

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Iptacopana hemoglobínúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina - Conitec

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho HPN e ainda preciso de transfusões constantemente, além do estado só liberar a medicação 2 vezes no mês, atrapalhando meu tratamento muitas vezes. Precisamos dessa medicação para melhorar nossa qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Temos pacientes refratários ao uso da medicação disponível pelo sus e não temos outra opção. O estado do MT possui referência apenas na capital para tratamento de HPN, portanto uma droga via oral reduziria riscos inerentes ao transporte de longa distância bem como aderência do paciente ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Com, Medicamento Via oral reduziremos custo com material de infusão, médico na unidade treinado para intercorrência, equipe de enfermagem capacitada, custos com transporte, acomodação e alimentação do paciente que precisa se deslocar até o centro de referência
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma paciente com HPN e a vida é muito difícil, muito cansaço. Precisamos de novas opções de tratamento que melhorem esse cansaço frequente e façam os paciente voltarem a ter uma vida digna!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a incorporação dessa medicação será de grande valia para os paciente com HPN pois a mesma inibe as suas vias do complemento, gerando bom controle da anemia e da hemólise tanto intra quanto extravascular. Além disso, por ser uma medicação oral, provavelmente haverá redução de custo para a União. A outra medicação disponível pelo SUS é feita de forma injetável, a cada 15 dias, com necessidade de profissionais preparados para a infusão além dos custos com insumos para a aplicação.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Atualmente já fiz uso do eculizumabe o qual conta com infusões quinzenais e bom preparo da equipe que faz a infusão da medicação. Porém, como a mesma faz inibição de apenas uma via do complemento, já maior possibilidade de “escape” da doença e necessidade ou de transfusões ou de associar outra medicação para melhor controle da patologia, Positivo: Bom controle da doença no começo do seu uso., Negativo: Escape imunológico da via do complemento, com necessidade de associação medicamentosa ou troca para ravalizumabe.	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sabemos que HPN sendo uma doença ultra rara e que impacta significativamente o sistema de saúde com custo altamente elevado e vindo uma droga oral com custo menor e que atende uma necessidade não atendida com os medicamentos atuais não vejo dúvida na economia em valores e benefícios gigantes para o paciente de HPN, poucas idas ao centro sem acesso intravenoso e com a exonquia em valores podendo ajudar outros pacientes com outras comorbidades	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Opção extremamente segura e eficaz para ser utilizada em caso de HPN com falha de tratamento, podendo substituir a medicação atualmente padronizada (Eculizumab e Ravalizumab) com a vantagem de ser oral e com menor custo, além de poder ser utilizado também em primeira linha	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab e Ravalizumab, Positivo: Efetividade e segurança, quando seguido as recomendações do fabricante, Negativo: medicações injetáveis, de elevado custo, Peridiodicidade das aplicações é desconfortável e acaba eventualmente por prejudicar a qualidade de vida dos pacientes, São inibidores de C5 apenas, podendo resultar do tratamento anemia por hemólise extravascular, que é tratada com inibidor de complemento proximal como a medicação em avaliação	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Essencial para o adequado manejo da HPN	2ª - em muito beneficiará os usuários do SUS"	3ª - '-	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda melhora no sistema de saúde com gratuidade para a população é bem vinda	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quanto mais pudermos ajudar as pessoas com esses tratamentos tão caros e de difícil acesso melhor para todos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A implementação irá ajudar muito aos pacientes que sofrem com essa patologia.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes com HPN precisam de mais opções de tratamento e por isso concordo com a inclusão	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada no SUS	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada pois é uma nova tecnologia que pode beneficiar muito bem os pacientes que convivem com essa situação de saúde	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Melhora em curto prazo de exames, fim da fadiga, possibilidade de tratamento em casa sem a necessidade de alteração no planejamento de vida por conta do tratamento com outras medicações., Negativo e dificuldades: Na minha experiência não tive nenhum aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Não deixava meus exames caírem mais, e me trazia melhora pequena a curto prazo, Negativo: Necessidade de me locomover para outra cidade para realizar as infusões, não trouxe meus exames para taxas normais, não trouxe fim a fadiga, me trazia muitas câimbras	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vivenciei diversas dificuldades apresentadas pelos pacientes e reportadas a mim por seus respectivos médicos, tais como: pacientes com aplasia grave e clone HPN com alta atividade da doença, que muitas vezes ainda que plaquetopênicos, tinham que viajar longas distâncias para fazer a infusão da medicação, pacientes que amplificaram complemento em momentos de ruptura na cadeia de fornecimento da medicação (ficavam reféns por terem apenas 1 única opção de tratamento disponível), pacientes que recebiam eculizumabe e ainda assim apresentavam alta atividade da doença e risco iminente de trombose (LDH acima de 1,5 X LNS), ainda que em vigência de um tratamento oneroso para o sistema e muitas vezes, também para o paciente e seus familiares (toxicidade financeira em decorrência do fardo da doença). Muitos destes pacientes eram vistos como preguiçosos em seus trabalhos e desinteressados em atividades com familiares/amigos, devido ao fato da fadiga ser ainda persistente e muitas vezes associada a hemoglobina abaixo da normalidade, mesmo em tratamento com iC5. Entendo que para os pacientes que estejam dentro de uma de resposta adequada a medicação, o tratamento atual deve prevalecer. Mas para os pacientes que ainda estão em risco e com qualidade de vida comprometida, para que tenhamos equidade em nosso sistema, o tratamento deve ser individualizado de acordo com a necessidade de cada paciente. Saliento ainda o caso compartilhado por uma médica recentemente, onde o seu paciente possui HPN em atividade, e por trabalhar como caminhoneiro, não consegue aderir ao tratamento infusional. Trabalha viajando e fica por meses fora de casa, e está em risco de trombose iminente (uma medicação oral faria total sentido para este paciente. Cerca de 40% dos pacientes tratados com inibidores de C5 ainda permanecem dependentes de transfusões e 82% não atingem níveis normais de hemoglobina em uso de iC5, também reportado por Fishman J et al (2023) e Devureaux PE et al (2021).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importante ser incorporada pelo SUS, para ajudar pessoas que precisam	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha opinião é favorável pois é um medicamento inovador para os pacientes de HPN, atualmente não há medicamentos disponíveis no SUS que façam o bloqueio dessa via, fazendo então um melhor controle da hemólise. Além de ser um medicamento oral, sua administração é mais facilitada, não envolve nenhum custo médico comparado a ir para o hospital e ter gastos com materiais e também é muito mais cômodo para o paciente, afinal, diversos pacientes moram distantes dos centros de infusão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Ravulizumabe., Positivo: Como positivos a medicação se adaptou bem no meu corpo, atualmente faço uso do Ravulizumabe, o intervalo entre as aplicações é maravilhoso, faz bom controle da hemólise intravascular, mantém o LDH estável e não tenho demais sintomas relacionados., Negativo: O Eculizumabe tinha como negativo o curto intervalo de aplicação. As duas medicações possuem como aspecto negativo baixo controle da hemólise extravascular, ainda tenho esse tipo de hemólise.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 23/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse tratamento para Hemoglobinúria Paroxística Noturna é inovador sendo a primeira monoterapia oral para essa doença ultrarrara, é um inibidor que atua no fator B.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe (de 2008 a Out 2024) e atualmente Iptacopana (de Out 2024 até a data atual)., Positivo e facilidades: "O principal aspecto notável foi:, - a melhora da anemia, hemoglobina que não passava de 10 g/dL, agora encontra-se nos níveis normais, Negativo e dificuldades: , - a fadiga que sempre persistia ainda mesmo em tratamento com outro inibidor, agora praticamente não sinto a fadiga	3ª - , - hemólise não ocorre mais mesmo em tratamento com iptacopana, antes era notável através da urina persistentemente com coloração anormal., - atualmente consigo desenvolver minhas atividades rotineiras do dia a dia e trabalho normalmente, sem ser afetada pela névoa mental, fadiga, cansaço extremo sem explicação, ânimo de viver voltou, durmo melhor com sono mais tranquilo e reparador., "	4ª - , - a fadiga que sempre persistia ainda mesmo em tratamento com outro inibidor, agora praticamente não sinto a fadiga	5ª - Nenhum aspecto negativo até o momento.
Interessado no tema 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada no sus por ser uma doença rara e os medicamentos serem de alto custo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de novos medicamentos é importante para melhorar a qualidade de vida e saúde da nossa população	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Proporcionar o acesso aos pacientes	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Dados em estudos de fase 1 e 2 demonstraram manutenção satisfatória dos níveis de hemoglobinas de pacientes que foram incluídos., , Atualmente no Brasil temos o programa de acesso expandindo, que no caso do Rio de Janeiro, incluiu 2 pacientes. Estes pacientes estão apresentando uma melhora na qualidade de vida, principalmente no que diz respeito a diminuição e fadiga. Os mesmos estão em acompanhamento multiprofissional na unidade e seguem sem intercorrências graves., , Além disso, o formulário farmacêutica da Iptacopana (oral em forma de comprimidos) pode facilitar e muito a vida de pacientes de moram dos centros de referência que precisariam fazer uso das outras terapias já existentes para HPN cuja via de administração é IV.	2ª - Sim, Qual: Asciminibe , Positivo e facilidades: Melhora do quadro e remissão da doença dos usuários , Negativo e dificuldades: A quantidade de comprimidos ingeridos necessário para garantir a dose total.	3ª - Sim, Qual: Nilotinibe , Positivo: Remissão de doença , Negativo: Efeitos cardiovasculares	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar de poucas, há pessoas que dependem do medicamento e o dever do estado é promover o bem estar e a saúde a todos os seus cidadãos	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de extrema importância para a melhora da qualidade de vida das pessoas com hpn, pois o medicamento oral proporciona mais autonomia na vida cotidiana, evita exposição dos pacientes a infecções nos estabelecimentos de saúde para infusões, libera leitos destes locais e libera pessoal técnico para atendimentos.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Alternativa terapêutica inovadora capaz de resolver o tratamento da HPN em pacientes que continuam anêmico sob tratamento tradicional.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Aumento da sobrevida do paciente , Negativo: A infusão 2x no mês	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou hematologista e coordeno um ambulatório de infusão aonde temos três pacientes com diagnóstico de hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) em uso de eculizumabe na dose e posologia adequada e, mesmo assim, apresentam hemólise de escape, mostrando a necessidade que os pacientes do SUS têm de novas medicações / tecnologias para o tratamento da HPN.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: É um medicação disponível pelo SUS que melhora muito a qualidade de vida dos pacientes com HPN, reduzindo necessidade transfusional e aumentando os níveis de hemoglobina pela redução da hemólise através do bloqueio do complemento (C5)., Negativo: Necessidade de infusão endovenosa a cada 14 dias, falência de acesso periférico, desconforto para o paciente, necessidade de local e equipe adequados para oferecer o tratamento.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 26/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, SOU MUITO FAVORÁVEL a incorporação de iptacopana no SUS para tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidor de C5 e com hb < 10 g/dL, devido à melhora clínica demonstrada nos estudos em pacientes com resposta hematológica incompleta a terapia com bloqueio de C5. Há um potencial importante para uma triplo normalização -> HEMOGLOBINA, DHL E QUALIDADE DE VIDA, COM redução de transfusões e ganho em qualidade de vida DE FORMA MUITO IMPRESSIONANTE -> MELHORA NOS ESCORES DE FAGIDA E GANHO IMPORTANTE DE QUALIDADE DE VIDA QUANDO QUESTIONADOS DIRETAMENTE AOS PACIENTES. Podemos citar também sobre a via de administração ORAL. ISSO FACILITA MUITO, pois não são necessários centros de infusão especializados, menor burden para o sistema e para os pacientes, principalmente naqueles que se deslocam por vezes horas até um centro infusional. Isso descentraliza, facilita o acesso e o acompanhamento dos pacientes, diminui gastos com infusão, complicacoes de acesso, melhora qualidade de vida e proporciona uma facilidade posologica incrível para os pacientes, diante da extensão territorial do nosso país. iptacopana é um inibidor oral da via alternativa do complemento (inibe fator B). Em pacientes com HPN que recebem inibidores de C5, a hemólise intravascular costuma estar controlada, mas muitos mantêm anemia por hemólise extravascular mediada por deposição de C3. A inibição da via alternativa reduz a deposição de C3 e trata essa necessidade nao atendida., - Eficácia: estudos clínicos (fase II/III): aumentou níveis de hb, diminuiu necessidade de transfusão e melhorou sintomas (p.ex., fadiga). Esses efeitos atendem a necessidades clínicas não cobertas atualmente por C5 bloqueadores., - Qualidade de vida: melhora da hemoglobina e redução de transfusões tendem a reduzir morbidade, - Segurança: aceitável., - Impacto orçamentário: Considerar redução de transfusões, menos internações por complicações anêmicas/tromboticas e reducao custos logísticos.	2ª -	3ª -	4ª - Iptacopana é um inibidor oral da via alternativa do complemento (inibe fator B). Em pacientes com HPN que recebem inibidores de C5, a hemólise intravascular costuma estar controlada, mas muitos mantêm anemia por hemólise extravascular mediada por deposição de C3. A inibição da via alternativa reduz a deposição de C3 e pode melhorar a hemoglobina e reduzir necessidade de transfusão., - Eficácia: estudos clínicos (III) - ESTUDO APPLY reportaram que iptacopana, quando usado em pacientes com resposta incompleta a inibidores de C5, aumentou níveis de hemoglobina, diminuiu necessidade de transfusão e melhorou sintomas (p.ex., fadiga). Esses efeitos atendem a necessidades clínicas não cobertas atualmente por C5 bloqueadores., - Qualidade de vida: melhora da hemoglobina e redução de transfusões tendem a reduzir morbidade, riscos associados a transfusão e melhorar capacidade funcional e bem-estar., - Prática e adesão: forma oral facilita adesão e reduz necessidade de infusões regulares, o que pode desacelerar custos logísticos e aumentar conveniência para pacientes.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Espero que seja incorporada ao SUS pela excelente qualidade de vida que essa tecnologia em avaliação oferece aos pacientes com HPN	2ª - Sim, Qual: IPTACOPANA, Positivo e facilidades: Em apenas 15 dias de uso de Iptacopana, meu filho teve um aumento significativo de hemoglobina, atingindo 13.5, o que não tinha há muito tempo. Em Em um ano de uso, nunca mais teve queda da hemoglobina, atingiu o índice normal. Melhorou sua qualidade de vida em 100%, diminuindo drasticamente as infecções e internações hospitalares. Melhorou sintomas como fadiga e névoa mental. Voltou a fazer exercícios físicos diariamente. , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMAB , Positivo: Apenas não deixava os sintomas da HPN agravarem mais. , Negativo: Ter que viajar para ter acesso ao tratamento. O tempo curto de duração do remédio no organismo até a próxima infusão, causando assim, sintomas da doença, e, efeitos colaterais como episódios câimbras fortíssimas em todo o corpo.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 26/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para os pacientes e para o desenvolvimento de tratamento baseado em evidências científicas.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 26/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considerando a distância em que a maioria dos pacientes percorre atualmente para fazer o tratamento para HPN, a medicação via oral trará muitos benefícios neste sentido, uma vez que os pacientes poderão fazer o tratamento em casa, melhorando a qualidade de vida em relação a trabalho, vida familiar, descanso e lazer.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 26/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As opções de tratamento para HPN permaneceram limitadas até que o inibidor do complemento terminal eculizumabe ficou disponível em 2007. O eculizumabe é um anticorpo IgG monoclonal humanizado direcionado contra a proteína C5 do complemento terminal. Estudos clínicos demonstraram que o tratamento com eculizumabe leva a uma resolução significativa da hemólise intravascular, redução na necessidade de transfusão, redução na taxa de trombose, melhora ou estabilização da função renal e melhora da sobrevida. , No entanto, muitos pacientes submetidos a tratamento com Eculizumabe apresentam hemólise extravascular mediada por C3, o que pode levar à dependência transfusional, pior qualidade de vida e piores desfechos de saúde. Neste contexto, novos inibidores do complemento proximal foram desenvolvidos para controle da hemólise extravascular e consequente diminuição da necessidade transfusional em pacientes que persistem com anemia grave apesar do uso de Eculizumabe., Iptacopana é uma medicação oral que atua como inibidor do complemento proximal, tendo como alvo o fator B na via alternativa. Foi aprovado como tratamento em monoterapia para pacientes com HPN pela ANVISA em janeiro de 2025 (RESOLUÇÃO-RE Nº 320, DE 24 DE JANEIRO DE 2025). A submissão do medicamento foi baseada em dados robustos de dois estudos clínicos de Fase III, o APPLY-PNH e o APPOINT-PNH, que demonstraram que até 68,8% dos pacientes tratados com cloridrato de iptacopana atingiram níveis normais de hemoglobina, sem necessidade de transfusões durante o período do estudo.	2ª -	3ª -	4ª - "Estudo APPOINT-PNH, de fase III, avaliou o iptacopan, um inibidor oral do fator B da via alternativa do complemento, em pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna (PNH) não tratados previamente com inibidores do complemento. O tratamento com iptacopan (200 mg duas vezes ao dia) levou a melhorias marcantes e sustentadas da hemoglobina, com mais de 90% dos pacientes apresentando aumento ? 2 g/dL sem necessidade de transfusões, cerca de 80% atingindo Hb ? 12 g/dL, e redução média de > 80% nos níveis de LDH, indicando controle eficaz da hemólise. Quase todos os pacientes tornaram-se independentes de transfusão e o perfil de segurança foi favorável, com poucos eventos adversos graves e nenhuma descontinuação relacionada ao fármaco. Em conjunto, os resultados demonstram que o iptacopan proporciona resposta hematológica robusta, controle duradouro da hemólise e conveniência de uso oral, destacando-se como uma potencial nova opção de primeira linha para o tratamento da PNH., Kulasekararaj AG, Röth A, Peffault de Latour R, et al., Iptacopan monotherapy in complement inhibitor-naïve patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (APPOINT-PNH): 48-week results from a phase 3 study. Blood. 2024	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Recentemente o atual tratamento faz com que os pacientes se encaminhem a um centro de referência, muitas vezes em hospitais que se localizam longe de suas cidades. Tal deslocamento por vezes atrapalha a rotina e gera transtornos e gastos com transporte, acomodação e refeições. O medicamento também possui um altíssimo custo, o que impossibilita que os pacientes possam arcar com a compra, sendo impossível que possam tomar o remédio regularmente sem qualquer auxílio governamental. A medida aumentará o conforto e qualidade de vida dos pacientes dependentes de tratamento para HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de uma medicação fundamental para estas pessoas e o seu custo é inviável para o cidadão comum.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que toda avanço na saúde que proporciona melhora na qualidade de vida de pacientes por medicamentos com eficácia comprovadas devem ser de acesso a quem precisa, não só a quem pode pagar por ele.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho de extrema importância e relevância pois irá facilitar muito o tratamento e a qualidade de vida dos portadores de HNP.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes precisam p controlar a doença	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero a inclusão do Iptacopana no tratamento de HPN essencial, pois nós pacientes precisamos ter qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para salvar vidas e fazer o tratamento domiciliar com iptacopana	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para os pacientes com HPN porque a medicação é domiciliar via oral, facilitando no tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, NO MOMENTO SO TEMOS UMA OPÇÃO E ESTA SERIA AUXILIAR A AQUE TEMOS	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: SOMENTE UMA, Positivo: MUITO BOM, OUTRA EXPECTATIVA DE VIDA, Negativo: PODE FALHAR EM ALGUNS PACIENTES	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, DOENÇA DE CARÁTER RARO, COM POUCAS TERAPIAS DISPONÍVEIS, SENDO NECESSÁRIO INCORPORAÇÃO DE NOVAS CLASSES DE MEDICAMENTOS PARA CASOS COM REFRATARIEDADE A TERAPIA ANTI C5 ATUALMENTE DISPONÍVEL, VISTO MELHORA DE QUALIDADE DE VIDA E MARCADORES LABORATORIAIS DE FORMA RELEVANTE COM A INCORPORAÇÃO DA MEDICAÇÃO SOLICITADA PARA INCORPORAÇÃO E FACILIDADE POSOLÓGICA DE TERAPIA ORAL COM MELHORA E BAIXA DE CUSTOS EM UNIDADES DE INFUSÃO.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: MELHORA DE SOBREVIVÊNCIA, Negativo: PERCENTUAL DE PCTES SEM RESPOSTA COMPLETA	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença que impacta muito a qualidade de vida dos pacientes e precisa de tratamentos eficazes e com comodidade posológica para os pacientes! Nesse sentido, Iptacopana se mostrou eficaz para atender as necessidades não atendidas da doença e deve ser incorporado ao SUS!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como paciente de uma doença rara ,HPN ,entendo que precisamos de mais opções de medicamentos que nos ofereça tanto a melhora física em relação à doença ,quanto uma melhora de qualidade de vida e essa medicação oferece isso .	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por ser um medicamento de administração oral, poderá contrinuir com a adesão ao tratamento, sem a necessidade de infusões venosas frequentes. Também irá facilitar o acesso em regiões com menor infraestrutura. Por tanto, é um produto de grande relevância no contexto do SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente de HPN e acho justo ser incorporado pelo SUS,pois quanto mais medicamentos para inibição da patologia para cada um de nós melhor. ,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento é um grande avanço tecnológico para uma doença tão grave como é essa! Medicamento oral fácil de administração	2ª - Sim, Qual: Lynparza , Positivo e facilidades: Que as tecnologias em questão fazem a, Diferença no tratamento do paciente, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação vai melhorar a qualidade de vida dos portadores de HPN	2ª - Sim, Qual: Medicamento , Positivo e facilidades: Redução da HEMÓLISE em pacientes com HPN e melhora na qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Não observei pontos negativos, só o valor da medicação	3ª - Sim, Qual: Medicação ECULIZUMABE, Positivo: Redução da HEMÓLISE e melhor qualidade de vida para os pacientes., Negativo: O paciente se desloca do seu município a cada 15 dias, e se não fizer a medicação nesse intervalo tem HEMÓLISE, a HB persiste baixa e reticulócitos altos.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devemos ampliar a diversidade de tratamentos oferecidos para que todo povo brasileiro viva com dignidade.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho HPN e faço tratamento com eculizumabe. Porém, eu tenho hemólise de escape que o eculizumabe não trata, fazendo que eu tenha sintomas que afetam muito minha qualidade de vida, além do risco de trombose. Ter a opção do Fabhalsa para controlar meus sintomas irá melhorar minha qualidade de vida e diminuir o risco de complicações por trombozes em locais atípicos (principal risco da doença).	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como paciente de HPN há mais de 10 anos, percebi que há limitações nos inibidores de C5, fazendo com que muitos pacientes como eu apresentem hemólise de escape e extravascular. Ressalto que é muito importante ter outras terapias incluídas no SUS para que possamos ter acesso a um melhor tratamento e consequentemente, melhor qualidade de vida. Não concordo com o critério de pacientes abaixo de 10 de hemoglobina. Acredito que deve-se levar em conta outros fatores como o exame DHL e reticulócitos, além do estado clínico paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab e Crovalimab , Positivo: Os inibidores de complemento devolveram boa qualidade de vida que perdi Sidnei adquiri HPN. Pode mais que ainda sinta cansaço e algumas dores, somente com o uso dos inibidores pode contar a trabalhar e ter uma vida próxima ao normal. , Negativo: Não impede hemólise de escape e extravascular em todos os pacientes.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhor atender o paciente, facilitando a aplicação da medicação	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Um tratamento oral pode dar uma melhor qualidade de vida aos pacientes que moram em locais afastados e hoje precisam fazer grandes deslocamentos para tratamento venoso. Além disso, este medicamento possui uma ação mais ampla que os bloqueadores de complemento já disponíveis (soliris e ultomiris) e pode ser mais eficaz em alguns pacientes com resposta ruim aos tratamentos disponíveis atualmente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Ultomiris (ravulizumabe), Positivo: Melhorou meus níveis de hemólise mas não eliminou totalmente a hemólise no meu corpo., Negativo: Preciso comparecer ao centro de tratamento para realizar infusões venosas., O medicamento atrasa por ser importado e muitas vezes ocorre atraso na infusão, desrespeitando a prescrição médica.	4ª - Não	5ª - Não

