorticoide. Qualquer esforço para reduzir os efeitos colaterais dos glicocorticoides, como ganho de peso, baixa estatura e diminuição da fraqueza muscular são desejáveis.

Um glicocorticoide menos potente, o deflazacorte, foi avaliado em um ensaio clínico^c que mostrou tratar-se de droga com eficácia semelhante à prednisona (embora necessite de dose muito mais alta), com melhora do perfil de efeitos adversos.

O estudo comparativo avaliou o uso de prednisona ou deflazacorte em meninos com distrofia muscular tipo Duchenne^b. A idade variou entre 5,2 e 14,6 anos (média de 7,3 anos). Ambos os esteroides (prednisona ou deflazacorte) apresentaram eficácia semelhante após um ano de observação, mas a prednisona levou a aumento significativamente maior de peso. Outros efeitos adversos foram semelhantes para ambas as drogas. A conclusão dos autores foi que o ganho de peso foi menor com o uso de deflazacorte e que a eficácia e outros efeitos adversos foram semelhantes nos dois grupos.

Uma coorte de 113^c meninos portadores de Distrofia Muscular tipo Duchenne avaliou a evolução dos pacientes durante dois anos. Os pacientes foram submetidos a tratamento tanto com deflazacorte como prednisona. Não houve diferença na evolução relacionada ao tipo de corticoide utilizado. O fator prognóstico de maior impacto foi a idade dos pacientes. Aqueles com idade igual ou superior a sete anos tiveram evolução pior, independente do tipo de tratamento administrado.

Na falta de um consenso sobre o que é o melhor tratamento e o melhor esquema terapêutico para DMD, um estudo envolvendo 300 meninos com DMD está em andamento^d, financiado pelo *National Institute of Neurological Disorders and Stroke do National Institute for Child Health and Human*

^b Bonifati MD, Ruzza G, Bonometto P ET al. A multicenter, double-blind, randomized trial of deflazacort versus prednisone in Duchenne muscular dystrophy. *Muscle Nerve*. 2000;23(9):1344-7.

^c Mazzone ES, Pane M, Sormani MP, Scalise R, Berardinelli A, et al. (2013) 24 Month Longitudinal Data in Ambulant Boys with Duchenne Muscular Dystrophy. *PLoS ONE* 8(1): e52512. doi:10.1371/journal.pone.0052512

^d Hoffman EP, Reeves E, Damsker J ET al. Novel Approaches to Corticosteroid Treatment in Duchenne Muscular Dystrophy. *Phys Med Rehabil Clin N Am*. 2012 ; 23(4): 821–828

Development dos Estados Unidos. Esse estudo pretende avaliar qual o melhor glicocorticoide a ser utilizado na DMD e qual o esquema terapêutico que permite o maior ganho de eficácia com mínimos efeitos colaterais.

Conclusões:

- ✓ A distrofia Muscular tipo Duchenne (DMD) é uma doença genética, relacionada ao cromossoma X, progressiva e que não tem cura.
- ✓ O tratamento procura postergar o estabelecimento da incapacidade de deambular e de outros problemas advindos da fragilidade muscular.
- ✓ A maior parte dos estudos para tratamento da DMD foi realizada com prednisona.
- ✓ O tratamento com deflazacorte ou prednisona foi estudado há mais de uma década. Os ensaios clínicos mostram que, do ponto de vista de eficácia, os dois medicamentos se equivalem.
- ✓ Um único estudo comparativo mostrou que pacientes que usaram o deflazacorte tiveram menor ganho de peso comparados com aqueles que usaram a prednisona (mas também apresentaram ganho de peso com o deflazacorte).
- ✓ Há um estudo em andamento, patrocinado pelo Instituto de Saúde Americano que visa responder qual a melhor droga a ser usada para se obter os melhores resultados na DMD.
- ✓ O SUS (Postos de Saúde) disponibiliza a prednisona.

OBS: Somente a título de esclarecimento sobre uma afirmativa que consta no processo de que o SUS não atualiza sua lista de medicamentos há mais de uma década, a lista de RENAME tem atualização anual, sendo a última atualização foi em 08/08/2013.