

## INFORME TÉCNICO DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS

# **Ravulizumab en síndrome urémico hemolítico atípico**

### **Autores:**

Equipo de Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitarias

Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria

Ministerio de Salud Pública de la Provincia de Santa Fe

### **Equipo de Asesoría Técnica:**

Carlos González Malla – Lucas González – Santiago Torales

### **Director:**

José Arturo Berardo

El presente informe es producto del trabajo interministerial de la Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria, dependiente de la Subsecretaría de Medicamentos y Tecnología Médica del Ministerio de Salud Pública y la Secretaría de Economía de la Salud dependiente del Ministerio de Economía de la Provincia de Santa Fe. Este informe surge de la Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitarias. La misma tiene como objeto generar informes que relevan las evidencias a nivel nacional, regional e internacional respecto a la incorporación, forma de uso, modalidades de financiamiento y políticas de cobertura de las tecnologías sanitarias, para servir de insumos en la toma de decisión de los actores sanitarios en el ámbito de la provincia de Santa Fe. Para su elaboración se consideran criterios de eficacia, seguridad, eficiencia y equidad, evaluados bajo dimensiones éticas, médicas, económicas y sociales.

**Conflictos de interés: No se presentaron.**

Fecha de realización: Septiembre 2025

Fecha de publicación: Octubre 2025

Contacto: [calidadyevaluacionsanitaria@santafe.gov.ar](mailto:calidadyevaluacionsanitaria@santafe.gov.ar)

## RESUMEN EJECUTIVO

El síndrome urémico hemolítico atípico (SHUa) es una enfermedad ultra rara y potencialmente mortal causada por una desregulación del sistema del complemento, que desencadena una microangiopatía trombótica y daño renal agudo. Antes del advenimiento de los inhibidores de C5, el tratamiento se basaba en plasmaféresis y soporte renal, con resultados limitados y elevada mortalidad.

Ravulizumab es un anticuerpo monoclonal de acción prolongada que inhibe el componente C5 del complemento. Comparte el mismo mecanismo de acción que eculizumab, pero con una vida media cuatro veces mayor, lo que permite su administración cada ocho semanas. Esta característica reduce de manera significativa la carga asistencial y mejora la adherencia terapéutica.

La eficacia y seguridad de ravulizumab fueron evaluadas en dos ensayos clínicos pivotaes de fase 3: ALXN1210-aHUS-311, en adultos, y ALXN1210-aHUS-312, en población pediátrica. Ambos estudios, abiertos y multicéntricos, mostraron una respuesta hematológica completa en el 76 al 79% de los pacientes, junto con una mejoría sostenida en la función renal y una baja necesidad de diálisis. Los resultados de una revisión Cochrane (Pugh 2021) y de comparaciones indirectas (McGonigle 2023) no demostraron diferencias significativas entre ravulizumab y eculizumab en términos de eficacia o seguridad. Las infecciones meningocócicas constituyen el principal riesgo, por lo que se recomienda vacunación y profilaxis antibiótica.

Las principales agencias de evaluación de tecnologías sanitarias coincidieron en que ravulizumab ofrece una eficacia equivalente a eculizumab, pero con ventajas operativas y en calidad de vida. El NICE (2021) lo consideró una alternativa costo-efectiva, mientras que CADTH de Canadá (2023), SMC de Escocia (2021), AEMPS de España (2022) emitieron recomendaciones favorables o condicionales, respaldando su uso con criterios de elegibilidad específicos y supeditado a esquemas de descuento de precios.

El desafío principal es el costo absoluto de ravulizumab. Se trata de una de las terapias más onerosas existentes, desde la perspectiva del financiador público de Santa Fe, cubrir a todos los pacientes con SHUa con ravulizumab implicaría destinar más de 4 millones de dólares anuales. La evaluación económica sugiere que ravulizumab no es costo-efectivo vs. cuidado tradicional a precios actuales, pero sí mejora la eficiencia del gasto si se lo compara contra eculizumab, dado que ofrece el mismo beneficio a menor costo.