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um medicamento que irá trazer muita qualidade de vida para os pacientes, por ser oral e não precisar de infusão e nem de deslocamentos aos centros de tratamento. Trará vida, condição do paciente fazer uma viagem longa e por fazer planos com o futuro.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Me trouxe a vida, pois este medicamento foi o primeiro para HPN, então veio numa época que não tinha outra solução de tratamento., Negativo: Não atua no C5 como este e é necessário infusão a cada 2 semanas.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação poderá melhorar a qualidade de vida de muitos pacientes portadores de HPN. Pois, além de atuar de forma mais efetiva na hemólise, principalmente a extravascular, pode-se tomar em casa, sem necessidade de deslocamento até um Centro de Infusão.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença grave adquirida que necessita de mais opções terapêuticas., Ter a opção de mais uma medicação, capaz de inibir o complemento e com administração oral será de grande importância.	2ª - Sim, Qual: Eculizumab, Ravulizumab, Iptacopano, Positivo e facilidades: A possibilidade de incorporarmos um inibidor proximal (inibidor de C3) com administração oral, Negativo e dificuldades: Não tem	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Ravulizumab, Positivo: A HPN é uma doença grave potencialmente fatal e que só teve seu curso natural modificado com o uso de eculizumab e, posteriormente, ravulizumab, Negativo: Ambas são inibidores de C5 e com administração venosa.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Opção para refratariedade e pacientes com hemólise de escape com eculizumabe., , Eculizumabe possui necessidade de traslado ao centro de infusão frequentemente e esse medicamento está disponível via oral	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pode melhorar a qualidade de vida de muitas pessoas.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilitaria muito a vida dos portadores de HPN conseguiria ter mais liberdade em relação a medicação pois não ficariam presos poderia levar a medicação por onde for, poderiam trabalhar sem se ausentar, meu Deus seria ótimo. Teriam mais liberdade sem se furar tanto sem desgaste emocional e melhoraria a qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, ...	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tudo que for inovador e trazer benefícios à saúde da população que tenha qualquer doença que seja, é um avanço muito grande e um grande feito social.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de grande importância a incorporação da tecnologia ao SUS , para o tratamento de quem tem e convive com HPN , AS PESSOAS QUE TEM HPN , PRECISAM DE APOIO E DE ASSISTÊNCIA PARA MELHORIA EM SEU TRATAMENTO	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento por ser de via oral facilita muito a vida do paciente que não precisa de infusão. Além disso os estudos mostram que ele tem melhor controle da hemoglobina com menos necessidade de transfusão. E maior estabilidade da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris , Positivo: Controle da doença até certo ponto , Negativo: Forma de administração	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deveria ser adicionado. Por ser uma questão vital de saúde para pessoas com a doença	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Opção para tratamento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ok	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação que o SUS deve arcar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Iptacopana vai melhorar muito a qualidade de vida dos pacientes portadores de HPN. Além de ser uma medicação via oral, o que é facilitador para paciente e pro sistema único de saúde, os dados de resposta de anemia nesses casos é promissor.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos devem ter direito	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação de extrema importância para os pacientes com HPN tanto quanto ao tratamento para uma melhor qualidade de vida e quanto ao intervalo das infusões, principalmente para aqueles que viajam mais de 400km duas vezes ao mês, em carros desconfortáveis, estradas perigosas para poder infundir. Sem contar que os gastos público serão diminuídos já que o paciente irá com menos frequência ao hospital ou centro médico.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Uma melhora na qualidade de vida, diminuindo a fadiga. , Exames sob controle, mas ainda com escapes. , , Negativo: Ainda tenho hemólise de escape. , Na esperança que tenha uma melhora com a administração do ravulizumabe, já que tem uma ação mais prolongada no organismo.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que tecnologia em questão deve ser incorporada ao tratamento, por trazer inovação ao mesmo, permitindo que o paciente consiga realizar seu tratamento por meio de comprimidos, o que traz mais qualidade de vida aos pacientes, facilita a adesão, o acesso à medicação, permitindo o tratamento seja mais efetivo.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A tecnologia é um avanço especialmente na melhora da qualidade de vida e sobrevivência dos pacientes com HPN. Condição rara e que gera muito sofrimento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Xx	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Xxx, Positivo: Xxx, Negativo: Xxx	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Além de dar maior qualidade de vida em funcao de poder ser realizado o tratamento em casa ou em qualquer lugar, sem precisar se deslocar ate uma clinica ou hospital, este medicamento tem uma eficácia mais ampla que os que existem atualmente e pode ajudar pacientes que continuam tendo problemas mesmo já usando as medicações já disponíveis.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Não tenho experiência	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O remédio deve ser incorporado ao SUS., Ele melhorará a qualidade de vida dos pacientes., Além disso, pode sair mais barato para o governo ao invés de comprar o Eculizumabe.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante de outra tecnologia 10/11/2025	1ª - Não tenho opinião formada, A manutenção do eculizumabe como primeira linha de tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é recomendada, uma vez que não há evidências de eficácia clínica que justifiquem sua substituição. O medicamento deve permanecer como padrão terapêutico conforme o PCDT vigente, especialmente considerando o acesso ampliado com a expiração das patentes do eculizumabe e a consequente economia, em contaste com alternativas ainda sob proteção patentária e, portanto, sem biossimilares, como o ravulizumabe. Recomenda-se ainda o ajuste do intervalo terapêutico e da dose, com possibilidade de reduzir o intervalo de aplicação do eculizumabe ou aumentar a dose em pacientes com hemólises de escape ou que apresentaram trombose recentemente. A incorporação condicional da iptacopana, caso seja considerada após a consulta pública, deve ser restrita a pacientes com refratariedade documentada ao eculizumabe mesmo em modo de utilização otimizado, em segunda ou terceira linha terapêutica, estando sujeita a monitoramento de efetividade e segurança em mundo real. Além disso, recomenda-se a revisão da análise econômica considerando a redução iminente do preço de comercialização com base em premissas estabelecidas internamente pelo corpo técnico. Acredita-se que a incorporação de novas tecnologias no SUS deve ser pautada por evidências robustas, considerando a integração das diversas secretarias do Ministério da Saúde e a sustentabilidade do Complexo Industrial da Saúde. No cenário atual, com a entrada de biossimilares do eculizumabe e a implementação da PDP do eculizumabe em um futuro próximo, entende-se que a evidência preliminar apresentada sobre a iptacopana ainda não permite uma conclusão definitiva quanto ao seu custo-benefício frente às demais opções já incorporadas.,	2ª -	3ª -	4ª - Destacamos que os dados de segurança a longo prazo e de vida real relacionados ao Iptacopana ainda não estão disponíveis, sendo que o estudo de extensão roll-over (REP) tem previsão de término apenas em outubro de 2027.; Ph3: An Open Label, Multicenter Roll-over Extension Program (REP) to Characterize the Long-term Safety and Tolerability of Iptacopan (LNP023) in Patients With Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) Who Have Completed PNH Phase 2 and Phase3 Studies With Iptacopan., Início: 2021-07-27 Término: 2027-10-19, A incorporação de novas tecnologias e o surgimento de tratamentos voltados a necessidades não atendidas, especialmente em doenças raras, são fundamentais para a ampliação das opções terapêuticas disponíveis à população. Acreditamos que diante da ausência de dados de segurança a longo prazo do referido medicamento, a manutenção do eculizumabe como padrão de primeira linha para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) segue sendo a melhor opção na prática clínica. Sua segurança e eficácia estão amplamente documentadas em estudos clínicos e análises de mundo real conduzidas ao longo das últimas duas décadas, demonstrando benefícios clínicos sustentados, melhora significativa da sobrevida e um perfil de segurança consistente em diferentes populações e contextos geográficos, com mais de 10 anos de experiência	5ª - O relatório preliminar da CONITEC (outubro/2025) avaliou o custo do eculizumabe em R\$ 15.081,70 por frasco, sem considerar cenários com biossimilares ou Parcerias para o Desenvolvimento Produtivo (PDP). Em um cenário alternativo, com patentes expiradas e produção nacional, o eculizumabe se tornaria significativamente mais custo-efetivo que medicamentos ainda sob patente., A Política do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (CEIS), por meio das PDPs, é estratégica para o SUS, promovendo a produção local de medicamentos de alto custo, ampliando o acesso, reduzindo preços e garantindo segurança no fornecimento. A proposta de PDP para o eculizumabe inclui também programas de suporte ao paciente e ao diagnóstico, que visam antecipar o diagnóstico e melhorar o acompanhamento clínico. Além disso, busca mitigar riscos de desabastecimento, já ocorridos no país, e gerar economia ao SUS com a futura comercialização de biossimilares., Por fim, sugere-se avaliar ajustes terapêuticos (redução do intervalo de aplicação ou aumento da dose) para pacientes com resposta subótima, como alternativa viável e com menor impacto orçamentário no contexto da entrada de

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				acumulada no uso da medicação. , TERRIOU, L. et al. Long-term survival benefit of eculizumab treatment in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: data from the International PNH Registry. Blood, v. 138, supl. 1, p. 2188, 2021. Disponível em: https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0006497121041446 Acesso em: 6 nov. 2025. , TERRIOU, L. et al. Long-term effectiveness of eculizumab: data from the International PNH Registry. European Journal of Haematology, v. 112, p. 658, 2023. Disponível em: https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/ejh.14080. Acesso em: 6 nov. 2025. ,	biossimilares., CORREIO BRAZILIENSE. Impasse entre Saúde e Anvisa prejudica importações de alto custo. Correio Braziliense, Brasília, 26 fev. 2018. Disponível em: https://www.correiobraziliense.com.br/app/noticia/brasil/2018/02/26/interna-brasil,662425/impasse-entre-saude-e-anvisa-prejudica-importacoes-de-alto-custo.shtml , G1?RN. Ministério da Saúde atrasa repasse de medicamento e portadores de doença rara correm risco de morte no RN. G1 — Rio Grande do Norte, 13 mar. 2018. Disponível em: https://g1.globo.com/rn/rio-grande-do-norte/noticia/no-rn-pacientes-de-doenca-rara-estao-sem-receber-medicamento-de-r-20-mil.ghml , PARKER, C. J. Update on the diagnosis and management of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Hematology, v. 2016, n. 1, p. 208–216, dez. 2016. Disponível em: https://dx.doi.org/10.1182/asheducation-2016.1.208



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Pacientes com diagnóstico de Hemoglobinúria Paroxística Noturna que não são responsivos ao único tratamento hoje disponibilizado no sus - Eculizumabe- não possuem outra alternativa a não ser suporte transfusional que trás outras complicações como riscos infecciosos, de reações transfusionais e hemocromatose secundária., O uso do iptacopana por ser inibidor do fator B, impede a hemólise extravascular que é tão deletéria aos pacientes que utilizam inibidores de C5 (Eculizumabe). estudo demonstrou que o uso do iptacopana aumentou a pontuação no Score FACIT- score que gradua a fadiga sentida pelo paciente - sendo os pacientes em uso de iptacopana com pontuação semelhante a população geral	2ª - estudo também evidenciou mais de 90% de independência transfusional nos usuários de iptacopana. , Outra vantagem na introdução do iptacopana é este ser medicação oral , que não necessita de refrigeração, trazendo assim maior liberdade para o paciente, Qual: não sendo necessário, como é realizado hoje em dia com o eculizumabe, se deslocar a centros de infusão a cada 15 dias para realização da medicação. Dessa forma a introdução do iptacopana ao SUS é de suma importância parfa garantir independência transfusional e melhora da qualidade de vida substancial aos pacientes. ", Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A melhora na qualidade de vida e facilidade do tratamento fará bastante diferença na vida dos pacientes com HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Será de grande valia para os pacientes que necessitam dessa nova terapia!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobinúria paroxística noturna é doença rara que tem grande impacto na qualidade de vida dos pacientes, por fadiga crônica e anemia hemolítica., Atualmente existe uma necessidade não atendida nos pacientes que são refratários ao uso dos inibidores de C5 ou que mantêm anemia e fadiga a despeito do uso dessas medicações, representando um controle clínico inadequado., O epipitacopan é uma medicação oral, inibidor do fator B, oferecendo controle da hemólise intra e extra vascular, representando benefícios em relação às drogas já existentes no mercado. A possibilidade de tratamento com droga oral melhora a adesão e reduz questões com o deslocamento dos pacientes aos centros de infusão. Os estudos demonstraram melhora significativa da anemia e qualidade de vida nesse grupo de pacientes, com bom perfil de segurança., A HPN acomete pacientes em idade produtiva e o controle adequado da doença permite que os mesmos possam retornar ao mercado de trabalho, contribuindo para a sociedade. , Somos favoráveis à incorporação do epitacopan ao rol de medicamentos do SUS .	2ª -	3ª -	4ª - Em anexo estudo publicado na New England acerca da medicação	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara, embora benigna, tem potencial risco fatal por complicações tromboembólicas. No SUS só há tratamento com inibidor de complemento fração C5 que muitas vezes controla bem a doença e as hemólises intravasculares. Mas há situações ainda não atendidas em que o eculizumabe ou ravulizumabe não são suficientes como na hemólise extravascular mediada pelo acúmulo de C3b na hemácia, resultado da inibição do C5. Nesse caso é necessário se ter outro inibidor de complemento mais proximal a nível de C3 ou acima como o iptacopan (inibe fator B) para controlar anemia persistente decorrente das hemólises extravasculares, melhorando os sintomas e controlando a doença	2ª - Sim, Qual: Iptacopan (fabhalsa), Positivo e facilidades: Paciente apresentava hemólise extravascular, anemia, fadiga, já estava em uso de eculizumabe. Conseguiu acesso expandido ao iptacopan e rapidamente controlou a hemólise extravascular com redução reticulócitos e controle da anemia, atualmente mantendo hemoglobina normal 12.. Palavras da própria paciente: “ o remédio é um milagre, meus índices estão normais depois de 15 anos, nem acreditei, é uma outra vida! ”, Além disso, medicação oral proporciona mais comodidade posológica e autonomia do pcte, Negativo e dificuldades: O acesso ainda é complicado. No caso foi conseguido por acesso expandido	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle das hemólises com melhora dos sintomas, Negativo: Ser droga infusional a cada 2 semanas impactando na rotina e qualidade de vida do paciente, Não controla hemólises extravasculares e anemia persistente decorrente disso	4ª - "Risitano AM et al. Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal haemoglobinuria: final 48-week results from the open-label, randomised, phase 3 APPLY-PNH trial in anti-C5-treated patients and the open-label, single-arm, phase 3 APPOINT-PNH trial in patients previously untreated with complement inhibitors. Lancet Haematol. 2025 Jun	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho tem apenas 19 anos e não esta respondendo a medicação atualmente disponível no SUS., ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Não tivemos melhora esperada , , Negativo: Não melhorou o quadro clínico, nem laboratorial	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana pode ser uma ótima opção de tratamento de HPN no SUS, uma vez que tem como forma farmacêutica o comprimido administrado por via oral podendo facilitar a adesão ao tratamento pelo paciente, garantindo melhor qualidade de vida através do controle dos sintomas diários, conforto da administração via oral em casa e redução dos custos de transporte para ida ao centro de infusão/hospital, além do tempo disponível para o deslocamento e infusão das outras opções terapêuticas. Os estudos mostraram que Iptacopana melhora marcadores de hemólise, aumento de hemoglobina e redução de transfusões. A paciente que participou da reunião da CONITEC e fez uso de Iptacopana reportou melhora na qualidade de vida e, principalmente, o retorno às atividades que estava habituada (como correr), melhora dos sintomas de HPN e comodidade de uma medicação oral (o fato das outras terapias serem infusionais e obrigarem a paciente a passar horas do seu dia no hospital a fizeram perder o emprego antes do tratamento com Iptacopana, gerando grande impacto econômico na sua vida financeira e planejamento familiar). Além disso, como farmacêutica e pensando no impacto econômico para o SUS, a incorporação da medicação VS. as outras já ofertadas no sistema gerou economia de recursos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TODO MEDICAMENTO PARA ESSA DOENÇA SUPER RARA DEVE SER INCORPORADO AO SUS, PENSANDO EM TRAZER MELHORA NAS CONDIÇÕES DE VIDA E BEM ESTAR DOS 'PACIENTES/DOENTES.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: CROVALIMABE - Eculizumabe, Positivo: GRANDE MELHORA NA QUALIDADE DE VIDA, Negativo: NENHUM	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , , , , , , ,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante para melhorar a qualidade de vida e os resultados dos exames.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O portador de doenças raras sofre os seus altos e baixos, uma doença que nem sempre os médicos sabem tratar, pois nunca trataram, pois a doença é rara. Os medicamentos devem ser incorporados ao sus mesmo medicamentos de alto custo pois na média, não são todos os medicamentos que são de alto custo. Como o portador de doenças raras, anemia, e HP N, sinto muitas vezes sem perspectiva de vida, só os medicamentos novos e modernos que estão fora do meu alcance econômico podem me dar perspectiva de vida. Caso contrário estaria eu morto.. nível medicamentos devem ser incorporados ao sus, para dar continuar a vida e a dignidade humana.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliriis foi a minha salvação, Positivo: Me deu condição de trabalho e de perspectiva de vida, Negativo: Nenhuma	4ª - Não	5ª - Entendo que a consideração do valor econômico de cada medicamento deve ser tratado numa média de valores e não num caso isolado para poucos pacientes pois muitos pacientes são curados das suas doenças com medicamentos relativamente baratos. E, se os governos gastassem mais com prevenção poderiam economizar bastante, a ponto de direcionar para medicamentos de custo mais alto e complexidade
Profissional de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Iptacoplane, comprovadamente segundo estudos, reduz o grau de anemia, o grau de fadiga, e a necessidade transfusional dos pacientes com HPN, quando comparada a outra tecnologia disponível (Eculizumabe). Além disso, permite liberdade ao paciente, uma vez que o mesmo não fica mais condicionado à comparecer à um centro de infusão a cada 2 semanas para receber o tratamento. Há ainda pacientes com dificuldade de acesso venoso para uso da medicação injetável, única tecnologia disponível até o momento, e com a incorporação da terapia oral com Iptacopan, isso se resolveria.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tecnologia avançadas e com grande benefício para as pessoas, devem ser consideradas no SUS e de responsabilidade do nosso governo.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TRATO PACIENTES COM HPN NO SUS DESDE 2015, NO HOSPITAL DAS CLINICAS DA UNESP. ACOMPANHEI A APROVAÇÃO E DISPONIBILIDADE DO ECULIZUMABE E RAVULIZUMABE, QUE REVOLUCIONARAM OS DESFECHOS DESSES PACIENTES. PORÉM A HEMÓLISE EXTRAVASCULAR CLINICAMENTE SIGNIFICATIVA É UMA REALIDADE, AINDA QUE OCORRA APENAS EM UMA FRAÇÃO DOS PACIENTES EM USO DE INIBIDORES DE C5. TER A POSSIBILIDADE DE UTILIZAR O IPTACOPAN NESSAS SITUAÇÕES ELEVA O PATAMAR DA TERAPIA PARA HPN NO NOSSO PAÍS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE E RAVULIZUMABE, Positivo: CONTROLE ADEQUADO DA HEMÓLISE INTRAVASCULAR, QUE ESTÁ DIRETAMENTE LIGADA À MORTALIDADE NA HPN., Negativo: OCORRÊNCIA DA HEMÓLISE EXTRAVASCULAR, QUE PODE LEVAR A ANEMIA RESIDUAL EM CERCA DE 10% DOS CASOS, EVENTUALMENTE NECESSITANDO DE SUPORTE TRANSFUSIONAL	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença rara, que cursa com anemia hemolítica, muitas vezes grave e com necessidade transfusional, além de acentuado risco de eventos trombóticos quando mal controlada. Neste contexto, o medicamento Iptacopana tem o diferencial de conseguir inibir tanto a via clássica quanto alternativa do complemento, com grandes chances (cerca de 80% segundo o estudo APPLY) de suprimir a hemólise de escape, que é relativamente frequente em pacientes que são tratados com inibidor de C5, além de garantir também redução importante do risco de trombose. Além disso, apresenta ótima adesão por ser o único medicamento oral da classe.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que deva ser incorporada ao SUS tendo em vista a já comprovada melhora substancial na qualidade de vida dos pacientes que dependem do tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como pessoa que convive com uma colega que tem HPN, acredito que a medicação irá melhorar a qualidade de vida da paciente, além de melhor controle dos sintomas.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de medicamentos pelo SUS salva muitas vidas, sendo extremamente necessária e importante	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento será um divisor de águas na vida daqueles pacientes que farão uso. Viva o SUS!!!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença hematológica rara e grave, caracterizada por hemólise intravascular crônica, risco elevado de trombose e anemia significativa. Apesar do avanço proporcionado pelos inibidores de C5, uma parcela de pacientes apresenta hemoglobina persistentemente inferior a 10?g/dL, evidenciando uma necessidade clínica não atendida., , O Iptacopana é um inibidor oral do fator B da via alternativa do complemento, aprovado pela Anvisa para o tratamento de adultos com HPN. Estudos clínicos, incluindo o ensaio de fase III APPLY-PNH, demonstram que o medicamento proporciona aumentos significativos de hemoglobina e redução da necessidade de transfusões, mesmo em pacientes previamente tratados com inibidores de C5. Os dados apontam que aproximadamente 80% dos pacientes alcançaram aumento sustentado de hemoglobina ?2?g/dL sem transfusões, evidenciando eficácia superior em relação ao tratamento padrão para este subgrupo específico., , Além do benefício hematológico, o Iptacopana apresenta vantagens práticas relevantes: administração oral diária, redução da dependência de infusões hospitalares e potencial melhora na qualidade de vida do paciente. A incorporação desse fármaco no SUS possibilitaria atendimento a uma população com lacuna terapêutica documentada, atendendo aos princípios de equidade e universalidade do sistema público de saúde., , É imprescindível, entretanto, que a incorporação venha acompanhada de medidas de segurança e implementação adequadas, considerando o risco de infecções graves associado à inibição do complemento. Recomenda-se vacinação adequada, acompanhamento clínico rigoroso e definição clara dos critérios de elegibilidade, restringindo o uso ao subgrupo de pacientes que permanece anêmico (Hb <10?g/dL) após tratamento com inibidores de C5.,	2ª -	3ª -	4ª - Iptacopana, inibidor oral do fator B da via alternativa do complemento, demonstrou eficácia significativa em adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e hemoglobina <10?g/dL. No ensaio fase?III APPLY?PNH, 82?% dos pacientes tratados com Iptacopana atingiram aumento de Hb ?2?g/dL sem transfusão, versus ~2?% no braço controle, com 69?% alcançando Hb ?12?g/dL sem transfusão. O seguimento até 48?semanas mostrou manutenção dos ganhos hematológicos e 93,5?% permanecendo livres de transfusões. Estudos em pacientes não tratados previamente (APPOINT?PNH) corroboram a eficácia consistente, com 92,2?% atingindo Hb ?2?g/dL sem transfusão. O perfil de segurança foi aceitável, com eventos adversos leves a moderados, sem descontinuações significativas. Iptacopana atua proximalmente na via alternativa do complemento, controlando hemólise intravascular e extravascular, preenchendo lacuna terapêutica em pacientes com anemia residual mesmo sob anti?C5. Estes dados suportam sua incorporação como alternativa eficiente e segura no tratamento de HPN com anemia persistente e dependência de transfusões.	5ª - Estudos econômicos indicam que Iptacopana, inibidor oral do fator?B, pode oferecer benefícios econômicos frente aos inibidores de C5 (Eculizumabe e Ravulizumabe) em pacientes adultos com HPN previamente tratados e hemoglobina <10?g/dL., , Modelos de custo?efetividade sugerem que o uso de Iptacopana reduz os custos diretos com medicamentos e transfusões, além de diminuir o tempo de enfermagem e do paciente, dado que é terapia oral, não infusiva., , Um estudo de avaliação econômica estimou economia de aproximadamente US\$?4 milhões ao longo da vida do paciente em comparação aos anti?C5, com aumento de QALYs., , O Institute for Clinical and Economic Review (ICER) calculou que, apesar do alto custo anual estimado, o benefício clínico associado à redução da necessidade de transfusões e melhora de hemoglobina coloca Iptacopana como uma alternativa economicamente relevante, especialmente considerando
Profissional de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara porém com alta morbimortalidade que hoje apresenta opções terapêuticas que possibilitam melhora na sobrevida global e qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - 2 artigos anexados, sendo 1 de vida real embasando os estudos clínicos e o estudo que avaliou o benefício e a segurança a longo prazo.,	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O iptacopan é um inibidor oral seletivo do fator B da via alternativa do complemento, atuando de forma proximal e bloqueando tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular — mecanismos não plenamente controlados pelos inibidores de C5. Seu uso representa um avanço terapêutico relevante para pacientes com PNH que permanecem com anemia, fadiga e dependência transfusional apesar do tratamento com eculizumabe ou ravulizumabe., No estudo pivotal APPLY-PNH, que avaliou pacientes já em uso de anti-C5 com hemoglobina <10 g/dL, o iptacopan mostrou superioridade em relação à continuação da terapia padrão:, - 80% dos pacientes tiveram aumento de Hb ? 2 g/dL sem transfusão,, - 67% atingiram Hb ? 12 g/dL,, - 93,5% permaneceram livres de transfusões até 48 semanas., - Além disso, houve melhora significativa na fadiga (FACIT-Fatigue) e redução sustentada de marcadores de hemólise (LDH <1,5×LSN)., O perfil de segurança foi favorável, sem novos sinais de toxicidade, e a via oral traz benefício adicional em conveniência, adesão e redução de custos indiretos (infusões, deslocamentos, internações). O estudo APPOINT-PNH, em pacientes naïve, reforça a robustez e consistência da resposta hematológica observada., Diante da necessidade não atendida em pacientes com resposta subótima ao anti-C5 e do ganho clínico expressivo demonstrado, o iptacopan representa uma opção terapêutica inovadora, eficaz e segura, com potencial para melhorar qualidade de vida, reduzir transfusões e otimizar o cuidado no SUS.,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "O Fabhalta (iptacopan) é um inibidor oral seletivo da fator B, que bloqueia a ativação da via alternativa do complemento na altura da molécula C3., Esse mecanismo interrompe de forma precoce a cascata do complemento, prevenindo tanto a hemólise intravascular quanto a hemólise extravascular, que são características da Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN)., , Em comparação, os medicamentos Soliris (eculizumabe) e Ravulizumabe são anticorpos monoclonais que atuam mais abaixo, inibindo a molécula C5. Embora também previnam a hemólise intravascular, não impedem a opsonização mediada por C3, o que pode levar à hemólise extravascular persistente em alguns pacientes., , Assim, o Fabhalta oferece uma vantagem terapêutica ao atuar mais precocemente na cascata do complemento, proporcionando:, , Redução mais ampla da ativação do complemento	2ª - , , Controle simultâneo da hemólise intra e extravascular, Qual: , , Administração oral, favorecendo a adesão e a qualidade de vida do paciente, Positivo e facilidades: , , Possibilidade de uso em pacientes com resposta subótima ao bloqueio de C5., , Portanto, o uso do Fabhalta pode ser justificado em casos em que há hemólise residual, anemia persistente ou intolerância ao regime intravenoso de C5-inibidores, oferecendo um controle mais abrangente e conveniente da doença.", Negativo e dificuldades:	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vivenciando a melhora na qualidade de vidas dos pacientes sou a favor da inclusão.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação melhora muito a qualidade de vida e protege muitos pacientes da morte. Tem a facilidade de não precisar ser feito endovenosa. Essa possibilidade melhora acesso, além de ter resultados melhores que a tecnologia atual disponível no Sus.	2ª - Sim, Qual: No Hemocentro Unicamp participo do Ambulatorio de HPN, e para alguns casos ele traz vantagens inegáveis em relação a outras tecnologias , Positivo e facilidades: Uso oral, melhora de sintomas e qualidade de vida, melhorando também a produtividade dos pacientes no trabalho e melhorando acesso., Negativo e dificuldades: Não identifiquei pontos negativos. Apenas o fato de não ter estudo para ser usado na Gestação.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, já em uso no Sus, Positivo: Pode ser usado em Gestante. Em outras condições clínicas raras. Melhora muito a qualidade de vida e sobrevida, já está incorporado ao Sus., Negativo: Uso Endovenoso, necessidade de deslocar para centro de infusão a cada 2 semanas	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhor condição ao paciente que necessita tomar o medicamento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A minha sobrinha tem HPN e vejo a luta dela para ir no hospital a cada 2 semanas para fazer a infusão do remedio. Este remedio por ser oral, vai trazer a qualidade de vida que os pacientes necessitam, fazendo o tratamento em casa e não necessitando ir mais no hospital.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Foi necessario para salvar a vida da minha sobrinha, pois era a unica medicação que existia., Negativo: ter que ir no hospital a cada 2 semanas e não tratou completamente a anemia dela.	4ª - Não	5ª - Não

I

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do medicamento trará mais qualidade de vida ao paciente, pois trata-se de um medicamento de administração oral, não haverá a necessidade de deslocamento dos pacientes para realização das infusões, que na maioria das vezes não tem a disponibilidade de centro especializado na sua cidade e precisam de deslocar por distancias enormes para ter acesso ao tratamento, o paciente não precisará realizar punção venosa inúmeras vezes para receber o medicamento. , Além de trazer redução de custos com as infusões, internações, transporte dos pacientes, diminuirá a necessidade de disponibilização de leitos para realização das infusões.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Convivo com um paciente que é usuário do Eculizumabe, que na época era o único medicamento disponível para o tratamento, e foi o que o manteve vivo., Negativo: A necessidade de infusão a cada 15 dias. Hoje existem outros medicamentos disponíveis que trarão melhor qualidade de vida ao paciente.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse de remédio deve ser incorporado pelo sus pois possibilitará as pessoas uma qualidade de vida melhor, poderá tomar o remédio em casa e não em hospital.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Deve ser incorporada pois melhora bastante a qualidade de vida principalmente aqui no nordeste onde pacientes se deslocam 400	2ª - km de ônibus pra tomar a medicação!!!"	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação trará qualidade de vida para os pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do medicamento é de suma importância pois é uma segunda opção de tratamento para mim que sou portadora da Doença quanto para os outros pacientes que vivem em situação de vulnerabilidade e tem complicações de deslocamento para as unidades de saúde para receber o tratamento assim temos mais um espaço de tempo entre as infusões. Pelo medicamento ter uma eficácia maior no nosso organismo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Medicamento Eculizumab(soliris)., Positivo: A positividade em relação ao medicamento que eu já tive experiência foi excelente pois é de suma eficácia ao que lhe foi introduzido na fabricação para garantir o tratamento adequado. , Negativo: Único ponto negativo do medicamento é que precisamos fazer infusões a cada 15 dias pois a eficácia é menor para permanecer sobre efeito dentro do nosso organismo. E tem que se deslocar a cada 15 dias das localidades onde habitamos para o tratamento é um sacrifício e uma dificuldade pois precisamos pegar o transporte coletivo pois muita das vezes não temos condições financeiras.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação me trará melhor qualidade de vida, visto que é medicação oral, dispensando a necessidade de infusão, deslocamento para outra cidade, puncionamento de veia a cada 15 dias, o que vem sido difícil ultimamente para conseguir acesso , pois as veias já estão sensíveis devido a tantas infusões., Diminuição dos gastos públicos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizaumabe, Positivo: O Eculizumabe foi o medicamento que impediu minha morte, e o que me mantém vivo até hoje, era o único medicamento disponível quando descobri a doença., Hoje temos novas opções , que nos trará uma grande melhoria na qualidade de vida., Negativo: Ser necessário infusão a cada quinze dias para realização do tratamento.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ao ser incorporado no SUS vai ajudar e falcitar o tratamento de pessoas nessa condição dando mais qualidade de vida, principalmente aos que não têm acesso ao tratamento devido condições financeiras	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente, o tratamento disponível exige infusões intravenosas quinzenais, o que obriga muitos pacientes a se deslocarem por grandes distâncias devido à falta de centros especializados em suas cidades. Esse processo, além de desgastante, demanda a realização de várias punções venosas e eleva os custos com transporte, internações e uso de leitos hospitalares. Com a incorporação do novo medicamento, administrado por via oral, esses obstáculos serão superados. O paciente poderá realizar o tratamento em casa, de forma mais prática e confortável, sem a necessidade de deslocamentos frequentes ou procedimentos invasivos. Essa mudança, além de reduzir custos ao sistema de saúde, proporcionará uma expressiva melhora na qualidade de vida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: Meu amigo é usuário do ECULIZUMABE. Na época em que ele adoeceu, essa era a única tecnologia disponível, sendo vital para a sua saúde., Negativo: O aspecto negativo é a morosidade do tratamento, visto que demanda a infusão a cada 15 dias. Com as tecnologias de hoje, existem outros medicamentos disponíveis que proporcionam maior qualidade de vida ao paciente.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu tenho NPI sei que passei por muitos problemas para conseguir a medicação sei que essa nova medicação vai ajudar e muito eu e outros pacientes que passamos pelo mesmo problema	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 31/10/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento trará mais qualidade de vida aos pacientes., Reduzirá custos	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Foi esse remédio que possibilitou que os pacientes que tem HPN pudessem viver., Negativo: Não se aplica	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A adoção do novo medicamento proporcionará maior qualidade de vida aos pacientes, pois, por ser de uso oral, elimina a necessidade de deslocamentos frequentes para infusões quinzenais. Atualmente, muitos pacientes precisam viajar longas distâncias devido à falta de centros especializados em suas cidades. Além de evitar as repetidas punções venosas, o tratamento oral reduzirá custos relacionados a infusões, internações e transporte, além de diminuir a demanda por leitos hospitalares destinados a esse procedimento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este medicamento via oral, vai dar ao paciente a liberdade de tratamento domiciliar, sem precisar ir quinzenalmente até hospital para infusão, o paciente ganha o estado ganha e assim até os que tem dificuldade de deslocamento também .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Meu irmão quando descobriu a doença o Eculizumabe foi o medicamento que por todo esse tempo controla a doença autoimune dele., Negativo: A cada 15 dias ele precisa pedir dispensa no serviço para deslocar até o local da infusão, isto já ocasionou transtorno em empregos, sendo que já existe no mercado medicamento que dará ao paciente essa liberdade no tratamento com a mesma qualidade.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que a incorporação do medicamento ajuda com que os pacientes tenham mais qualidades de vida, ajudando com o medicamento oral que é prático para que não precise de ficar indo fazer infusões de 15 em 15 dias onde a maioria dos pacientes tem quer ir longe onde tem o medicamento, as vezes trazendo transtorno e evitando até mesmo o deslocamento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessidade não atendida de pacientes já expostos ao tratamento disponível no SUS e que mantém hemólise e necessidade de transfusão por anemia sintomática	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Medicamento oral, que controla hemólises de escape, com melhora da anemia e da qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: Não há	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Bom medicamento, foi o, Primeiro aprovado para tratamento de HPN e mudou a história dos pacientes., Negativo: Alguns pacientes são refratários ou tem resposta pobre com eculizumabe	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou estudante de medicina e acompanho minha mãe, paciente de 53 anos, vivendo com HPN em uso de eculizumab. Além de custoso o processo de uso de medicação endovenosa, é necessário de um alicerce maior de medicações no hall do sus para que esses pacientes possam ter uma terapêutica para além do eculizumab, quando esse não é efetivo na hemólise, anemia e transfusões	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab , Positivo: Redução na quantidade de transfusões e no DHL, Negativo: Uso endovenoso	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilitaria muito, a infusão do eculizimab e muito desconfortável, uma vez que o paciente depende muito de veias para infusão e toma muito tempo.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "HOVE UM SALTO IMPORTANTE NO TRATAMENTO DE HPN COM A INCLUSAO DO ECULIZUMABE E , ATUALMENTE, COM A INCLUSAO DE RAVULIZUMABE, EXCELENTES INIBIDORES DE COMPLEMENTO TERMINAL, OS QUAIS MUDAM A VIDA E SOBREVIDA DE PACIENTES COM HPN. ENTRETANTO, SABE-SE QUE GRANDE PARTE DESTES PACIENTES EVOLUEM COM ANEMIA RESIDUAL CAUSADA PRINCIPALMENTE POR HEMOLISE EXTRAVASCULAR (QUE OCORRE PELO COMPLEMENTO PROXIMAL) E, UMA VEZ QUE ESTES PACIENTES TENHAM ESSA CONDIÇÃO, HA NECESSIDADE DE OUTROS TIPOS DE MEDICAMENTOS QUE BLOQUEIEM COMPLEMENTO PROXIMAL	2ª - OU SEJA, NA ATUALIDADE, NAO HÁ QUALQUER MEDICAMENTO A NIVEL SUS QUE CONTEMPLE ESTA SITUAÇÃO. DESTA FORMA, A INCORPORACAO DE IPTACOPANA PARA PACIENTES COM ANEMIA RESIDUAL MESMO COM INIBIDOR DE C5 ECU/RAVU É MEDIDA ESSENCIAL NO TRATAMENTO COMPLETO A NIVEL PUBLICO AO PACIENTE COM HPN. ATUALMENTE ESTAMOS COM UM PACIENTE EM USO DE IPTACOPANA VIA ACESSO EXPANDIDO EXATAMENTE COM ESTA SITUAÇÃO: JA VINHA EM USO DE ECU HA ANOS, COM BOA RESPOSTA INICIAL POREM DESENVOLVIMENTO DE HEMOLISE EXTRAVASCULAR COM HB EM TORNO DE 7 E ALGUNS EPISODIOS DE TRANSFUSAO .COM 1 SEMANA DE USO DE IPTACOPANA, O HB QUE ERA DE 7.4 SUBIU PARA 9.6 G/DL E COM UM MES DE USO ATUAL, ESTABILIZOU EM 11.7 G/DL, COM REDUÇÃO IMPORTANTE DE FADIGA E MAL ESTAR (PACIENTE DISSE QUE NAO SENTE MAIS CANSAÇO AO CAMINHAR E QUE HA 1 ANO NAO CONSEGUE VARRER TODA A SUA CASA, O QUE CONSEGUIU FAZER COM 2 SEMANAS DE MEDICAMENTO). DESTA FORMA, RATIFICO A SÁBIA DECISAO PRELIMINAR DA CONITEC NA INCORPORACAO DE IPTACOPANA PARA PACIENTES COM ANEMIA RESIDUAL POR HEMOLISE EXTRAVASCULAR EM VIGENCIA DE INIBIDOR DE C5 ECU/RAVU. "	3ª - AINDA NAO VI NENHUM ASPECTO NEGATIVO.	4ª - Sim	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que o atual tratamento seja muito invasivo e medicamento ingerido melhoraria a qualidade de vida do paciente	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica hematologista, trabalho em um hospital universitário que é referência para HPN, acompanhamos 14 pacientes atualmente com a doença. , O único tratamento existente é quinzenal e intravenoso, e os pacientes precisam vir de longas distâncias para a infusão, perdendo dias de trabalho e com custos pessoais de transporte e alimentação, muitas vezes precisando de acompanhante. Além disso, muitos mantem anemia e fadiga, sendo muito importante outras opções de medicamentos, principalmente por via oral.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Foi a primeira opção terapêutica para HPN., Negativo: É venoso, quinzenal,e não resolve muitos casos de anemia e fadiga.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento domiciliar traz mais qualidade de vida ao paciente	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 02/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou uma das pacientes que toma esse medicamento pelo grupo de estudos e estou muito bem com esse medicamento., Minha qualidade de vida mudou significativamente e todos os meus exames também.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, Positivo e facilidades: As taxas dos meus exames melhoraram todas., Sem anemia, principalmente. Estou mais disposta e levando uma vida normal !!!, Negativo e dificuldades: Nenhum., , Apenas tomar o medicamento de 12h em 12h impreterivelmente.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Me sinto bem melhor com o Iptacopan e os índices de meus exames de sangue, melhoraram muito., Negativo: Fazer as infusões no hospital a cada 15 dias., Ter dificuldade com convênio , importação do medicamento, liberação da Anvisa, etc. Isso tudo fazia com que eu tinha alguns atrasos para tomar o medicamento e piorava o meu quadro de saúde., , E quando eu recebia a infusão, eu tinha dor de cabeça.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 02/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médico hematologista com responsabilidade em conjunto pelo ambulatório de HPN na universidade federal de São Paulo. Atualmente temos cerca de 35 pacientes com o diagnóstico de HPN, a grande maioria em tratamento com eculizumabe via SUS. Além disso, em conjunto com outros centros, avaliamos cerca de 100 pacientes tratados com eculizumabe em uma coorte., Cerca de 10% dos pacientes em tratamento apresenta hemólise extravascular com anemia significativa. Destes, alguns tiveram acesso ao iptacopana como estudo clínico e uso compassivo, e tiveram expressiva melhora laboratorial e de qualidade de vida. Observamos aumento de até 7g/dL logo após introdução da droga. Este pequeno grupo se beneficia da medicação.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência com iptacopana., Positivo e facilidades: Melhora da anemia secundária à hemólise extravascular, com posologia segura e efetiva. E não houve evento adverso importante., Negativo e dificuldades: Não percebi	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com outros inibidores de complemento, como eculizumabe e ravulizumabe, com excelente resultado em 85% dos casos, mas uma pequena minoria mantém hemólise com anemia Hb <10., Positivo: Resposta sustentada, boa segurança. , Negativo: Hemólise residual com anemia em alguns paciente , Posologia endovenosa, aumentando tempo e custo para deslocamento, diminuindo qualidade de vida e afetando a força de trabalho. , A posologia endovenosa traz ainda impacto negativo no custo ao serviço de saúde, no caso do nosso serviço.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento muito importante para portadores de HPN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN, doença rara, traz consigo uma doença grave, com risco de vida ao paciente, e também afeta muito na qualidade de vida dos pacientes. Hoje com o tratamento atual com eculizumabe teve uma melhora muito importante nos desfechos da doença, porém ainda tem muitos pacientes que mantem anemia com hb <10, por conta de hemólise extravascular. Além disso, ainda afeta muito a qualidade de vida desses pacientes, já que devem comparecer ao hospital para receber a medicação EV cada 2 semanas, atrapalhando assim muitas vezes na vida social do paciente, não conseguindo emprego, gastando dinheiro com transporte, e afetando a parte psicológica do paciente. , Eu sou a favor da incorporação do iptacopana, que tem mostrado resultados muito bons no estudo Apply, com melhor resposta, mantendo pacientes com hb>10, diminuindo a hemólise extravascular e intravascular, sem maiores toxicidades sendo bem tolerado, e com boa segurança, e além disso também com posologia oral, diminuindo as vindas ao hospital, permitindo uma melhor qualidade de vida, até possibilitando paciente aos empregos e diminuindo custos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Resposta boa a anemia, Melhora na qualidade de vida, Melhora na OS e sobrevida, Boa tolerância e segurança, Negativo: Muitos casos ainda mantem anemia, Muitos casos ainda com crises vasculares, Infusão quinzenal, atrapalhando na vida social do paciente e impactando no custo de transporte do mesmo	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Iptacopana oferece benéfico aos pacientes que tem HPN, doença grave e com intenso comprometimento da vida desses pacientes. Concordo com a aprovação da medicação pelo SUS considerando a efetividade comprovada em parar com a hemólise causada pela doença. Que, além de oferecer benefício na via de administração oral, favorece os pacientes que moram longe dos centros e facilita a adesão ao tratamento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por tratar-se de medicação via oral, trará grande melhora na qualidade de vida dos pacientes que hoje fazem infusões quinzenais com o Eculizumabe.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle da doença, possibilitando uma vida melhor., Negativo: A necessidade de deslocamento quinzenal ao centro de infusão.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação em questão traz diversos benefícios ao paciente, por exemplo qualidade de vida, tratamento residencial, tratamento via oral, melhor eficácia da medicação frente a outra disponível pelo SUS.	2ª - Sim, Qual: Palestras sobre a medicação, pois além de paciente sou da área da saúde., Positivo e facilidades: Tratamento residencial e via oral., Negativo e dificuldades: Medicação deve ser administrada de 12/12h em horário rigoroso.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle parcial da doença., Negativo: Necessidade de ir ao hospital que é em outra cidade de 15/15 dias, gerando custos elevados, além disso é uma medicação via EV que gera dor e ansiedade nos pacientes, pois além da medicação também é necessário coleta de exames de sangue, causando fibrose e aumentando a dor da punção venosa.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica hematologista, atuando no Centro de Referência em Hematologia de São José do Rio Preto (FUNFARME/FAMERP), onde coordeno o ambulatório de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Atualmente, acompanho dez pacientes com diagnóstico confirmado da doença., , Entre esses pacientes, oito apresentam resposta terapêutica considerada satisfatória ao tratamento atualmente disponível no SUS — o eculizumabe, inibidor do componente C5 do complemento. No entanto, dois pacientes sob meu acompanhamento apresentam resposta subótima, com persistência de anemia devido hemólise extravascular (secundária ao uso do inibidor de C5), alta necessidade transfusional e complicações clínicas relacionadas à sobrecarga de ferro decorrente do uso crônico de concentrados de hemácias. Esses casos representam uma necessidade clínica não atendida e demonstram claramente o papel fundamental dos inibidores da via proximal do complemento, como o iptacopan, no manejo da HPN., , Destaco, ainda, o impacto logístico e social do regime terapêutico atual. Um dos pacientes reside a 119 km de distância e necessita deslocar-se quinzenalmente ao centro de referência para administração do eculizumabe, além de comparecer para consultas médicas, realização de hemogramas e transfusões. A introdução de uma medicação oral, como o iptacopan, possibilitaria um regime de acompanhamento mais espaçado — estimativamente, visitas trimestrais após o ajuste inicial —, com grande impacto positivo na qualidade de vida, redução de custos indiretos e melhor adesão ao tratamento., , O segundo paciente encontra-se em situação de privação de liberdade. As múltiplas vindas ao serviço de saúde, decorrentes da necessidade de transfusões frequentes, implicam elevado gasto público com transporte e escolta policial, o que poderia ser significativamente reduzido com a adoção de uma terapia oral eficaz.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe - inibidor de C5, Positivo: Sem dúvida, o eculizumabe representou um marco no tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), alterando de forma significativa a história natural da doença. Seu uso promoveu uma redução expressiva da hemólise intravascular, principal mecanismo responsável pelas manifestações clínicas e complicações associadas à HPN, com consequente melhora da sobrevida e da qualidade de vida dos pacientes. Vivemos, hoje, outro cenário clínico após sua incorporação. , Negativo: Por atuar de forma distal na cascata do complemento, o bloqueio do componente C5 impede a formação do complexo de ataque à membrana, mas não interfere na ativação proximal da via. Com isso, ocorre deposição de fragmentos de C3 na superfície das hemácias, levando à hemólise extravascular no baço — um fenômeno que não faz parte da fisiopatologia original da HPN, mas que surge como consequência do próprio mecanismo de ação dessa classe medicamentosa. Desta maneira, mesmo o paciente com hemólise intravascular controlada e, portanto, com redução da mortalidade, pode manter anemia grave em até 20% dos casos.	4ª - Além das evidências clínicas e do impacto social já informados anteriormente, gostaria de reforçar os dados dos estudos APPLY-HPPN e APPOINT-HPPN. Considero que estes estudos demonstram de forma robusta e ética a superioridade do iptacopan em comparação com a melhor terapia disponível (inibidores de C5), especialmente em pacientes com persistência da anemia após uso de Eculizumab. Esses estudos apresentaram melhora significativa dos níveis de hemoglobina, redução das transfusões e controle sustentado da hemólise, resultados que já vêm sendo confirmados em dados de vida real publicados recentemente., , Dessa forma, reitero a importância da incorporação do iptacopan no SUS como uma alternativa terapêutica fundamental para pacientes com HPN que não alcançam resposta adequada aos inibidores de C5, e como estratégia para ampliar o acesso, reduzir desigualdades regionais e otimizar o uso de recursos públicos.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A mesma deve ser incorporada no SUS pois oferece uma vivencia mais digna para o paciente, concedendo liberdade a quem recebe o tratamento e fornecendo melhores condições de vida ao paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris/Eculizumabe, Positivo: Controle da doença, Negativo: Tratamento endovenoso, semanal no começo e de 15/15 dias posteriormente	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento traz esperança e oportunidade para quem está lutando contra a doença. Os relatos dos pacientes são muito positivos com relação à mudança de vida e auto estima.	2ª - Sim, Qual: Depoimento de pacientes, Positivo e facilidades: Os relatos dos pacientes são muito positivos com relação à mudança de vida e auto estima., Negativo e dificuldades: Não identifiquei.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença ultra rara que até poucos anos não tinha tratamento pelo SUS, com a incoorporação do eculizumabe houve uma melhoria nesse tratamento porém não abrangeu todos os pacientes com esta condição. Ainda há pacientes com hemólise de escape que o medicamento não consegue bloquear, sendo uma necessidade não atendida ainda pelo governo federal. Como esse medicamento bloqueia uma via diferente da cascata do complemento os estudos mostram melhor resultados tanto na hemólise quanto na qualidade de vida dos mesmos., Considerando se tratar de doença ultra rara e que ele entraria apenas na falha do inibidor de C5, acredito que o impacto orçamentário não seria tão expressivo pelo numero reduzido de pacientes que utilizariam o produto.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: No meu centro tratador de HPN a maior parte dos paciente responderam de forma satisfatória ao medicamento, porém ainda tenho ao menos 2 que apresentam hemólise de escape, permanecendo com necessidade transfusional. E uma falha no pcdt do eculizumabe é que o mesmo não contempla dose extra de resgate nas crises conforme é orientado nos consensos., Negativo: Não consegue bloquear a hemólise de escape	4ª - "Risitano AM, Kulasekararaj A, Röth A, et al. "Oral Iptacopan Monotherapy in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria". (abstract/full-paper 2025) ScienceDirect., Link: ScienceDirect abstract: Este estudo de fase III (em publicação/registro) relata que Iptacopan monoterapia melhorou marcadores como Hb, LDH, evitou transfusões, inclusive em pacientes não-tratados previamente com inibidores de complemento., Relevante para melhoria da hemólise de escape (pois via alternativa) e aumento de Hb., Meta-análise: "Iptacopan Efficacy and Safety to Treat Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria – A systematic review and meta-analysis." Cureus. 26 Aug 2024.Ibrahim M. Dighiri	5ª - Amal O. Almutairi
Profissional de saúde 03/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Com a inibição do complemento terminal os pacientes deixaram de morrer, com redução de 38% dos óbitos , principalmente as custas de eventos tromboembólicos esses causados pela depleção do ácido Nítrico, um potente vasodilatador. Mas inibindo o complemento terminal	2ª - a parte proximal ainda fica ativa levando a hemólise extravascular.,pelo sistema reticulo endotelial, que às vezes pode serr incapacitante e dependente de transfusões. Devido a isso devemos ter uma inibição do complemento proximal aprovada., O danicoplan tem que manter o eculizumab onerando grandemente o sistema. portanto o ipitacoplana deve ser aprovado para hemólise extravascular sintomática "	3ª - infusão a cada 15 dias .os pacientes viajam por horas até o centro de referencia para a infusão., Hemólise extravascular, A hemólise de escape pode ser reduzida com inibição do C5 com meia vida maior e também pela inibição do complemento proximal	4ª - Não	5ª - Sim

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhorar qualidade de vida dos portadores	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma entidade rara, e por isso, as tecnologias não estão disponíveis para o total tratamento. Tendo em vista que constituição prevê que saúde é direito de todos, e que o SUS tem como princípio a equidade, é obrigatório que esses pacientes tenham acesso a essas tecnologias	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: É uma medicação que tem uma boa resposta na maioria dos pacientes levando a remissão da doença e grande sobrevida dos pacientes., Negativo: É possível observar que ainda existe refratariedade. Alguns pacientes, que não se entende bem o porquê, não responde ao tratamento com o eculizumabe.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisamos acelerar o acesso dos pacientes com HPN a todo e qualquer novo tratamento, uma vez que essa é uma condição de saúde rara, que requer cuidados específicos. Minha filha teve diagnóstico da doença aos 13 anos e evoluiu para transplante de medula. Eu sei o que é ter uma doença como HPN e lutar contra o tempo, sem perspectiva de futuro. O brasileiro merece ter acesso a novas tecnologias de diagnóstico, tratamento e medicamentos de ponta. Somos um país de excelência médica e avançar na atualização desses recursos é fundamental para garantir qualidade de vida e melhorr em saúde pública. Por favor, nos ajudem a ter acesso! Obrigada	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: "Minha filha tomou biológicos que não tiveram efeito na regressão da doença, Positivo: fez quimioterapia", Negativo: Nenhum pois não obtive a regressão da doença	4ª - Não	5ª - Sim
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, o medicamento em questão deve ser encorporado ao sus devido a alguns fatores, dentre eles:, 1) medicamento oral, reduz necessidade de lugar em centro de infusão e logística dos pacientes, com melhor adesão ao tratamento e maior facilidade e praticidade no manejo dos casos, 2) o medicamento é superior em relação ao controle da hemolise, atuando melhor contra o escape hemolitico dos paciente em uso de outros inibidores de complemento, 3) o preço do medicamento é inferior ao medicamento atualmente usado.	2ª - Sim, Qual: iptacopan, Positivo e facilidades: adesão e superioridade em resgate da hemolise de escape nos pacientes que utilizaram o tratamento. , Negativo e dificuldades: indisponibilidade da medicação fora de protocolos de estudo clinico.,	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: bom controle da hemolise inicial dos pacientes, Negativo: falha em controle de hemolise de escape, , ausencia de resposta em alguns pacientes, necessidade de centro de infusão para realização do medicamento	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou médica hematologista, faço ambulatório de HPN e temos pacientes que mesmo em uso regular de eculizumabe evolui com anemia por hemólise extravascular. Esse tipo de anemia só pode ser tratada através de inibição proximal do sistema complemento. Portanto é muito importante para a melhora da qualidade de vida e produtividade dos paciente que ainda tem anemia e muita fadiga, a incorporação do iptacopana ao SUS - dessa forma os pacientes apresentam uma melhora clinica e laboratorial importante.	2ª - Sim, Qual: Tenho hoje 2 pacientes em uso de iptacopana há 2 meses., , Positivo e facilidades: 1) uma paciente, mesmo em uso regular de eculizumabe, cursava com uma anemia mantida de Hb de 9-9,5 e após 2 meses de uso da medicação tem Hb de 12.4, já sem anemia e com melhora importante da qualidade de vida e disposição nas atividades diárias., 2) um paciente , mesmo em uso regular de eculizumabe, estava apresentando hemólise de escape frequente após 10-12 dias do uso de eculizumabe, recebendo transfusões de concentrado de hemácias frequentes - a cada 7-10 dias. Está em uso de iptacopana há 2 meses. Não recebe transfusão desde que iniciou uso da medicação e apresentou um aumento de mais de 5 pontos de Hb. Passou de Hb de 7,5 para 12,7. Paciente agora voltou a trabalhar - não trabalhava há anos porque não conseguia. Não refere mais cansaço ou fadiga. Um ganho enorme em qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: Medicação com excelente resposta e sem efeitos adversos importantes - até o momento, sem aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Eculizumabe mudou a estória natural da HPN, ela proporcionou uma sobrevida igual a população geral, ou seja, pacientes com HPN em uso dela, morrem como a população sem a doença. Grande ganho. , Negativo: Os pacientes agora não morrem mais de HPN, porém a medicação tem necessidades não atendidas, como a necessidade de ser realizada a cada 2 semanas, ou necessidade de doses maiores ou com intervalos menores, e o efeito colateral de provocar a anemia por hemólise extravascular. O eculizumabe é uma medicação boa, mas já temos drogas mais novas e mais eficientes, que melhoram de forma substancial a vida dos pacientes com HPN.	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes que apresentam hemólise extravascular secundária ao uso de inibidores do complemento terminal devem ter acesso a pelo menos uma opção de inibidor do complemento proximal — seja o iptacopan (anti-fator B), o pegcetacoplan (anti-C3) ou o danicopan (anti-fator D)., Todas essas alternativas são terapeuticamente válidas e deveriam estar disponíveis, permitindo ao médico selecionar a opção mais adequada para cada paciente, levando em consideração perfil de efeitos adversos, conveniência posológica e custo global do tratamento.	2ª - Sim, Qual: Tanto com o eculizumabe quanto com o uso de inibidores de C3, já tive experiência clínica direta e observei resultados notáveis, com melhoras rápidas e expressivas no quadro clínico dos pacientes., De forma semelhante, relatos de colegas e pacientes em uso de iptacopan têm demonstrado elevação significativa dos níveis de hemoglobina em menos de duas semanas, acompanhada de importante melhora na qualidade de vida, Positivo e facilidades: Aumento da hemoglobina e melhora importante da qualidade de vida. , Negativo e dificuldades: Não tive	3ª - Sim, Qual: Pegcitacoplan subcutânea co melhora importante da hemoglobina , Positivo: Aumento da hemoglobina e melhora da hemólise intravascular, com qualidade de vida alta , Negativo: O tratamento, administrado por infusão subcutânea, mostrou-se seguro e bem tolerado, sem intercorrências relevantes ou eventos adversos graves., Em resumo, a experiência clínica foi extremamente positiva, com ótimos resultados terapêuticos e excelente aceitação pelos pacientes.	4ª - "Estudi recente atualizando os dados de segurança e eficácia , , Risitano AM, Kulasekararaj AG, Scheinberg P, Röth A, Han B, Maciejewski JP, Ueda Y, de Castro CM, Di Bona E, Fu R, Zhang L, Griffin M, Langemeijer SMC, Panse J, Schrezenmeier H, Barcellini W, Mauad VAQ, Schafhausen P, Tavitian S, Beggiato E, Chew LP, Gaya A, Huang WH, Jang JH, Kitawaki T, Kutlar A, Notaro R, Pullarkat V, Schubert J, Terriou L, Uchiyama M, Lee LWL, Yap ES, Frieri C, Marano L, de Fontbrune FS, Gandhi S, Trikha R, Alashkar F, Yang C, Liu H, Kelly RJ, Höchsmann B, Lawniczek T, Mahajan N, Solar-Yohay S, Kerloëguen C, Ferber P, Kumar R, Wang Z, Thorburn C, Maitra S, Li S, Verles A, Dahlke M, de Latour RP. Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal haemoglobinuria: final 48-week results from the open-label, randomised, phase 3 APPLY-PNH trial in anti-C5-treated patients and the open-label, single-arm, phase 3 APPOINT-PNH trial in patients previously untreated with complement inhibitors. Lancet Haematol. 2025 Jun	5ª - Sim
Interessado no tema 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A vida desses pacientes com HPN é muito restrita pois com o tratamento atual incorporado, os pacientes ficam dependentes de ir ao centro médico a cada 14 dias, impossibilitando assim que possam trabalhar.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Tirou o paciente da iminência de morte por trombose, Negativo: Cerca de 40% dos pacientes não respondem completamente ao tratamento, precisando ainda fazer transfusões de sangue	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento no SUS evoluiu muito com a incorporação de eculizumabe e ravulizumabe, po´rém a hemólise extravascular que acomete alguns pacientes reduz qualidade e expectativa de vida dos pacientes. Incorporar algum medicamento com outro mecanismo de ação pode atender estes pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe. Crovalimabe., Positivo: Redução dos níveis transfusionais, melhora de sintomas constitucionais. , Negativo: Alguns paciente continua,m necessitando de transfusão devido hemólise extra-vascular que não é tratada pelo eculizumabe nem pelo ravulizumabe.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Entendo que a nova medicação traz benefícios e qualidade de vida para os pacientes de HPN que hoje são tratados exclusivamente com o Eculizumabe, e que mesmo assim ainda enfrentam anemia crônica e eventuais necessidades de transfundir.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Diminuição dos riscos de trombozes e estabilidade da HPN., Negativo: Permanência da anemia e riscos de hemolises de escape e necessidade de transfusões de sangue.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trabalho em um centro infusor de tratamento com eculizumab e 25 dos pacientes apresentam resposta parcial e/ou falha com o tratamento atual,, Que mantem uma fadiga incapacitantes e/ou necessidade de transfusão espoerádicas., Então é necessario a incorporação de uma medicação para controle da hemolise extravascular e a via do complemento mais central	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, anti-C5, Positivo: Mudou a sobrevida dos pacientes, 75% melhoraram muito com o tratament, A sobrevida global passou de 50% para 97% com tratamento, Negativo: Infusão a cada 14 dias em manter hemolise extravascular em 25% dos pacientes	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho essencial que, na medida certa, tecnologias sejam incorporadas, a fim de ajudar!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Trata se de medicação na modalidade oral para o cuidado de pacientes com doenca rara., A atual opção de tratamento requer infusoes hospitalares o que dificulta o acesso além de piorar a qualidade de vida dos pacientes que a cada 15 dias "" perdem"" 1 dia para comparecer ao hospital para as infusoes. Destaca se ainda os pacientes que moram muito longe dos serviços de infusão, "	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Foi a primeira opção disponível para o tratamento da HPN e portanto sem dúvida com benefícios em relação aos pacientes que nao tratavam., Negativo: Tive um paciente que teve reação adversa e foi necessario suspender a medicação. Nao tinha outra opcao na ocasiao e o paciente ficou sem tratamento evoluindo com trombose pulmonar. , E importante ter acesso às opções disponíveis para o tratamento.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito necessária a implantação do medicamento para melhor qualidade de vida dos pacientes	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento Iptacopana deve ser incorporado ao SUS pois este vai facilitar a vida dos pacientes portadores de HPN de várias maneiras que descrevo abaixo;. Paciente de HPN atualmente tem que visitar quinzenalmente o serviço médico pra realizar infusão. Com Iptacopana o paciente terá a facilidade de um tratamento oral diário que poderá trazer a normalidade na vida desse paciente que poderá realizar suas atividades (trabalho, família e lazer) sem impedimentos e sem a necessidade de visitas frequentes ao serviço médico;. A Iptacopana se mostra eficaz e segura com comprovações científicas realizando o controle completo da HPN evitando Heloisa extra e intravascular;. Além disso com a incorporação da Iptacopana os pacientes podem ter um nova opção de tratamento para a HPN;. Também acredito que pela Iptacopana ser um tratamento oral isso vai facilitar a distribuição do medicamento além de gerar economia a SUS pois por ser oral não há necessidade de infusão (custo de cadeira enfermagem, distribuição e acondicionamento refrigerado).,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para termos uma melhor condição de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para além dos resultados em ensaios clínicos, até a via de administração (Oral, ante EV) tem o potencial de dar aos pacientes menos desconforto ao tratamento, na medida do possível. Incorporar ao SUS é dar mais uma arma para o combate à HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação em questão supre uma necessidade não atendida no contexto SUS, principalmente para pacientes com hemólise de escape extravascular que persistem com anemia significativa mesmo com o tratamento com anri-C5 com grande impacto em qualidade de vida e funcionalidade em pacientes que fazem parte da PEA.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab. , Positivo: Melhora da hemólise intravascular, Negativo: Altos índices de hemólise de escape.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do iptacopana ao SUS é crucial. Como utilizo o eculizumab, organizo minha vida, trabalho e demais atividades em função das infusões, que no meu caso ocorrem entre 11 e 13 dias, pois apresento sintomas (crise hemolítica, dores, dificuldade para engolir e agravamento imenso da anemia) mais cedo que o comum. Além disso, tenho problemas em fazer infusões quando há greves, a capela de preparação do medicamento estraga ou há feriados acima de 1 dia, pois os hospitais podem fechar. Normalmente se eu chegar ao 14º dia sem eculizumab, apresento todos os sintomas acima, o que dificulta o decorrer da minha rotina e é um risco para minha sobrevivência. Ainda, minha hemoglobina, no melhor, fica perto de 9 g/dL, mas rapidamente baixa para 6,5 ou até 3 g/dL, quando tenho alguma infecção, um simples resfriado ou diarreia. Nesses casos é necessário fazer transfusão. Há períodos em que a hemoglobina reduz mesmo sem infecções, o que me traz cansaço, eventual necessidade de transfusão (já fiz 2 bolsas semanais por mais de 1 ano) e dificuldades para trabalhar. Já tive complicações no trabalho por ter que faltar frequentemente para fazer as infusões e já reprovei em exames admissionais por isso. Adicionalmente, com a necessidade de receber infusões por toda a vida (já as faço há 15 anos), as veias se desgastarão cada vez mais, o que requisitará outras opções ainda piores para receber a medicação, como implantar um catéter. Com a iptcopana, retomar a rotina sem a necessidade de estar quase semanalmente no hospital é um enorme ganho, inclusive pelo potencial aumento da hemoglobina para níveis próximos de 12g/dL, o que aumentará minha capacidade física para ter uma vida menos impactada pela enfermidade.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: O eculizumab é muito bom, foi a primeira solução para a doença e permitiu conviver com a doença., Negativo: Ainda que seja muito bom, é invasivo e naturalmente precederia outras medicações ainda melhores, tanto em tratamento em si quanto em facilidade para implementá-lo. Ir ao hospital fazer infusão a cada 11-13 dias é sem dúvida a maior limitação de quem recebe essa medicação. O desgaste das veias e hemólise extravascular são outras dificuldades que o tratamento com o eculizumab apresenta/não soluciona.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação da medicação no SUS trará benefícios aos pacientes, melhorará o dia a dia desses pacientes!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A minha esposa convive com HPN ha mais de 15 anos e utiliza o Eculizumabe há mais de 10 anos. É certo que o eculizumabe a ajuda em muito, trouxe alívio aos sintomas e riscos graves e algum conforto, porém, ela ainda não tem plena qualidade de vida e a HPN ainda traz muita dificuldade em virtude das hemólises no C3. Ela ainda sente muita limitação, como cansaço e dores intensas quando ocorre hemólise, o que pode ser resolvido com o eptacopan. Portanto, desejo a incorporação para que minha esposa e os demais pacientes possam ter uma vida mais próxima do normal, poderem voltar ao mercado de trabalho com atuação plena, viajar, etc.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito importante para pacientes com HPN.	2ª - Sim, Qual: Já tive experiência com inibidores com complemento e outras vias em minha prática clínica, Positivo e facilidades: Redução do grau de hemólise, melhora do grau de anemia, Redução da hemoglobínúria, aumento dramático da qualidade de vida, Negativo e dificuldades: Pouca hemólise de escape, dose-dependente e de acordo com a farmacocinética da droga	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Os mesmos, Negativo: Acima	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Opção terapêutica para os caso de hemoglobínúria paroxística noturna sem resposta satisfatória no que tange controle de hemólise - anemia hemolítica	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: controle satisfatório da doença, no meu paciente em específico houve controle adequado da doença hemolítica, Negativo: não observei	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa portadora de doença rara e sei a da diferença que faria no tempo e qualidade de vida de cidadãos que necessitam do uso	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As terapias atualmente disponíveis para HPN transformaram o curso da doença ao controlar a hemólise intravascular por meio do bloqueio de C5, reduzindo de forma expressiva o risco de trombose e mortalidade. No entanto, a maioria dos pacientes permanece anêmica devido à hemólise extravascular, ainda com fadiga, redução da produtividade e impacto importante na qualidade de vida. O iptacopana representa uma evolução nesse tratamento, pois atua de forma mais proximal na cascata do complemento, controlando tanto a hemólise intra quanto a extravascular. Sua incorporação ao SUS permitiria que os pacientes tivessem controle hematológico mais completo, melhora dos níveis de hemoglobina, proporcionado ao pacientes melhora da anemia, consequentemente melhora da fadiga, bem-estar e capacidade de manter suas atividades cotidianas, refletindo um benefício clínico e social relevante., Além disso, o fato do iptacopana ser um tratamento oral é um grande avanço, especialmente em um país tão grande como o Brasil, onde muitos pacientes precisam viajar longas distâncias, às vezes por muitas horas ou até dias, para receber a medicação em centros especializados. Há pessoas que chegam a perder dias de trabalho, em algumas regiões como no Norte, o deslocamento chega a ser feito até de barco. https://abrale.org.br/noticias/panorama-da-hpn-no-brasil-relato-dos-pacientes-e-perfil-sociodemografico/ , , O uso do iptacopana poderia aumentar a equidade no acesso ao tratamento, permitindo que os pacientes tenham o mesmo padrão de cuidado, independentemente de onde moram.	2ª -	3ª -	4ª - "No estudo APPLY-PNH: a iptacopana foi superior ao SOC com inibidores de C5, com independência transfusional em ~94,8% vs 25,9% no controle, aumento clinicamente relevante da hemoglobina, normalização de LDH e melhora de fadiga/qualidade de vida. , No estudo de extensão de 2 anos (REP – APPLY/APPOINT): os dados do programa de extensão mostram manutenção dos ganhos de eficácia e perfil de segurança consistente até 24 meses, com Hb ~12 g/dL, LDH ?1,5× LSN na maioria dos pacientes e melhoras em FACIT-F preservadas, sem novos sinais de segurança relevantes (pôster enviado)., No estudo de mundo real (UK PNH National Service): 20 pacientes que migraram para iptacopana, foi observada uma elevação média de Hb (?10,9?12,6 g/dL aos 3 meses), LDH médio ~0,9× LSN, redução expressiva de transfusões (com 1 transfusão por aplasia após início) e ausência de eventos trombóticos/infecções graves	5ª - 390:994–1008 (APPLY-PNH).
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado para dar mais qualidade de vida aos que precisam	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Iptacopan é uma medicação de grande importância para o paciente com HPN que mantém anemia e qualidade de vida ruim apesar do tratamento disponível no SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Melhora da anemia e da qualidade de vida, diminuição do risco de morte, Negativo: Não é eficaz quando o paciente mantém anemia por hemólise extra vascular	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma doença rara e que atinge um número considerável da população, sabemos que a incorporação no SUS, seria benéfica a muitos!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporado pelo SUS porque o medicamento é uma solução para que portadores de HPN vivam com mais dignidade e sem que precisem realizar exames de sangue e transfusões com alta frequência em caso de hemólise - algo que gera desgastes tanto físico quanto emocional uma vez que ele corre o risco de não conseguir as bolsas por parte de doadores dependendo do estoque dos bancos de sangue.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tudo que for para melhorar a qualidade de vida é importante	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara que limita muito a qualidade de vida do paciente quando não for bem acompanhada, avaliada e tratada. Dessa forma, a incorporação do Iptacopana é importante para o tratamento do paciente HPN. Considerando a excelente resposta com redução de transfusões e qualidade de vida, a administração via oral melhora a logística para a realização da medicação, ainda mais, em um país tão extenso e poucos centros especializados em fornecer a aplicação endovenosa,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa resposta porém paciente fica limitado nas infusões a cada 15 dias, muito deles, moram longe do centro de infusão, Negativo: Dificuldade logística	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, trabalho com pacientes portadores de HPN e acredito que eles terão uma melhor qualidade de vida com a incorporação deste novo medicamento, pois não precisarão mais vir ao hospital constantemente para receber medicação endovenosa, além de diminuir o custo hospitalar.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: medicamentos de uso endovenoso, Positivo: diminuir a vinda ao serviço de saúde, pois a medicação é de uso oral, Negativo: não se aplica	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhorar suporte e qualidade de vida, com redução de sintomas e evitar óbitos precoces.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento oral trará mais comodidade aos pacientes pois muitos residem em regiões longe dos centros de aplicação. Considerando também os dados do DataSus, temos mais de 700 pacientes dependentes da infusão,. Se a nova terapia beneficiar metade dos pacientes em tratamento, poderíamos otimizar estas 350 cadeiras disponíveis para atender outras doenças que não permitem o tratamento oral é dependem da aplicação em centros, que muitas vezes fica comprometida pela falta de horários/profissionais.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pessoas com essa doença sofre muito e precisam ter acesso aos medicamentos para terem melhor qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A presente contribuição representa a contribuição oficial do Hemocentro da Unicamp - Campinas/SP, representado pelo CNPJ da Universidade Estadual de Campinas (CNPJ 46.068.425/0001-33). Todo o embasamento teórico da presente contribuição encontra-se no documento que será anexado à mesma., , Resumo da contribuição:, O Hemocentro da Unicamp parabeniza a Conitec pelo relatório preliminar que recomenda a incorporação do Cloridrato de Iptacopana para tratamento no SUS de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores de C5 e que mantenham Hb $\geq$ 10g/dL. Acreditamos que esta incorporação trará grandes benefícios à assistência aos pacientes com HPN no contexto do SUS nos casos em que o paciente persistir com necessidade transfusional ou fadiga que impacta sua qualidade de vida e capacidade laboral, desde que os aspectos farmacoeconômicos sejam sustentáveis ao serviço público de saúde.	2ª - Sim, Qual: Cloridrato de Iptacopana., Positivo e facilidades: Atualmente, o Hemocentro da Unicamp presta assistência a 18 pacientes com diagnóstico de HPN hemolítica, sendo que 17 deles iniciaram tratamento com anti-C5, alguns deles com resposta insatisfatória aos inibidores de C5 (de acordo com parâmetros clínicos e avaliação de resposta pelos critérios EBMT). Através do programa de acesso compassivo da Novartis, pudemos trocar o tratamento de três pacientes para o Cloridrato de Iptacopana. Até o momento, os pacientes demonstraram ótima tolerabilidade, sem eventos adversos e excelente resposta ao tratamento. Observamos apenas um episódio de hemólise de escape de leve intensidade no período em um dos pacientes, causada por um quadro infeccioso. , , Caso 1. Homem, 21 anos, em uso prévio de Eculizumabe, mantendo Hb $\sim$ 8,0 g/dL, com LDH controlado e quadro de hemólise extravascular. Referia muita fadiga e comprometimento cognitivo. Morava a cerca de 4h do centro de infusão. Após troca para Iptacopana, apresentou normalização dos valores de hemoglobina e resolução completa do quadro de fadiga. Houve grande melhora da qualidade de vida por se tratar de medicação oral, evitando o deslocamento para as infusões. Evolução da Hb abaixo. , , Caso 2. Mulher, 39 anos, em uso prévio de Ravulizumabe, mantendo Hb $\sim$ 8,0g/dL, com LDH controlado e quadro de hemólise extravascular. Referia muita fadiga e comprometimento cognitivo e das atividades laborais. Após troca para Iptacopana, houve normalização dos valores de hemoglobina e resolução completa do quadro de fadiga e da capacidade laboral, com normalização do FACIT-F. Evolução da Hb abaixo., , Caso 3. Homem, 32 anos, em uso prévio de Eculizumabe, mantendo Hb $\sim$ 8,0-9,0g/dL, com LDH controlado e quadro de hemólise extravascular. Referia muita fadiga e intolerância a exercícios físicos (era muito ativo). Após troca para Iptacopana, houve normalização dos valores de hemoglobina e resolução completa do quadro de fadiga. Evolução da Hb abaixo. , , , , Negativo e dificuldades: Não observamos aspectos negativos nos casos em que utilizamos a Iptacopana. Por se tratar de medicação oral, no entanto, é necessário que haja trabalho multiprofissional junto aos pacientes para que se reforce a necessidade de boa adesão ao tratamento, considerando o risco de hemólise de escape em casos de baixa adesão.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Ravulizumabe., Positivo: O Eculizumabe e o Ravulizumabe são inibidores terminais do complemento que reduziram drasticamente a mortalidade dos pacientes com HPN ao inibir a hemólise intravascular, reduzindo as taxas de eventos trombóticos, de doença renal e hipertensão pulmonar. Ademais, também levam a melhora dos sintomas relacionados a distonia de músculo liso na maioria dos pacientes. Por fim, foram capazes de reduzir significativamente a necessidade transfusional de parte relevante dos pacientes., Negativo: "Embora os inibidores de C5 tenham resultado em redução substancial na mortalidade, através da redução da incidência dos eventos vasculares maiores, permanecem importantes necessidades não atendidas para parte relevante dos pacientes com HPN. Os inibidores da via terminal do complemento (anti-C5) podem levar a um quadro de hemólise extravascular crônica, mediada pela fagocitose esplênica de hemácias opsonizadas por fragmentos de C3, que continuam sendo gerados pela ativação da via proximal do complemento (via alternativa). Como consequência, cerca de 70 a 80% dos pacientes com HPN permanecem anêmicos a despeito do tratamento, sendo que 20% deles mantêm necessidade transfusional (Risitano AM et al. Front Immunol. 2019	4ª - Risitano et al. Blood. 2009	5ª - Sica M et al. J Hematol Oncol. 2017 Jun 19
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pode melhorar a qualidade de vida dos pacientes afetados.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Não tenho opinião formada, Aguardando resposta sobre a tecnologia	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Um importante medicamento para melhorar a qualidade de vida dos pacientes que portam HPN.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há necessidade não atendida para pacientes portadores dessa condição que apresentam hemólise de escape intra e/ou extravascular com as medicações disponíveis no SUS até o momento . A Iptacopana supre essa necessidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O auxílio em doenças raras é dever da sociedade, e o governo deve imbuir esforços para fornecer o tratamento adequado da melhor forma possível.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento apresenta dados de literatura com prognóstico bastante positivo no desfecho dos pacientes que utilizam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ajuda a salvar mais vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma doença rara com muitos problemas, um deles é a falta de conhecimento dos médicos em geral. Qualquer medicamento que possa nos estabilizar e melhorar nossa qualidade de vida deve ser bem vindo, principalmente por não ser todos os pacientes que respondem da mesma forma aos tratamentos disponíveis. A opção de não precisar ir a cada 15 dias ao médico é uma das melhoras da qualidade de vida. Precisamos disso para viver e viver bem.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, .	2ª - Sim, Qual: Medicamentos, Positivo e facilidades: N, Negativo e dificuldades: N	3ª - Sim, Qual: N, Positivo: N, Negativo: N	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito ser muito relevante.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo com declaração acima	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tenho	5ª - Nao tenho
Profissional de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna, evoluem com gravidade e com sintomas importantes causados pela anemia que prejudicam a qualidade de vida desses pacientes , o acesso a medicação via sistema público é um avanço tecnológico imensurável para esses pacientes, devido o fato da medicação atuar inibindo o fator B da via alternativa do complemento. Essa diferença em relação a outras terapias, evita não só a hemólise intravascular, mas também a hemólise extravascular mediada por C3, problema ainda observado nos pacientes em uso de terapias anti-C5. Ensaios clínicos mostraram melhor controle da hemoglobina, menor necessidade transfusional e melhor qualidade de vida, com a conveniência adicional de ser uma medicação oral, reduzindo dependência de infusões hospitalares.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Disponibilidade , Negativo: Manutencao de necessidade transfusional e manejo de intercorrencias c essas medicacoes	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser adicionada no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Xolair, Positivo: Cura Uce, Negativo: Nada	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 05/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, o medicamento oral vai favorecer muito a minha condição, pois não precisarei mais me deslocar até o hospital. Além disso, não vou perder horas de trabalho para ir tomar o remédio no hospital. Em caso de viagens, o remédio pode ser levado junto, evitando que o tratamento seja interrompido ou a dose atrasada.	2ª - Sim, Qual: tomo eculizumabe (Soliris) desde fevereiro de 2024., Positivo e facilidades: "Sobre o Soliris:, Minha hemoglobina fica acima de 10. Não sinto mais os sintomas da HPN como cansaço, fadiga e dores abdominais. Hoje minha aparência é mais saudável e minha pele e olho não estão mais pálidos ou amarelo., Principalmente: não fiz mais transfusão de sangue, Negativo e dificuldades: se eu pego um resfriado ou renite não evolui mais para sintomas mais graves., Graças a Deus, estou muito bem com a medicação, somente morro de medo de frequentar o ambiente hospitalar, pois infelizmente as pessoas não usam máscaras (mas eu uso). , Não corro mais risco de trombose. Parei de tomar anticoagulante."	3ª - Em termos da minha saúde com o Soliris, só tem pontos positivos. , No entanto, os meus exames mostram que eu continuo tendo hemólise. As vezes tenho um pouco de taquicardia., , Quanto ao processo de infusão, o Hospital de Base está muito bem preparado para as infusões. , , Como ponto negativo, somente a rotina de ficar na fila para a dispensação do remédio na Farmácia de alto custo, todo começo de mês. , Também é um ponto negativo o tempo disponibilizado para ficar uma tarde inteira a cada quinze dias para a infusão.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar de HPN ser uma doença rara, é uma condição que traz elevado impacto clínico para o paciente. Apesar de existirem outros tratamentos disponíveis para HPN, Iptacopana é o primeiro tratamento oral disponível o que pode trazer facilidades quanto a adesão ao tratamento do paciente, também diminuição de custos operacionais pensando que não será necessário tratamentos infusionais o que trará ainda mais qualidade de vida ao paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento vai ser muito importante na vida de quem convive com HPN. Pois é um medicamento já testado e com resultado excelente.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan , Positivo e facilidades: A partir do momento que comecei com a medicação, melhorou muito meus exames, hemograma, fadigas e efeitos colaterais a quem convive com a doença rara HPN. , Também por ser um medicamento oral. Facilitando muito a vida de quem precisa desse medicamento., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Soliris , Positivo: Não precisei mais fazer transfusões de sangue. Parei de ter hemólise. , Negativo: Ainda eu continuei sentindo bastante fadiga. Porém varia de pessoa a pessoa.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor da incorporação de novos tratamentos para melhorar a qualidade de vida do paciente e além disso, muitas vezes novas terapias diminuem o custo daquele paciente para o governo.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Creio que a incorporação deste medicamento no SUS irá ajudar muito a vida dos pacientes com HPN que hoje precisa se deslocar grandes distâncias para receber a infusão do ecuzimabe o que não resolve completamente os sintomas dos pacientes. O paciente sofre com a jornada atual e ainda não fica bem.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Ecuzimabe, Positivo: Esse medicamento ajudou no tratamento do paciente, principalmente no risco de trombose., Negativo: Com ecuzimabe o paciente entra num ciclo pesado de infusões a cada 15 dias, tendo que se fazer grandes deslocamentos perdendo dia de trabalho, e muitas vezes continua com cansaço que acaba prejudicando a vida de um modo geral, principalmente no trabalho, pois precisa se ausentar com frequência. O remédio ajuda mais não atende todas as necessidades do paciente, principalmente a anemia que é um grande limitador na sua vida.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação com ótima eficácia para melhora da hemólise e qualidade de vida para os pacientes com HPN.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu creio que a Iptacopana deve ser incorporada porque vai atender uma necessidade que hoje nos limita muito, pois seu mecanismo de ação bloqueia o hemólise extravascular que continua acontecendo e nos causando anemia., Essa anemia é muito ruim, nos deixa muito cansado, um cansado limitante, mesmo depois de tomar a infusão do Eculizumabe ela não passa., Além disso a questão de termos que fazer longos deslocamentos até o local da infusão, fazendo com que muitas vezes tenhamos dificuldade de parar em empregos., Nossa jornada não é fácil. porque viajamos a cada 15 dias e continuamos com sintomas da doença, principalmente anemia constante., E essa anemia nos deixa com uma cansaço que nos limita demais, tem dias que não consigo caminhar dentro de casa com facilidade. Sou Jovem e gostaria muito de viver como meus amigos, poder passear, jogar bola etc. e não consigo de tanto cansaço que	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Com Eculizumabe minha doença esta sendo tratada, não vou morrer porém quero viver e não sobreviver , Negativo: Com Eculizumabe vivo uma rotina de viagens constantes e já não aguento mais as picadas para infusão, e mesmo depois de tomar a medicação continuo a sentir um cansaço limitante.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de uma opção terapêutica via oral, para uma doença com escassez de tratamentos. , Ainda que rara, a HPN precisa de tratamento garantido aos pacientes, A medicação mostrou melhorar qualidade de vida e controlar complicações.	2ª - Sim, Qual: o uso de iptacobana controlou adequadamente a doença num paciente com HPN que falhava com uso de eculizumabe, por apresentar hemólise de escape frequente, Positivo e facilidades: maior controle da doença, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, Qual: ravulizumabe, Positivo: controle maior das complicações, melhorando qualidade de vida, Negativo: posologia	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O remédio traz qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Sim faço uso do medicamento., Positivo e facilidades: Hoje eu tenho uma vida normal., Negativo e dificuldades: No início eu tive dor muscular mais com tempo passou não foi por conta do tratamento.	3ª - Sim, Qual: Com eculizumab só tive pontos negativos., Positivo: A crise de hemólise a necessidade de transfusão não tenho mais, Tenho vida normal., Negativo: Não tenho o que reclamar.	4ª - A incorporação desse novo remédio será ótimo para nós pacientes, de HPN e uma medicação que nos dar qualidade de vida.	5ª - O estudo nos dá esperança de ter nossa vida de volta, para pequenas coisas que não conseguia fazer e hoje faço graças ao estudo dessa medicação iptacopan .
Interessado no tema 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor da incorporação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A FUNDAÇÃO HEMOPA VEM SE POSICIONAR DE FORMA TAMBEM FAVORAVEL A INCORPORACAO DO MEDICAMENTO IPTACOPANA PARA PACIENTES QUE PERSISTEM COM ANEMIA RESIDUAL MESMO EM VIGENCIA DE INIBIDOR DE C5 ECU OU RAVULIZUMABE CAUSADA POR HEMOLISE EXTRAVASCULAR. TAL SITUACAO CLINICA, QUE PODE OCORRER EM ATE 20% DOS PACIENTES COM HPN EM USO DE IC5, SÃO DRAMÁTICAS E, ATUALMENTE, NÃO HÁ QUALQUER MEDICAMENTO DISPONIVEL NO SUS CAPAZ DE RESOLVER TAL CONDIÇÃO, HAVENDO QUEDA DE QUALIDADE DE VIDA, NECESSIDADE DE TRANSFUSAO E AINDA MAIS SOBRECARGA NO ATENDIMENTO HEMATOLOGICO DE NOSSA INSTITUIÇÃO. ATUALMENTE TEMOS UM PACIENTE EM USO DESTE MEDICAMENTO, HÁ CERCA DE 40 DIAS, COM EXCELENTE RESULTADOS SEGUNDO NOSSA EQUIPE, OCORRENDO INCREMENTO DE HEMOGLOBINA, MELHORA DE SINTOMAS COMO FADIGA, AUSENCIA DE TRANSFUSAO E EXCELENTE ADESAO. CONSIDERA-SE AINDA QUE SE TRATA DE MEDICAMENTO VIA ORAL , SENDO EXCELENTE VIA QUANDO SE LEMBRA DA IMENSIDAO DO ESTADO DO PARÁ, ALEM DA SIMPLICIDADE EM SUA ADMINISTRAÇÃO. DESTA FORMA, PELO ACIMA EXPOSTO, RATIFICAMOS, COMO REFERENCIA DE HEMATOLOGIA E TRATAMENTO DE PACIENTES COM HPN, A NECESSIDADE DA INCORPORAÇÃO DO MEDICAMENTO ANTI FATOR B	2ª -	3ª -	4ª - ESTÃO DESCRITAS CONFORME ANEXO	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pessoas sem condições financeiras precisam do produto.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Entendo que por ser administrado via oral irá melhorar significativamente a qualidade de vida do paciente, pois não haverá necessidade dele se deslocar a um centro de infusão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Meu neto faz tratamento com Eculizumabe., Positivo: O Eculizumabe mantém a saúde dele e possibilita uma vida quase normal., Negativo: O Eculizumabe precisa ser administrado a cada 15 dias em centros de infusão, isso limita o paciente caso queira realizar uma viagem e também compromete meio período de cada dia de infusão.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero uma excelente opção para o paciente portador de HPN que falhou à terapia com eculizumab. Situação está de necessidade médica não atendida. Doença muito grave e letal., Além disso, aparece com melhor posologia dando conforto e qualidade de vida aos pacientes. Eficácia e segurança comprovada em estudos de qualidade.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar do eculizumabe controlar a hemólise intravascular, muitos pacientes permanecem anêmicos devido à hemólise extravascular mediada por C3. O iptacopan é o primeiro tratamento oral que atua na via proximal do complemento (fator B), controlando tanto a hemólise intra quanto extravascular., Nos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH (fase 3, NEJM 2023), o iptacopan demonstrou aumento significativo da hemoglobina, alta taxa de independência transfusional e melhora da qualidade de vida, incluindo em pacientes já em uso de inibidores de C5. A via oral reduz deslocamentos a centros de infusão, transfusões e internações, podendo gerar otimização de recursos do SUS. Diante da eficácia superior, do ganho funcional para o paciente e do potencial impacto econômico positivo, sou favorável à incorporação do iptacopan no SUS.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma medicação válida, se for considerado os custos e o risco-benefício associado ao seu uso, principalmente no cenário de controle da anemia, hemólise intra e extravascular, tendo indicações até em primeira linha de acordo com Up to date em casos selecionados, além de ser uma medicação oral.	2ª -	3ª -	4ª - O iptacopan é um inibidor oral do fator B (FB), o primeiro da sua classe, que pode reduzir a hemólise extravascular, mantendo o controle da hemólise intravascular em pacientes tratados com um inibidor de C5. Apesar de eu não ter tido contato com o iptacopan, estudos comprovam os benefícios em pacientes com HPN, sobretudo com hemólise de escape (hemólise extravascular), e uso em primeira linha em pacientes com HPN. Uma das vantagens que a medicação tem é ser oral, embora com baixa meia vida (20 horas). Utilizado na dose de 200mg, 2 vezes ao dia. O que pode facilitar a adesão do paciente ao tratamento. , A maioria dos medicamentos atuais no PCDT são medicações intravenosas que requerem deslocamento do paciente para realizar a medicação (exemplo: eculizumabe e ravilizumabe) em ambiente hospitalar. , Alguns dados do up to date, revelam que pode ser um agente de escolha em primeira linha para pacientes, com ressalvas para pacientes com alto risco de trombose, pacientes com tendência a infecções ou com risco de engravidar. Também apresenta efeitos colaterais como outras medicações da classe, como risco de infecção para n. meningitidis e outros germes encapsulados, além de diarreia e alterações no perfil lipídico., São aprovados pela EMA e pelo FDA para o tratamento da HPN hemolítica., Embora não tenha uma experiência com a medicação, os estudos trazem perspectivas	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				interessantes do ponto de vista de tratamento para essa condição rara, mas com grande relevancia clinica pela morbidade e mortalidade associadas. , Usado como base, o Up to date, para realização do texto, considerando-se a indicação da medicação para HPN (acesso em 06/11/25).	
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou hematologista e trabalho num centro de referência para o tratamento de HPN (Hemocentro de São José do Rio Preto/ Hospital de Base/Faculdade de Medicina de São José do rio Preto). Temos paciente, em uso de eculizumabe, que estão dependentes de transfusão e a doença fora de controle devido a hemólise extravascular. , A incorporação do Iptacopan no SUS, será um passo importante para os pacientes que não estão bem controlados com inibidor de C5. A tecnologia está disponível, aprovada e se mostra eficiente. Os estudos de fase 3, como o APPOINT-PNH e o APPLY-PNH, demonstraram que o iptacopan permitiu que mais de 80% dos pacientes alcançassem independência transfusional, com melhora sustentada da hemoglobina e redução marcante dos marcadores de hemólise, além de uma segurança consistente., O iptacopan, sendo um tratamento oral, devolve autonomia, reduz a dependência hospitalar e melhora a adesão terapêutica. O paciente que mora longe do centro tratador terá mais independência no seu tratamento e maior adesão., O iptacopan tem potencial para reduzir custos indiretos — menos transfusões, menos hospitalizações, menor necessidade de deslocamentos e infusões — e melhorar a produtividade dos pacientes., Assim, o iptacopan além de ser eficiente, traz ao paciente melhoria da qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento eficaz para pacientes que não alcançam controle adequado da hemólise com os tratamentos atuais, melhor adesão ao tratamento, redução da necessidade de infusões intravenosas frequentes e mais acesso em regiões com menor infraestrutura hospitalar. No final das contas, falamos de melhoria da qualidade de vida, redução de complicações graves como trombose e potencial diminuição de custos indiretos relacionados à hospitalizações e transfusões.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, PARA ALGUNS PACIENTES COM HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA PODE-SE TER CONTROLE INADEQUADO DA DOENÇA. ISSO OCORRE POIS HÁ UM CONTROLE DA HEMÓLISE INTRAVASCULAR MAS A UM AUMENTO DA OPSONIZAÇÃO DE C3 O QUE LEVA A HEMÓLISE INTRAVASCULAR. O RESULTADO É A ANEMIA E MANUTENÇÃO DE SINTOMATOLOGIA.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: APRESENTA UMA BODA TAXA DE RESPOSTA COM BOM CONTROLE DA DOENÇA, Negativo: EM UMA PARCELA DE PACIENTES NÃO HÁ MELHORA DA ANEMIA DEVIDO A PRESENÇA DE HEMÓLISE EXTRAVASCULAR	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais conforto e comodidade para o paciente.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho faz tratamento para HPN com infusões a cada 15 dias. A medicação via oral trará melhora na qualidade de vida dele.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O Eculizumabe permite que meu filho tenha um quadro clínico estável, mantém sua hemoglobina dentro dos parâmetros de referência e afasta a possibilidade de complicações da doença, como por exemplo a trombose., , Negativo: A infusão com o Eculizumabe ocorre a cada 15 dias em ambiente hospitalar, feito através de infusão. Isso compromete a rotina do paciente.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais qualidade de vida para o paciente, o período ser maior para fazer a medicação	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os remédios são fundamentais para que as pessoas com HPN tenham uma vida digna e longa	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ajuda muito agente que nao tem condicoes ,e um tratamento adequado ,melhorano sempre dano Alivo ao tomar o medicamento.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, HPN.., Positivo e facilidades: Melhorei muito,quando passei a tomar mim sentir bem melhor.., Minha plaqueta so andava alcilano ,sempre tinha que tomar bolsa de sangue ,pra melhorar.., Um medicamento que faz parte de uma terapia que pertence à classe dos anticorpos monoclonais, tendo como princípio ativo o eculizumabe. A ação da medicação se dá através da ligação com a fração C5 do complemento, inibindo a ativação do complemento terminal., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Não tenho opinião formada, Não tenho opinião tendo em vista que nao sei o que é tecnologia de avaliação	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu defendo a incorporação do remédio oral Fabhata, iptacopana, no SUS.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com doenças rara e grave, com necessidade não atendida em tratamento., Muitos pacientes residem longe do centro de infusao com dificuldade de aderir ao tratamento infusional, permitindo com medicação oral independência transfusional e melhora da qualidade de vida	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A proposta de incorporação do iptacopana (Fabhalta®?) ao Sistema Único de Saúde representa um avanço significativo no cuidado de pacientes adultos com hemoglobínúria paroxística noturna (HPN), especialmente aqueles que apresentam resposta subótima ao tratamento com inibidores de C5 e níveis de hemoglobina persistentemente baixos (<10 g/dL)., , O iptacopana é o primeiro medicamento oral aprovado para HPN, com mecanismo de ação voltado à inibição seletiva da via alternativa do complemento, oferecendo uma abordagem terapêutica inovadora e potencialmente mais eficaz para pacientes que não alcançam controle adequado da hemólise com os tratamentos atuais., , Além dos benefícios clínicos, a administração oral pode melhorar a adesão ao tratamento, reduzir a necessidade de infusões intravenosas frequentes e ampliar o acesso em regiões com menor infraestrutura hospitalar. Isso é especialmente relevante no contexto do SUS, onde a logística de medicamentos intravenosos pode representar uma barreira ao cuidado contínuo., , A avaliação técnica da Conitec destaca que o iptacopana demonstrou melhora nos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões e controle da hemólise extravascular, com perfil de segurança aceitável. Embora o impacto orçamentário ainda esteja em análise, a incorporação pode ser justificada pela melhoria da qualidade de vida, redução de complicações graves como trombose e potencial diminuição de custos indiretos relacionados à hospitalizações e transfusões., , Portanto, a incorporação do iptacopana no SUS é uma medida promissora, especialmente para pacientes refratários ao tratamento padrão, e deve ser considerada com base em critérios de efetividade clínica, segurança, custo-efetividade e equidade no acesso.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento que vai trazer aumento na qualidade de vida dos pacientes portadores de HPN, medicamento de administração oral que reduz o risco de infecção de corrente sanguínea, a longo prazo pode reduzir os custos no serviço de saúde relacionados a terapêutica endovenosa, além de disponibilizar mais vagas para outros paciente que necessitam ainda ocupar os leitos e poltronas dos ambulatorios.	2ª - Não	3ª - , Redução de custos nos serviços de saúde	4ª - Ainda não tive a experiência prática.	5ª - , Risco de infecção de corrente sanguínea
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sem opinião	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento extremamente importante para qualidade de vida de pessoas com a condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença potencialmente muito grave e é necessario uma alternativa terapeutica aos pacientes que nao respondem ao tratamento com eculizumabe., Alem disso, a posologias oral melhora a qualidade de vuda dos pacientes.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incorporado por se um medicamento para pessoa se manter viva e com saúde e ser um medicamento de difícil acesso a população Brasileira	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes da Bahia sofrem com a distância até o centro de infusão dos medicamentos venosos. A forma oral vai facilitar a adesão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Aumento da Sobrevida dos pacientes , Negativo: Infusão quinzenal, Distância da moradia até o centro de infusão, paciente continua apresentando fadiga, paciente tem	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do iptacopana no SUS trará um medicamento resolutivo, seguro, , especialmente para pacientes refratários ao tratamento padrão, com grande facilidade de administração por ser oral.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe. , Positivo: Controle de hemólise na maioria dos casos., Negativo: Necessidade de infusão quinzenal em polos específicos pré estabelecidos, muitas vezes a quilômetros de distância da residência do paciente. Possibilidade de hemólise de escape e falha terapêutica.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda tecnologia é bem vinda para novas descobertas!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A minha irmã sofre de uma doença que necessita dessa medicação para viver, é uma medicação com valores absurdamente caros, impossível de comprar no particular.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O aumento das opções de medicamentos no SUS facilita o tratamento de diferentes condições e sintomas que a HPN traz. Além de reforçar a facilidade do acesso à medicação, visto que hoje muitas pessoas precisam se dirigir até a cidade mais próximas a cada 15 dias. , O único tratamento existente hoje no Brasil é caro, de difícil acesso e com um tempo curto para tomar. O iptacopana surgiria como um novo medicamento que age em diferentes áreas do sangue, dificultando as hemólises constantes., O fato de ser um medicamento oral, resolveria o problema de locomoção, diminuiria os gastos hospitalares de infusões, diminuiria a quantidade de pessoas nos hospitais e mudaria a vida dos pacientes de HPN com menos hemólises e menos idas aos hospitais, aproximando os pacientes de uma vida normal.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A minha tia depende desta medicação para viver, e a medicação é de valor extremamente caro, impossível de comprar no particular.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhora a Qualidade de vida dos pacientes	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Creio que com a deliberação pelo Conitec mais pacientes poderão ser beneficiados com um tratamento seguro e eficaz.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O produto em questão foi testado em estudos de fase III robustos e indicativos de segurança e eficácia da medicação para controle da HPN. Além disso, por possuir mecanismo de ação diferente do tratamento atual, ele endereça as necessidades não atendidas pela inibição do C5, inibindo a via alternativa e corrigindo as hemólises intra e extra vascular, além da comodidade posologia de ser uma medicação via oral. Na minha opinião de especialista deve ser incorporado ao SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, ravulizumab, pegcetacoplan , Positivo: Suporte adequado a pacientes com doenças raras e graves. , Negativo: Não incorporação de tecnologias que na minha opinião deveriam ter sido incorporadas.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que devemos possibilitar o melhor tratamento possível para todas as pessoas	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A GNC3 é uma doença rara, grave e o iptacopan e uma importante alternativa para o tratamento, até então inexistente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença rara com somente uma opção terapêutica pelo sus. Sem cobertura de tratamentos para pacientes que não respondem de forma adequada a esse tratamento inicial	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo com a recomendação preliminar, pois precisamos de tratamentos que melhorem a convivência e a qualidade de vida dos pacientes que não tem resposta completa com os inibidores de c5 disponíveis no SUS.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento, vai trazer mais qualidade de vida aos pacientes, e vamos ter mesmo risco de infecções, uma vez que vamos tomar a medicação em casa	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O medicamento me deu qualidade de vida, Negativo: Ponto negativo é está sempre em ambiente hospitalar, para fazer a medicação, aí estamos sempre exposto a infecções	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto apoio à incorporação da iptacopana no rol de medicamentos do SUS, no CEARF, para o tratamento de pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL., O tratamento atualmente disponível pelo SUS é o Eculizumabe, administrado por via EV a cada 15 dias e padronizado pela CEARF no Pará. Embora eficaz, esse regime impõe grandes desafios logísticos e sociais, especialmente para os pacientes que vivem em regiões de difícil acesso, como na Amazônia. O deslocamento frequente até os centros de referência implica longas viagens, custos adicionais, desgaste físico e emocional, além da necessidade de lidar com burocracias para renovação de exames e atualizações de prescrição. Esses fatores muitas vezes comprometem a adesão ao tratamento e impactam negativamente a qualidade de vida., Por ser termolábil o Eculizumabe requer controle rigoroso de temperatura durante o armazenamento e transporte, além de manipulação adequada. Tais exigências aumentam o risco de perdas e dificultam o manejo em locais onde a infraestrutura é limitada, realidade frequente nas cidades do interior da Amazônia., Estudos clínicos recentes demonstram que a iptacopana proporciona elevação consistente dos níveis de hemoglobina, reduz de forma significativa a necessidade de transfusões sanguíneas e melhora a qualidade de vida, que relatam diminuição da fadiga e maior disposição para atividades cotidianas. Ensaios clínicos APPLY-PNH e APPOINT-PNH evidenciam perfil de segurança favorável e excelente tolerabilidade ao uso contínuo, reforçando sua eficácia e segurança., Por ser uma medicação oral, a iptacopana representa um verdadeiro avanço terapêutico, promovendo autonomia, conforto, adesão e equidade, especialmente entre os pacientes amazônidas. Sua incorporação ao SUS simboliza não apenas inovação clínica, mas também justiça social e regional, fortalecendo o princípio da universalidade do cuidado	2ª - Sim, Qual: Iptacopana , Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida dos pacientes, maior adesão aos tratamentos, maior expectativa de vida. Elevação da Hemoglobina para níveis de 10mg/dl +/- em poucos dias após o início do tratamento, Negativo e dificuldades: Não recebi relatos sobre aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: "Eculizumabe 300mg , Positivo: Ultomiris 300 mg/3mL", Negativo: Adesão ao tratamento, descentralização e eliminação da necessidade de judicialização. Redução no número de transfusões sanguíneas por paciente.	4ª - responsabilidades redobradas para o farmacêutico sobre o gerenciamento quantos a documentação para a geração de APACs, gerenciamento quanto a reposição mensal de estoque, Além disso observa-se a ocorrência de transfusões sanguíneas em pacientes em uso dessas medicações (Eculizumabe e Ultomiris) numa frequência maior do que a que buscamos que é eliminar essa necessidade."	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação trouxe uma melhoria na qualidade de vida da minha filha como era antes de ser diagnosticada com a hemoglobinúria paroxística noturna, ela sentia muita fadiga e cansaço extremo. Hoje após um ano com esse tratamento oral, a iptacopana, ela praticamente não sente o cansaço anormal, sem falar que o hemograma dela melhorou entrando nos níveis normais de uma pessoa sem a enfermidade.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do iptacopana no SUS representa um avanço no tratamento dos pacientes portadores de HPN, principalmente nos pacientes refratários ou com resposta subótima ao tratamento disponível (inibidores de C5) e anemia persistente. , O iptacopana é o primeiro medicamento oral aprovado para HPN, com mecanismo de ação voltado à inibição seletiva da via alternativa do complemento, oferecendo uma abordagem terapêutica inovadora e potencialmente mais eficaz para pacientes que não alcançam controle adequado da hemólise com os tratamentos atuais., A administração oral também melhora a adesão ao tratamento, em detrimento das formulações injetáveis., A avaliação técnica da Conitec destaca que o iptacopana demonstrou melhora nos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões e controle da hemólise extravascular, com perfil de segurança aceitável. , Portanto, a incorporação do iptacopana no SUS é uma medida promissora, especialmente para pacientes refratários ao tratamento padrão, e deve ser considerada com base em critérios de efetividade clínica, segurança, custo-efetividade e equidade no acesso.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Única alternativa sus para controle de hpn, Negativo: Aplicação injetável. Alguns pacientes com manutenção da anemia	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com o tratamento com eculizumabe ou com o Ravulizumabe é frequente a opsonização das hemácias com C3, causando anemia devido a ocorrência de hemólise extravascular. O grau de anemia pode ser variável, podendo ocorrer necessidade transfusional. Então, apesar do controle da hemólise intravascular com os bloqueadores de C5, ainda temos uma necessidade clínica não atendida que é a anemia residual causada pela hemólise extra-vascular. , Com o Iptacopan (inibidor do fator B, na via alternativa do complemento) os estudos clínicos pivotais (APPLY e APPOINT) mostraram melhora hematológica robusta em relação aos bloqueadores de C5. Com ele ocorre controle eficaz e seguro da hemólise intra-vascular e extra-vascular, devido ao seu ponto de ação na porção proximal do complemento, que impede a geração de C3., Outros fatores importantes: , Um percentual de pacientes são moradores de outros municípios ou em bairros longe dos centros de infusão. Eles gastam um longo tempo com deslocamentos, além dos custos, perda de dias de trabalho ou de escola. O uso de medicação oral permitirá que o uso seja domiciliar, sem necessidade de deslocamentos, causando economia de gastos financeiros pelo paciente (alimentação e transporte) e pelo SUS (cadeiras para infusão, equipe de saúde, transportes da prefeitura),	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, Positivo e facilidades: A troca do bloqueador de C5 para iptacopana resultou em:, Correção rápida da anemia., Queda acentuada dos reticulócitos, refletindo menor destruição de hemácias., Eficácia laboratorial evidente já nas primeiras 2 semanas., Elevação acentuada da pontuação na escala FACIT na semana 12 de uso do Iptacopan. Evoluiu de 30 para 51 pontos na escala FACIT), Isso sugere que o paciente tinha hemólise extravascular residual com o tratamento com bloqueador de C5, mas que foi suprimida após o bloqueio proximal da via alternativa do complemento com iptacopana, resultando em melhora expressiva da qualidade de vida, Paciente deixou de necessitar grandes deslocamentos para chegar ao centro de infusão, Paciente tinha grande dificuldade de acesso venoso. Como a medicação é oral, deixo de necessitar de punção venosa, , Negativo e dificuldades: Não observei nenhum aspecto negativo, exceto pelo risco infeccioso aumentado por germe encapsulado. Ressalto o cuidado em vacinar para meningococo ACWY e B, e para pneumococo e a recomendação de vacinar para Haemophilus, ,	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Ravulizumabe, Positivo: Controle eficaz da hemólise intra-vascular ocasionando redução dos riscos de eventos trombóticos e melhora da sobrevida. , Redução das transfusões de sangue e melhora na qualidade de vida., Perfil de segurança já conhecido a longo prazo., A possibilidade de usar eculizumabe em gestantes, , Negativo: Os pontos negativos estão relacionados com a ocorrência de hemólise extra-vascular pois o bloqueio somente da porção terminal, causa opsonização por C3 nas hemácias levando a anemia residual, reticulocitose e , parte dos pacientes fazem anemia importante e alguns precisam de transfusão de sangue. A literatura científica mostra que 20-25% dos pacientes fazem hemólise extra-vascular clinicamente significativa. , Carga de infusão com o eculizumabe, a cada 2 semanas . com o Ravulizumabe requer um numero menor de infusões venosas, a cada 8 semanas., Resistência genética rara num epítipo de C5, relevante em populações asiáticas., Risco infeccioso aumentado por germe encapsulado, sendo necessário a realização de vacinas.,	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes mais críticos precisam dessa inclusão para terem uma qualidade de vida minimamente adequada, saudável e controlada. Sem ela, atividade básicas de muito destes pacientes acabam sendo impossíveis de serem realizadas.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A inibição parcial do do C5 ou hiper expressão da hemólise extra vascular agrega morbidade ao paciente tornando imprescindível a inibição do sistema complemento em sua fase mais precoce.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Permite o uso durante a gestação , Negativo: Nem todos os pacientes alcançam resposta completa e o PCDT não permite aumento de dose do medicamento ou diminuição do intervalo entre as aplicações - que poderiam ser estratégias de resgate para estes pacientes.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ajudaria muito em uma melhor qualidade de vida para o paciente e a família!	2ª - Sim, Qual: Eculizuamabe , Positivo e facilidades: Melhor qualidade de vida, Negativo e dificuldades: O uso do medicamento é cada 14 dias indisponibilidade para fazer uma vida mais tranquila sin tantas idas para o hospital	3ª - Não	4ª - Pessoas estão tomando a nova medicação e estan muito bem seria justo todos os pacientes do sus poder ter acceso	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma amiga que faz o tratamento e é sofrido pra ela ter que ir aí hospital tomar medicamento infundido na veia., E este remédio por ser oral vai trazer qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Democratização ao acesso da saúde	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este remedio por ser oral, vai trazer principalmente qualidade de vida aos pacientes que hoje tem um unico medicamento que é infundido na veia e que tem que deslocar kms para receber o medicamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Foi o primeiro medicamento para HPN e salvou vidas., Negativo: Infusão na veia a cada 2 semanas	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Um medicamento oral pode facilitar a adesão por diversos motivos, como: ser indolor, dar autonomia ao paciente e não necessitar de profissionais de saúde e outras tecnologias para viabilizar a administração do produto.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Já tive experiências com o medicamento eculizumabe, Positivo: Curso da doença e expectativa de vida dos pacientes foi significativamente modificada, Negativo: Via de administração do medicamento ser endovenosa e com intervalo de 14 dias torna-se uma barreira para alguns pacientes. Além disso, pequenos atrasos no dia de infusão pode gerar transtornos significativos para a saúde dos usuários, que, em agluns caso, precisam se deslocar quilômetros de distância para chegar ao centro infusional.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação dessa nova tecnologia é fundamental para ampliar o acesso ao tratamento de pessoas com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Atualmente, faço infusões do medicamento a cada 15 dias em Juiz de Fora e moro em Alfenas, o que exige deslocamento de várias horas, perda de um dia de trabalho, custos com transporte e alimentação, além do risco de viagens longas e do desgaste físico., Uma alternativa que permita o uso domiciliar da medicação, como essa nova medicação em avaliação, traria mais liberdade, conforto e qualidade de vida, reduzindo o impacto da doença e do tratamento na rotina., Além disso, a HPN causa fadiga intensa e sintomas que comprometem a disposição e a produtividade. Ter um tratamento mais prático e menos desgastante pode fazer uma diferença enorme no bem-estar físico e emocional dos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência com o medicamento Soliris (Eculizumabe), utilizado no tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Recebo infusões intravenosas a cada 15 dias em Juiz de Fora., Positivo e facilidades: O Soliris foi fundamental para a estabilização da minha condição. Após iniciar o tratamento, tive melhora significativa dos sintomas, principalmente a fadiga e as crises hemolíticas e passei a ter muito mais qualidade de vida e segurança., O medicamento é altamente eficaz no controle da HPN, reduzindo o risco de complicações graves e permitindo uma vida mais próxima da normalidade., Negativo e dificuldades: Apesar da eficácia do Soliris, o principal ponto negativo é a necessidade de infusões quinzenais em um centro de saúde. Moro em Alfenas e preciso viajar até Juiz de Fora para receber o medicamento, o que envolve cerca de 7 horas de deslocamento, perda de um dia de trabalho, custos de viagem e desgaste físico e emocional., Esse processo é especialmente difícil para quem convive com a fadiga causada pela HPN. Além disso, a dependência de um hospital para o tratamento limita a autonomia do paciente e aumenta o impacto na rotina.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este remédio por ser Oral vai trazer qualidade de vida aos pacientes de HPN que não vão mais precisar ir aos Hospitais para fazer a infusão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Salvou vidas, pois por algum tempo ele foi o unico medicamento disponivel para tratamento., Negativo: Fazer infusão a cada 2 semanas	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Além de dar maior qualidade de vida em função de poder ser realizado o tratamento em casa ou em qualquer lugar, sem precisar se deslocar ate uma clinica ou hospital, este medicamento tem uma eficácia mais ampla que os que existem atualmente e pode ajudar pacientes que continuam tento problemas mesmo ja usando as medicações ja disponíveis.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação que melhora os níveis de hemoglobina, diminui sintomas de cansaço e aumenta sobrevida , com menos efeitos colaterais	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É extremamente importante que o medicamento esteja disponível pelo SUS para os portadores de doença rara.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Processo de importação atual do medicamento provocando atrasos significativos na infusão necessária.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação oral traria mais autonomia às pessoas portadoras de HPN. Pessoas produtivas não seria obrigadas a se manterem imóveis a espera de uma infusão., ,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Novo medicamento pode ajudar a amenizar o sofrimento do paciente.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas nao tem acesso a medicação, é responsabilidade do governo tornar acessível a todos que precisam	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Nao tenho experiência, mas acho importante ajudar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pessoas que usam medicamentos de uso contínuo frequente tem perda na qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo e facilidades: melhora na qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Não tem	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho umconhecido que toma a medicação. É importante para ele.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que deva ser incorporada no Sus	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não tenho experiencia	5ª - Não
Profissional de saúde 07/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que possa trazer inúmeros benefícios que outras terapias ainda não oferecem.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este medicamento é muito importante p várias pessoas	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, trabalho em serviço de referencia para HPN no atendimento direto a esses pacientes, hoje em dia, embora tenhamos opcoes que controlem a hemolise intravascular e aumentem a sobrevida dos pacientes, uma parcela significativa tem como consequencia anemia hemolitica extravascular sintomatica e com grande impacto na morbidade, qualidade de vida e produtividade. A iptacopana é um opçap que contorna o problema da anemia na HPN, mantendo a eficacia do controle das hemolises intra e extra vasculares. alem do beneficio de ser de posologia oral, a qual retira a necessidade de dispensação e aplicação de drogas parenterais, gerando economia de recursos e tempo livre de cadeias de infusao.	2ª - Sim, Qual: iptacopana, Positivo e facilidades: melhora expressiva da anemia e melhora da qualidade de vida e produtividade do paciente, Negativo e dificuldades: até o momento nenhuma	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, ravulizumabe, crovalimabe, Positivo: controle da hemolise intra-vascular, Negativo: alguns pacientes desenvolvem anemia extravascular imune, como consequencia do tratamento	4ª - "3. Röth A, et al., Iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria patients with residual anemia on anti-C5 treatment (APPLY-PNH): results from a randomized phase 3 trial., Lancet Haematology. 2023	5ª - 143(3):274–287., DOI: 10.1182/blood.2023021000, , ? Fase 3 em pacientes não tratados previamente (NCT04820530) – aumentos significativos de Hb e controle da hemólise., , 5. Röth A, et al., Long-term safety and efficacy of the oral factor B inhibitor iptacopan in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: pooled analysis of phase 2 and 3 trials., Blood Advances. 2024

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A tecnologia avaliada neste caso é um exemplo do tipo de incorporação que a Conitec deve priorizar, pois aprimora os quatro eixos da avaliação de tecnologias em saúde: clínico, organizacional, econômico e do paciente. Ela traz benefícios em todos esses aspectos, conforme apresentado no relatório preliminar de recomendação.?, , É fundamental que o SUS ofereça tratamentos eficazes, efetivos e seguros, sustentados por evidências clínicas robustas que comprovem vantagens em relação às terapias já incorporadas. Conforme demonstrado no ensaio clínico APPLY, o iptacopana mostrou superioridade em relação aos tratamentos disponíveis, atendendo a uma necessidade não atendida dos pacientes que apresentam resposta inadequada ao ecolizumabe e ao ravulizumabe (inibidores de C5 incorporados ao SUS)., , Além disso, as grandes dimensões territoriais do Brasil e o número limitado de centros de referência para a administração dos inibidores de C5 infusionais (ecolizumabe e ravulizumabe) fazem com que os pacientes em tratamento permaneçam dependentes de deslocamentos para administrar o medicamento, que, a depender da cidade de origem, podem ser longos, exaustivos e causar absenteísmo para a manutenção do tratamento. Dessa forma, essa monoterapia oral representa um avanço importante em termos de conveniência, logística e acesso, contribuindo para reduzir desigualdades e otimizar a equidade do sistema de saúde. Além disso, para os pacientes que convivem com fadiga e episódios de hemólise, a terapia oferece controle efetivo da doença e a possibilidade de retomar a rotina com qualidade e sem os impactos decorrentes da ausência de resposta terapêutica.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se do unico medicamento de uso oral disponivel para tratamento da hemoglobinuria paroxistica noturna., E particularmente util naqueles pacientes com baixa resposta aos inibidores de C5 e com niveis persistentemente baixos de hemoglobina	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Primeiro tratamento medicamentoso com eficacia sobre a hemoglobinuria parioxistica noturna., Ate entao, usava-se plasmaferese , com suas reconhecidas limitações e efeitos colaterais., O uso do medicamento mostrou melhora nos niveis de hemoglobina,, redução na necessidade de hemotransfusões, e controle , da hemolise intra extravascular, Negativo e dificuldades: Ate o momento nehum apecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo: tratamento medicamentoso com eficacia sobre a hemoglobinuria parioxistica noturna., Ate entao, usava-se plasmaferese , com suas reconhecidas limitações e efeitos colaterais., Negativo: medicação intravenosa, com dificuldades de infusão em varias areas, notadamente de abrangencia do SUS, devido a dificuldade logistica de uso do medicamento intravenoso	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Temos que oferecer uma alternativa terapêutica para estes pacientes com HPN. O curso da doença é invariavelmente desfavorável, e as medicações disponíveis não agregam melhora clínica para estes pacientes, no geral.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda tecnologia que for para salvar vidas deveria ser incorporada ao SUS.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A terapia com inibidores de C5, como o Eculizumabe, foi uma revolução para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Entretanto, cerca de 20 a 30% dos pacientes em uso de inibidores de C5 permanecem com quadro de anemia. Dentre esses paciente, uma parcela necessita do uso de inibidores de via alta de complemento para controle, especialmente para os pacientes que mantém necessidade de suporte transfusional de hemácias. Nesse sentido, a iptacopana atende essa parcela de pacientes que, atualmente, não possuem opção terapêutica disponível no SUS.	2ª - Sim, Qual: Pacientes em uso de iptacopana, Positivo e facilidades: Melhora dos níveis de hemoglobina, redução de necessidade transfusional, melhora de sintomas associados à anemia, comodidade para o paciente pela redução do número de infusões. , Negativo e dificuldades: Não presenciei nenhuma experiência negativa.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Crovalimabe, Positivo: Controle de anemia, melhora dos sintomas anêmicos e redução da incidência de trombozes, Negativo: Cerca de 20 a 30% dos pacientes mantém anemia, secundária à hemólise extravascular, alguns com necessidade de suporte transfusional.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, IMPORTANTE	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com o convívio com pacientes de HPN, inclusive sou um paciente que trata HPN, o tratamento com medicamento varia muito de paciente para paciente e para alguns pacientes foi notada um maior resultado positivo utilizando do Fabhalta (iptacopana) para o tratamento da HPN do que outros tipos de tratamento, sendo assim quanto mais opções disponíveis para os pacientes maior a chance de uma vida de maior qualidade ao chegar na opção correta com ajuda do medico em seu tratamento caso tenha ele disponível pelo SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O tratamento para pacientes com HPN via medicação é crucial na qualidade de vida do paciente, o quadro de cada um varia de pessoa para pessoa mas no meu caso me trouxe de volta ao mundo a possibilidade de voltar a fazer varias atividades onde não havia a menor possibilidade devido ao quadro delicado, por isso quanto mais opções houverem, maior a assertividade no tratamento para restaurar a qualidade de vida, Negativo: Nada a declarar	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A possibilidade de novas tecnologias e sobretudo por via mais amigável Colo a oral, pode dar conforto aos pacientes e melhoria da qualidade e mais sobrevida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acesso a saúde pública com medicamentos que dão qualidade de vida para pessoas necessitadas, deveria ser prioridade. Ainda mais se falando de um medicamento caro. Acredito muito na saúde pública do Brasil e creio que temos condições de fornecer o melhor para todos.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada para melhorar o atendimento as pessoas necessitadas	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada ao SUS, porque vi a melhora nos exames do meu filho em apenas 15 dias de uso, e a melhora na qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: IPTACOPANA, Positivo e facilidades: A melhora rápida nos sintomas da doença HPN do meu filho. O tratamento é feito em casa via oral, dando liberdade geográfica para estudar e trabalhar em qualquer lugar. Baixa internação hospitalar, não precisou mais de transfusão de sangue, melhorando sua qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Nenhuma.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: apenas não deixou o quadro agravar mais. , Negativo: Ausência a cada 15 dias dos estudos escolares, custo de viagem, pois tem que ser em centros especializados fora da cidade de residência. Efeito colateral, duração do remédio abaixo do tempo determinado até a próxima infusão, causando episódios de hemólise.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concorde com a incorporação do iptacopana para os pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna, que já fizeram uso de inibidor de C5 e mantém Hb <10. O iptacopana representa um avanço no cuidado do paciente com HPN visto a boa resposta na normalização da hemoglobina, melhorando as queixas de fadiga e impactando diretamente na qualidade de vida dos pacientes., Outro ponto importante é a facilidade de administração do medicamento, sendo administrado via oral, isso facilita a adesão ao tratamento e traz comodidade pros pacientes que moram distantes dos grandes centros, além de reduzir os custos associados ao transporte e mobilidade desses pacientes. ,	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Melhora dos níveis de hemoglobina, Melhora da queixa de fadiga, Melhora da qualidade de vida do paciente, , Negativo e dificuldades: Risco maior de infecções por germes encapsulados, prevenível com vacinação antes de iniciar tratamento	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa resposta na hemólise intravascular, gerando controle importante da doença, Negativo: Medicamento com aplicação endovenosa quinzenal, sendo a maioria dos pacientes residentes em cidades distantes do hemocentro responsável pela aplicação da medicação., Uma parcela dos pacientes permanecem com Hb <10, fadiga e hemólise extravascular	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante p a saude de muitas pessoas	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Fundamental no manejo de doenças raras e que salvará vidas	2ª - Sim, Qual: Imunobiologico para tratamento de doença auto imune na gestação , Positivo e facilidades: Mudança de curso da doença e prognóstico , Negativo e dificuldades: Dificuldade com o custo e interrupção do tratamento	3ª - Sim, Qual: Corticoide , Positivo: Não houve , Negativo: Pô resistência do quadro clínico sem melhora	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acompanhamento pacientes com HPN diariamente.. , Incorporação fundamental	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um remédio que o doente não consegue comprar diretamente nem viajando para o exterior para comprar.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do iptacopana porque representa um avanço importante no tratamento. A nova terapia amplia as opções disponíveis, pode oferecer melhor controle da doença e contribuir para mais qualidade de vida aos pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tratamento para artrite. Faço uso de um medicamento biológico oferecido pelo SUS para o tratamento de artrite reumatoide., Positivo: Melhorar na minha condição de vida. , Negativo: As vezes a demora para receber a medicação. Até ser aprovada pelo SUS.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante ter acesso ao medicamento	2ª - Sim, Qual: Informação de filha de amiga tomando medicamento , Positivo e facilidades: Medicação da filha de uma amiga , Negativo e dificuldades: Nao constatei nenhuma	3ª - Sim, Qual: Nenhuma , Positivo: Melhora na medicação para a filha de uma amiga , Negativo: Não identifiquei	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Benéfico para pacientes que tem inúmeras dificuldades de ir a cada 15 dias realizar a infusão em centros especializados, teriam condições de não viver sobre mais estresse do que já vivem pela condição de saúde e necessidade.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, hemoglobinúria paroxística noturna é doença rara, que hoje tem tratamento modificador de doença, que são inibidores de c5, entretanto alguns pacientes apresentam hemólise extravascular importante, prejudicando qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, ravulizumabe, Positivo: altas taxas de resposta, controle hemólise intravascular, redução importante de risco de trombose, Negativo: ocorrência de hemólise extravascular	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vai auxiliar muito às pessoas necessitadas	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem que ser incorporada porque eu vejo a minha amiga que usa o medicamento muito melhor e precisa ter ele no seu dia a dia	2ª -	3ª -	4ª - Pessoa precisando do medicamento	5ª - Fez uma diferença enorme na vida da pessoa que usa
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada ao SUS pois a medicação é necessária aos doentes.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque vai ajudar bastante no tratamento dos pacientes.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 08/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Creio devamos todos zelar pela saúde própria e de nossos semelhantes	2ª - tal conceito, por óbvio, não se aplica somente aos cidadãos	3ª - sei de amigos que cruzam as preocupações do HPN., , A sigla HPN significa Hemoglobinúria Paroxística Noturna., É uma doença hematológica rara, adquirida (não hereditária), causada por uma mutação em células-tronco da medula óssea. Essa mutação faz com que as células sanguíneas (principalmente os glóbulos vermelhos) fiquem vulneráveis à destruição pelo sistema imunológico, especialmente pelo sistema do complemento., Em resumo:, Nome completo: Hemoglobinúria Paroxística Noturna, Tipo: Doença rara, adquirida, do sangue, Causa: Mutação no gene PIGA nas células-tronco da medula óssea, Consequência: Falta de proteínas protetoras na superfície das células, levando à destruição dos glóbulos vermelhos (hemólise), Sintomas comuns:, Urina escura (principalmente pela manhã, devido à hemoglobina liberada), Fadiga intensa, Anemia, Dor abdominal, Tromboses (coágulos em locais incomuns, como veias abdominais), Dificuldade para respirar, Diagnóstico:, Feito por citometria de fluxo, que detecta a ausência de proteínas CD55 e CD59 na superfície das células sanguíneas."	4ª - os amigos envolvidos sim."	5ª - Despesas insuportáveis. Rico de não conseguir o medicamento
Interessado no tema 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, não sei falar	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A anemia crônica é causa de morbidade significativa, perda de produtividade e diversos outros desfechos negativos. A incorporação do iptacopan traz uma alternativa importante, com outro mecanismo de ação e com a facilidade da via oral, o que é de grande valia nesta população que permanece anêmica apesar da terapia padrão com Ravulizumabe/eculizumabe	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Danicopan, Eculizumabe, Positivo: Todas as drogas são bem toleradas, a questão é a pequena parcela de pacientes que permanece anêmica com o uso do inibidor de C5. Para esta população, são necessárias alternativas e o Iptacopana é uma delas, com segurança e eficácia bem demonstradas, Negativo: Fração de pacientes que permanece anêmica não tem alternativa hoje via PCDT para estes casos	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem pouca opção de medição somente a injetáveis e agora veio esse novo para dar uma melhor condição para quem faz tratamento para hpn ,não precisará de se deslocar para infusão do medicamento, isso evita contaminação por bactérias e vírus fora que não precisará de deslocar de casa .	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Além de dar maior qualidade de vida em funcao de poder ser realizado o tratamento em casa ou em qualquer lugar, sem precisar se deslocar ate uma clinica ou hospital, este medicamento tem uma eficácia mais ampla que os que existem atualmente e pode ajudar pacientes que continuam tento problemas mesmo ja usando as medicações ja disponíveis.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa medicação pode salvar muitas vidas em tratamento de HPN e deve ser incorporada ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vivemos uma revolução na indústria farmacológica com descoberta de novas tecnologias capazes de salvar ou melhorar qualidade de vidas, mas com custo demasiado para ser custeado por empresas de seguro de saúde ou pessoas isoladamente.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento da maior modalidade e autonomia para o paciente	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada ai SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Novas medicações, podem facilitar o tratamento de muitos pacientes,que moram longes dos hospitais de referência,e tambem tem a questão de desafogar as enfermarias por conta das infusões de outras terapias já existentes.Novas terapias implementadas são sempre bem vindas,contribuem em qualidade de vida dos pacientes e cuidadores.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: No meu caso estabilidade da doença, menos intercorrência clinicas., Negativo: Ter que agendar e infundir a medicação a cada 14 dias ,acaba sendo uma rotina cansativa, porém necessária.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O estudo mostra que é positivo o uso do referido medicamento nas condições previstas para a incorporação. Saúde é um direito do cidadão.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria paroxística noturna, é uma doença rara, uma condição grave e que com a incorporação do inibidor de C5 (Eculizumab) tiramos o paciente da situação de urgência, mas infelizmente outras demandas surgiram como a hemólise extravascular, com a fadiga, como a dificuldade de o paciente passar mais de 15 dias fora do local de infusão. Acho que temos mais uma opção de tratamento para os nossos pacientes ajudaria a melhorar a qualidade de vida., Acompanho 15 pacientes com a doença, e acredito que alguns iriam se beneficiar em ter acesso ao iptacopana , fazendo com que a hemólise extravascular seja reduzida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab e Ravulizumab,, Já infomei sobre a minha experiência acima , Positivo: Eculizumab e Ravulizumab são inibidores de C5, possuem excelente ação, tirando o paciente da situação de possibilidade de trombose e/ou morte, Negativo: Eculizumab é uma molécula mais instável, o paciente precisa fazer infusão quinzenal e isso acaba por limitar a sua qualidade de vida, Ravulizumab é uma molécula mais estável, as infusões são a cada 56 dias, mas não consegue melhorar o nível de fadiga e o paciente persiste com anemia,	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença hematológica rara marcada por hemólise mediada pelo sistema complemento — tanto hemólise intravascular (via terminal C5) como extravascular (via C3) — associada a anemia, necessidade de transfusões, risco de trombose, disfunção da medula óssea e citopenias. , Iptacopana é um inibidor oral do fator B da via alternativa do complemento, ou seja, atua proximalmente à ativação da via alternativa, bloqueando o mecanismo que leva tanto à hemólise intravascular quanto extravascular. , Está indicada para adultos com HPN, incluindo casos com resposta residual insuficiente à terapias baseadas em anti-C5., Levando em conta estudos que levaram a aprovação da medicação em questão visto que em comparação a medicações já disponíveis iptacopana levou a um aumento considerável de em média 2g/dl em níveis de hemoglobina, levando a uma melhora em qualidade de vida desses pacientes, com independência transfusional, por melhora em hemólise. Além disso medicação oral, que facilita acesso e adesão de pacientes, visto hoje a dificuldade em que os pacientes tem em ter acesso a pontos de infusão que se concentra em postos específicos de cada estado, tendo muitas vezes o paciente que se deslocar por grandes distancias.	2ª -	3ª -	4ª - "Benefícios clínicos observados, Hematológicos, , Em estudo pivotal de fase III (APPLY?PNH) em pacientes com HPN e anemia residual (Hb < 10 g/dL) apesar de tratamento anti-C5, 24 semanas de iptacopana alcançaram: a) proporção significativamente maior de pacientes com aumento de Hb ? 2 g/dL sem transfusão	5ª - eventos adversos comuns foram cefaleia, diarreia, nasofaringite, náusea. , , Em comparação com anti-C5, houve menor taxa de hemólise de “breakthrough” no braço iptacopana. , , Referencias, , Peffault de Latour R et al. Oral Iptacopan Monotherapy in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. N Engl J Med. 2024 Mar 14



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O iptacopan representa uma inovação relevante, pois atua de forma oral, com um novo mecanismo de ação no complemento, e tem demonstrado eficácia clínica consistente, reduzindo a hemólise e a necessidade de transfusões, além de melhorar a qualidade de vida dos pacientes. O fato de ser administrado por via oral também favorece a adesão e custos, reduzindo a necessidade de infusões hospitalares, o que é especialmente relevante em um sistema público de saúde., Os medicamentos atualmente disponíveis, como eculizumabe e ravulizumabe, atuam na parte terminal do complemento (bloqueando o componente C5). Esses fármacos são eficazes em reduzir a hemólise intravascular, mas não impedem a hemólise extravascular, que ocorre pela deposição de C3 nas hemácias — o que explica por que alguns pacientes continuam anêmicos ou dependentes de transfusão mesmo em uso dessas terapias., O iptacopan atua na via proximal, prevenindo tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular., Essa dupla proteção permite um controle mais completo da doença e contribui para melhora significativa na hemoglobina, redução de transfusões e melhora da qualidade de vida, como demonstrado nos estudos clínicos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Tempo de experiencia , Negativo: Persistencia da hemolise de escape e necessariade transfusional em alguns pacientes.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 09/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a aprovação do medicamento seria importante. Após ler o relatório preliminar, já são destacados os principais benefícios. Lembrando que se trata de uma terapia oral e no Brasil os centro de referencia para aplicação de drogas intravenosas podem ficar distante dos locais de residencia dos pacientes. O uso de drogas orais pode facilitar tambem a vida do paciente atraves da teleconsulta, onde o paciente (ou prefeitura) nao mais teria gastos com deslocamento. O custo das novas tecnologia é realmente muito alto, concordo que deve haver uma melhor negociação para que nossos pacientes sejam o maior beneficiado.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: HPN previamente tinha alta mortalidade devido a grande chance de TEV. Nao temos duvidas que o tratamento reduziu a mortalidade da doença, Negativo: Infelizmente ocorre aumento do numero de infecções, algo para o qual ja realizamos vacinação para minimiza-las	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, SUA ACOMEDIDA DE HPN (HEMOGLUBINURIA PARAXISTICA NOTURNA) E TENHO INTERESSE QUE ESTA MEDICAÇÃO SEJA FORNECIDA PELO SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: PESQUISA CLINICA CROVALIMAB - HOSPITAL DAS CLINICAS DE PORTO ALEGRE., Positivo: ATÉ O MOMENTO ESTÁ EM ESTUDO., Negativo: A ETERNA PREOCUPAÇÃO COM O FORNECIMENTO DE TAIS MEDICAÇÕES.	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para os pacientes portadores de HPN já expostos ao inibidor de C5 e ainda sintomáticos não tem medicação disponível no SUS. Portanto é urgente a incorporação da iptacopana que possui também como vantagem o fato de ser de administração oral o que reduz gastos com aplicação e melhora a qualidade de vida do paciente.,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existem estudos randomizados fase 3 (APPLY-PNH e APPOINT-PNH) demonstraram o benefício clínico da iptacopana para pacientes portadores com níveis de Hb < 10g/dL previamente tratados com inibidores de C5. Iptacopana possui fácil posologia (via oral) e perfil de segurança positivo. Pacientes do SUS irão se beneficiar muito com a incorporação da iptocopana.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "O iptacopana é um medicamento essencial para controle de doença e melhora da qualidade de vida do paciente com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) independente de ser utilizado na 1ª linha ou na 2ª linha após falha com o anti-C5. O que está sendo proposto é especificamente os pacientes que utilizaram anti-C5 e permanecem com anemia sintomática. Isso ocorre principalmente pois o anti-C5 não consegue diminuir com eficácia a hemólise extra-vascular que ocorre nesses casos. Além disso, estamos comparando uma droga que necessita ser utilizada em unidade hospitalar, geralmente unidade especializada (em geral são UNACONS ou CACONS) - que é o anti-C5	2ª - com uma medicação de uso totalmente via oral, com mudança expressiva da qualidade de vida para quem usa iptacopana."	3ª - Apenas o custo.	4ª - Sim	5ª - Sim

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Após a revolução da incorporação do inibidor do C5 ao tratamento da hemoglobínúria paroxística noturna, houve uma indiscutível melhora da sobrevida global desses pacientes, visto que a mortalidade por disfunções orgânicas resultantes da trombose desencadeada pela hemólise intravascular é controlada com o eculizumab., Contudo, o acompanhamento desses pacientes a longo prazo mostrou que ainda há necessidades não atendidas para esse grupo de pacientes em tratamento com inibidores de C5. Pois, é comum que ocorra a médio ou longo prazo, a presença de depósito do complemento C3 na superfície das hemácias., Esse fato pode levar ao surgimento de hemólise extravascular, isto é, as hemácias marcadas com C3 são fagocitadas pelo sistema retículoendotelial no baço e assim, o paciente volta a ter anemia, ou, inclusive, pode não chegar a recuperar 100% do nível da hemoglobina mesmo após o tratamento com o inibidor do C5., A persistência da anemia, apesar de não estar associada à mortalidade, está associada a uma pior qualidade de vida com repercussões na capacidade de trabalho e atividades da vida diária. Os níveis de Hg baixa estão relacionados com capacidade de concentração reduzida, persistência de dispneia ao esforço, cefaleia, fadiga e sonolência. Em alguns casos, nos quais a Hg está abaixo de 8,5g/dl, certos enfermos podem necessitar realizar hemotransfusão. , O surgimento do inibidores do complemento proximal, como o ipitacopan que inibe o fator B, bloqueando a ativação do C3, há a possibilidade de transformar para melhor a vida desses indivíduos. Essa nova medicação proporciona um bloqueio completo do sistema complemento, inibindo tanto a hemólise intra quanto a extravascular., Deste modo, o paciente além de ter a sobrevida global semelhante à população geral, conseguirá normalizar os níveis de hemoglobina daqueles pacientes que têm hemólise de escape extravascular, resultando em ganho de qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, Positivo e facilidades: , 1. Tratamento oral, facilitando adesão ao tratamento, pois o paciente não precisa se deslocar ao hospital, às vezes distâncias longas, para ser medicado., 2. Controle rápido e eficiente da hemólise intra e extravascular que pode ser verificado com a elevação da hemoglobina de níveis entre 8,5 a 7,5 para 14 a 12,8g/dl, com manutenção dos níveis de DHL e reticulócitos dentro da referência laboratorial., 3. Ausência de queixa de efeitos adversos pelos pacientes., 4. Independência transfusional., Negativo e dificuldades: , Não tive experiencias negativas com o iptacopan.	3ª - Sim, Qual: Eculizumab e pegcetacopan, Positivo: Eculizumab - vem salvando vidas desde que foi incorporado ao SUS. O uso regular previne eventos trombóticos, insuficiência renal, hipertensão arterial pulmonar e eleva os níveis de hemoglobina dos pacientes., , Pegcetacopan - uma excelente alternativa para pacientes com resposta incompleta ao inibidor de C5. Os pacientes em uso permanecem estáveis e atingem níveis de Hg > 12g/dL., Negativo: , O eculizumab está associado a hemólise de escape extravascular em até 20% dos pacientes resultando em fadiga e alguns casos de necessidade transfusional. É medicação intravenosa, exigindo o deslocamento do paciente a um serviço de referência para realizar infusão.	4ª - "- > O estudo APPLY-PNH foi um ensaio de Fase 3, randomizado, que comparou o iptacopan oral com a continuação do tratamento padrão (anti-C5) em pacientes com HPN que apresentavam anemia residual (definida como hemoglobina < 10 g/dL), por hemólise extravascular. , Os resultados mostraram que o iptacopan foi superior ao tratamento anti-C5. A grande maioria dos pacientes no grupo iptacopan atingiu os endpoints primários: aumento da hemoglobina de pelo menos 2 g/dL (sem transfusões) e atingir um nível de hemoglobina de pelo menos 12 g/dL (sem transfusões). Isso demonstrou a capacidade do iptacopan de controlar eficazmente a hemólise extravascular, levando à melhora da anemia., , -> Iptacopan Treatment Improves Clinical Parameters in a Real-World Cohort with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Evidence from a Managed Access Program (O Tratamento com Iptacopan Melhora Parâmetros Clínicos em uma Coorte de Mundo Real com HPN: Evidência de um Programa de Acesso Gerenciado). , Fonte: Apresentado no congresso da American Society of Hematology (ASH) , Este estudo analisou dados de pacientes (tanto naive de tratamento quanto experientes com inibidores de complemento) que receberam iptacopan através de um programa de acesso. Os resultados do mundo real confirmaram os achados dos	5ª - ""- > Cost-effectiveness of iptacopan for paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (Custo-efetividade do iptacopan para hemoglobínúria paroxística noturna). Fonte: Publicado na revista Blood . Resumo dos Achados:, O estudo comparou a monoterapia com iptacopan oral com o padrão de cuidado (inibidores de C5 intravenosos) em pacientes com resposta inadequada ao anti-C5 (ou seja, aqueles com HEV)., A análise concluiu que o iptacopan é ""cost saving"" (gera economia). Os pacientes com iptacopan acumularam mais QALYs (Anos de Vida Ajustados pela Qualidade) — 12.6 QALYs vs 10.8 QALYs — a um custo total de vida menor (\$9.52 milhões vs \$13.5 milhões, nos valores do estudo, geralmente baseados no contexto dos EUA)., , - > Outra revisão farmacoeconômica calculou um ICER (Razão de Custo-Efetividade Incremental) de \$62.272 por QALY ganho ao comparar iptacopan com ravulizumab, um valor considerado custo-efetivo em muitos sistemas de saúde."

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				ensaios clínicos: após o tratamento com iptacopan, uma proporção maior de pacientes atingiu níveis de hemoglobina quase normais (≥ 12 g/dL) e melhorou os parâmetros hematológicos, além de relatar maior satisfação com o tratamento.	
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação que eu estou fazendo uso atualmente, no meu entender já não é mais eficaz como já foi a um tempo atrás, então quanto mais opções de medicações e tratamento, melhor para todos os pacientes	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Haverá um ganho significativo para portadores de HPN, que poderão tomar o medicamento em sua residência, sem necessidade de fazer longas viagens para fazer a infusão em hospitais de referência. Sendo que em Minas Gerais existem apenas 4 polos para realizar infusão.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, MEDICAMENTO COM EFICÁCIA E SEGURANÇA COMPROVADAS PARA UMA POPULAÇÃO DE PACIENTES COM DOENÇA POTENCIALMENTE FATAL. A INCORPORAÇÃO PERMITIRÁ POSSIBILIDADE DE TRATAMENTO EFICAZ, VIA ORAL , SEM DESLOCAMENTOS PARA PACIENTES DO SUS QUE ATUALMENTE RECEBEM MEDICAÇÃO DE FORMA PARENTERAL.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, CROVALIMABE, DANICOPANA, Positivo: MELHOR ADERÊNCIA DO PACIENTE, MELHOR CONTROLE DE DOENÇA (HPN) , MENOR NÚMERO DE INTERNAÇÕES E ÓBITOS, Negativo: CUSTOS	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sabemos que, apesar de rara, a hemoglobinúria paroxística noturna traz inúmeras complicações à funcionalidade e à qualidade de vida dos pacientes que são acometidos por ela. Nos casos em que, mesmo com o uso do eculizumabe, a anemia persiste, não há outras opções adequadas para o tratamento dos pacientes, e a anemia é uma situação que traz sintomas com astenia, dispneia aos esforços, sonolência aumentada, que interferem na capacidade das pessoas exercerem suas atividades básicas de vida diária, bem como interferem na capacidade de trabalho delas. Além disso, a medicação iptacopana é administrada por via oral, o que pode facilitar a adesão dos pacientes, além de não exigir uma estrutura de centro infusional por não ser endovenoso.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe. , Positivo: A incorporação prévia de eculizumabe permitiu controle da doença, redução de eventos trombóticos e redução/eliminação de necessidade transfusional. , Negativo: Adesão do paciente por ser medicamento endovenoso, necessidade de centro infusional especializado para administração da medicação, persistência de anemia.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de um medicamento oral, o que facilita o tratamento e melhora a qualidade de vida em comparação com as terapias intravenosas disponíveis atualmente. Além disso, o Fabhalsa demonstrou eficácia clínica robusta, com aumento sustentado da hemoglobina, redução da hemólise e menor necessidade de transfusões. Sua introdução no SUS promoveria equidade no acesso a uma tecnologia inovadora, capaz de reduzir complicações, internações e custos indiretos associados à doença, alinhando-se aos princípios de integralidade e eficiência do sistema público de saúde.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Também há eficácia considerável em controle da doença., Negativo: Pior posologia., Maior chance de hemólise de escape.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha irmã precisa muito deste medicamento	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação modifica a história natural da doença e oferece melhora na qualidade de vida reduzindo internações. Oferece uma vida praticamente normal para os portadores de HPN	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: resposta rápida, melhora dos sintomas, redução de internações , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso pelo SUS o de se concentram o maior número de pacientes acometidos	3ª - Sim, Qual: Danazol, eculizumabe e ravulizumabe, Positivo: Modificação do impacto da doença na qualidade de vida dos pacientes , Negativo: Dificuldade de liberação da droga, custo elevado. Necessidade de apoio hospitalar	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma paciente usando medicação , e mudou mto qualidade de vida , resolução da anemia , fim da hemólise extravascular , Paciente retornou ao mercado de trabalho , sem necessidade de estar no hospital para medicação a cada 15 dias , sem necessidade Transfusional	2ª - Sim, Qual: Sim ! Como dito a come , melhora da qualidade de vida , resolução da anemia , Fim da hemólise extra vascular, Positivo e facilidades: Volta ao mercado de trabalho , Sem necessidade e infusão de medicação cada 15 dias , Melhora qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Nenhum até o momento	3ª - Sim, Qual: Eltrombopag, Positivo: Anteriormente só tinha resolução da hemólise intra vascular , agora resolução da extra vascular , Negativo: Hemólise extra vascular era um item não atendido	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, trata-se de doença rara com altos custos de complicações relacionadas geralmente acometendo pacientes jovens. , , os dados publicados mostram beneficio nesta população .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumab com boa experiencia. , Positivo: controle de doença. , Negativo: os dados com inibidor de C5 com melhores do que os apresentados com eculizumab.	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, DOENÇA RARA EM QUE OS PACIENTES VÃO A ÓBITO PRINCIPALMENTE POR TROMBOSE EXTENSA. DOENÇA DE JOVEM E MUITAS VEZES SE NÃO TRATADA PODE IMPEDIR DO PACIENTE ATÉ DE TRABALHAR.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: CORTICOIDE, DANAZOL, ANTICOAGULANTE, , Positivo: NÃO HÁ ASPECTOS POSITIVOS POIS NÃO TRATAM A DOENÇA HPN, Negativo: ESSAS MEDICAÇÕES NÃO TRATAM O PACIENTE	4ª - É um medicamento inibidor oral do sistema complemento, utilizado no tratamento de doenças raras graves, como a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), a nefropatia por IgA (IgAN) e a glomerulopatia C3 (C3G). É um medicamento de uso oral, em cápsulas, geralmente administrado duas vezes ao dia. Recebeu aprovação de agências reguladoras importantes, como a FDA (EUA) e a EMA (Europa), para o tratamento das indicações mencionadas. No Brasil, a Anvisa também concedeu registro para o medicamento, que pode ser comercializado após a aprovação de preço. Para subsidiar o pedido de registro a empresa encaminhou o estudo pivotal de fase III CLNP023C12302 (aqui denominado APPLY-PNH), o estudo de apoio fase III, de grupo único, aberto CLNP023C12301 (aqui denominado APPOINT-PNH). O estudo APPLY-PNH é um ensaio pivotal, randomizado, aberto, multicêntrico, de comparador ativo, que randomizou 97 pacientes adultos com HPN com anemia residual (hemoglobina < 10 g/dl) mesmo após um regime estável de terapia com anticorpo anti-C5 (eculizumabe ou ravulizumabe) por pelo menos 6 meses antes da randomização. Ambos os estudos de fase III atenderam aos seus objetivos primários. No APPLY-PNH, em pacientes que receberam tratamento anterior com inibidor do complemento SoC, o benefício do tratamento com iptacopana em comparação	5ª - No grupo do iptacopana obteve melhora prolongada significativa da hemoglobina de ? 2 g/dl em relação ao valor basal e hemoglobina prolongada ? 12 g/dl aproximando-se da normalização da hemoglobina em comparação a nenhum no grupo anti-C5. Isso significa que com medicação oral não há necessidade do paciente se deslocar de sua cidade para fazer infusão venosa a cada 15 dias (custo para governo e município), deixar disponível vaga na sala de infusão uma vez que é medicação oral. , Além de se uma medicação com melhor resposta quanto a hemólise de escape quanto hemólise extravascular, ela seria a única droga a ser usada sem necessidade de associações de medicações.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				ao tratamento anti-C5 foi clinicamente significativo e altamente estatisticamente significativo para os dois desfechos primários de resposta hematológica, abrangendo melhora prolongada na hemoglobina e prevenção de transfusões. A diferença do tratamento em proporções marginais de pacientes (IC de 95%) com um aumento prolongado nos níveis de hemoglobina em relação ao valor basal de ≥ 2 g/dl na ausência de transfusões de RBCs foi de 80.3% (71.3, 87.6) e para pacientes com níveis prolongados de hemoglobina ≥ 12 g/dl na ausência de transfusões de RBCs foi de 67.0% (56.3, 76.9) (valor de p bicaudal não ajustado < 0.0001 para ambos os desfechos).	

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A proposta de incorporação do iptacopana (Fabhalta®?) ao Sistema Único de Saúde representa um avanço significativo no cuidado de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), especialmente aqueles que apresentam resposta subótima ao tratamento com inibidores de C5 e níveis de hemoglobina persistentemente baixos (<10 g/dL)., , O iptacopana é o primeiro medicamento oral aprovado para HPN, com mecanismo de ação voltado à inibição seletiva da via alternativa do complemento, oferecendo uma abordagem terapêutica inovadora e potencialmente mais eficaz para pacientes que não alcançam controle adequado da hemólise com os tratamentos atuais., , Além dos benefícios clínicos, a administração oral pode melhorar a adesão ao tratamento, reduzir a necessidade de infusões intravenosas frequentes e ampliar o acesso em regiões com menor infraestrutura hospitalar. Isso é especialmente relevante no contexto do SUS, onde a logística de medicamentos intravenosos pode representar uma barreira ao cuidado contínuo., , Portanto, a incorporação do iptacopana no SUS é uma medida promissora, especialmente para pacientes refratários ao tratamento padrão, e deve ser considerada com base em critérios de efetividade clínica, segurança, custo-efetividade e equidade no acesso.,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão.	2ª - Sim, Qual: No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão., Positivo e facilidades: No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão., Negativo e dificuldades: No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão.	3ª - Sim, Qual: No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão., Positivo: No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão., Negativo: No anexo, reunimos as contribuições de especialistas do SUS sobre a temática, incluindo relatos de experiência de uso da medicação em questão.	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A TRAJETÓRIA DO PACIENTE COM HPN É LONGA E SOFRIDA. ANTES, SEM TRATAMENTO, OS PACIENTES TINHAM ALTA MORBIDADE E MORTALIDADE PRECOCE. A QUALIDADE DE VIDA ERA MUITO RUIM, COM TRATAMENTOS PALIATIVOS, SINTOMÁTICOS E INTERNAÇÕES FREQUENTES. O TRANSPLANTE DE MEDULA, ÚNICO TRATAMENTO CURATIVO, TEM ALTA MORTALIDADE EM HPN E É INDICADO APENAS AOS PACIENTES COM DOENÇA ASSOCIADA À APLASIA DE MEDULAR. , A CHEGADA DOS INIBIDORES DE COMPLEMENTO MODIFICOU A HISTÓRIA DE VIDA DESSAS PESSOAS: VIVEM MAIS E COM MENOS SEQUELAS. , NO ENTANTO, ATÉ 1/3 DOS PACIENTES MANTÉM ANEMIA E FADIGA, O QUE AINDA TEM MUITO IMPACTO NEGATIVO NA QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES. , ESTÁ BEM ESTABELECIDO A HEMÓLISE EXTRAVASCULAR COMO MECANISMO DE PERSISTÊNCIA DE ANEMIA COM O BLOQUEIO DE C5. , MUITOS PACIENTES APRESENTAM HEMÓLISE NÃO CLINICAMENTE SIGNIFICANTE, MAS AQUELES COM HEMOGLOBINA ABAIXO DE 10 OU AINDA COM NECESSIDADE TRANSFUSIONAL MANTÉM MUITOS SINTOMAS, PREJUDICANDO ATIVIDADES DIÁRIAS, TRABALHO, ESTUDO E RELAÇÕES FAMILIARES. ALÉM DISSO, SABEMOS QUE ANEMIA CRÔNICA PODE LEVAR À INSUFICIÊNCIA CARDÍACA E RENAL AO LONGO PRAZO. , POR ESSES MOTIVOS, CONSIDERO ESSENCIAL ACRESCENTAR ESSA OPÇÃO DE TRATAMENTO PARA OS PACIENTES COM ANEMIA POR HEMÓLISE EXTRAVASCULAR ENQUANTO TRATADOS COM BLOQUEIO DE C5, OTIMIZANDO O TRATAMENTO, AGREGANDO QUALIDADE DE VIDA E PREVENINDO SEQUELAS FUTURAS.	2ª - Sim, Qual: IPTACOPAN, Positivo e facilidades: MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA, MENOS FADIGA, REDUÇÃO DE RISCO CARDIOVASCULAR AO LONGO PRAZO., Negativo e dificuldades: POR SER MEDICAMENTO ORAL, HÁ RISCO DE MÁ ADERÊNCIA: OS PACIENTES DEVEM SER BEM ORIENTADOS E MONITORADOS.	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: REDUÇÃO DE SINTOMAS, DE RISCO DE MORTE POR IRA E TROMBOSE., , Negativo: INFUSÃO A CADA 2 SEMANAS, ENDOVENOSA	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A única terapia atualmente disponível, baseada em inibir C5 (eculizumabe), representou claramente um grande avanço no tratamento de hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) - uma doença rara, crônica e potencialmente fatal. Entretanto, não é uma alternativa que atualmente controla hemólise extravascular e impõe limitações logísticas consideráveis devido à necessidade de infusões regulares em ambiente hospitalar. Iptacopan, como um inibidor seletivo e oral do fator B de via alternativa do complemento, tem demonstrado, não somente em ensaios clínicos robustos, mas também em estudos de mundo real, uma melhora significativa dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade transfusional e controle tanto da hemólise intravascular, quanto extravascular - incluindo a comodidade posológica, por ser uma apresentação em via oral, administrada duas vezes ao dia. Do ponto de vista econômico e operacional, a administração oral de iptacopan representa importante simplificação logística, com potencial redução de custos indiretos relacionados a infusões, transporte e perda de produtividade, além de diminuir a sobrecarga sobre serviços especializados. Essa característica é particularmente relevante quando levamos em consideração o contexto brasileiro, em que as desigualdades regionais e o acesso limitado a centros de referência dificultam a adesão ao tratamento de pacientes com doenças raras. Sobre a ótica dos princípios do SUS, a incorporação e disponibilização de iptacopan se faz uma decisão coerente e ética. Ampliando, assim, o acesso a uma terapia mais moderna, eficaz e centrada no paciente, aproximado o Brasil das melhores práticas internacionais e reafirmando o compromisso do sistema público com a inovação em saúde e com dignidade para pacientes com HPN,.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Os dados compartilhados focam especificamente em dados de mundo real, observando o tratamento de pacientes com HPN nos quais a prevalência de HPN em 5 anos (2018–2022) em pacientes com seguro comercial nos EUA foi estimada em 2,4 casos por 100.000 pessoas. O tratamento da HPN com inibidores de C5 (C5i), como eculizumabe e ravulizumabe, está associado a custos elevados. Em uma coorte de 371 pacientes tratados com C5i, os custos anuais totais relacionados ao PNH foram estimados em 660.533 por paciente por ano (PPPY), durante o primeiro ano de tratamento. Os custos anuais específicos foram de 697.459 PPPY para eculizumabe e \$612.522 PPPY para ravulizumabe no primeiro ano. Os custos de tratamento representaram a vasta maioria, respondendo por 94,3% a 94,6% dos custos totais relacionados a HPN., Apesar do tratamento com C5i, os pacientes continuam a apresentar hemólise de breakthrough (BTH), exigindo transfusões de sangue e sofrendo trombose. As taxas anuais de incidência de BTH (baseadas em sintomas) foram de 5,2 PPPY para eculizumabe e 3,3 PPPY para ravulizumabe. Após 12 meses de tratamento, as taxas de trombose relacionada ao PNH foram de 10,6% para eculizumabe e 11,6% para ravulizumabe., Um estudo observacional separado, que incluiu 2.118 pacientes, indicou que pacientes não tratados com inibidores de complemento (CI) tiveram	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				uma internação mais longa (0,78 vs 0,56 dias) e mais hospitalizações (13% vs 9%) em comparação com pacientes tratados. Entre os pacientes tratados com CI, aqueles que receberam iptacopan geralmente tiveram menos visitas à emergência (7%) e hospitalizações (5%) por todas as causas, e nenhum paciente em uso de iptacopan exigiu visitas à emergência ou hospitalizações específicas para HPN. Tais achados sublinham a necessidade não atendida de tratamentos mais eficazes para melhorar o controle da doença.	



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atuo como médica assistente em um hospital terciário e faço parte de um ambulatório que é referência nacional no tratamento de HPN. O uso de inibidores de C5 revolucionou, sem dúvidas, a vida desses pacientes, com uma expectativa de vida hoje próxima da população geral. Entretanto, permanecem algumas necessidades não atendidas que, ao meu ver, precisam ser priorizadas. O eculizumabe é administrado quinzenalmente por via endovenosa, gerando custos com sala de infusão, além de deslocamento e perda de dia de trabalho para os pacientes (geralmente um dia inteiro, podendo ser mais de um dia dependendo da cidade de origem do paciente). Além disso, alguns pacientes permanecem com hemoglobina abaixo de 10, por vezes com necessidade transfusional e fadiga, decorrentes da hemólise extravascular não controlada pelos inibidores de C5. Nesse contexto, inibidores de via alta, como o iptacopan, surgiram como uma alternativa promissora, de maior comodidade posológica e mais custo-efetiva (custo anual da droga inferior ao custo anual com eculizumabe sem avaliação dos custos indiretos com deslocamento e sala de infusão). Além dos dados de literatura, gostaria de relatar minha experiência com um paciente de 81 anos com diagnóstico de SMD associado à clone HPN que vinha em uso de eculizumabe há 5 anos e mantinha necessidade transfusional a cada duas semanas e provas de hemólise alteradas, a despeito de embolização esplênica em janeiro de 2024. Foi aventada hipótese diagnóstica de hemólise de escape e, após excluído componente farmacocinético e farmacodinâmico, indicado iptacopan com melhora expressiva de níveis de hemólise e redução de necessidade transfusional nas primeiras semanas. Vale lembrar que trata-se de idoso e a redução de transfusão impactou na rotina de toda família. O filho é seu principal cuidados e precisava se ausentar do trabalho para consultas médicas, infusão de eculizumabe e suporte transfusional quinzenal. Por esses motivos, a incorporação do iptacopan será valiosa	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, Positivo e facilidades: '- Economia, - Comodidade posológica, - Melhora de níveis de hemoglobina, redução expressiva de necessidade transfusional, - Melhora de fadiga, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Crovalimabe, Positivo: Melhora de sobrevida, Redução de trombose, Melhora de anemia, Negativo: Para o eculizumabe e ravulizumabe: necessidade de infusão endovenosa, Para todos: manutenção de fadiga e níveis de hemoglobina subótimos	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hoje os pacientes portadores de Hemoglobinúria paroxística noturna recebem medicação Endo venosa cada 2 semanas impreterivelmente, ocasionando flebites e trombozes frequentes, além do comparecimento ao nosso hospital (onde o medicamento é fornecido pelo SUS) . Atendemos 9 municípios do Litoral Paulista e os pacientes tem múltiplas dificuldades de locomoção e financeiras para comparecer ao tratamento. O medicamento via oral melhora a qualidade de vida além de evitar locomoção e também efeitos adversos das injeções endovenosas	2ª -	3ª -	4ª - Pacientes portadores de Hemoglobinúria paroxística noturna tem maior risco de trombozes o que complica muito o quadro clínico de anemia que já é muito grave. O medicamento em uso atualmente Eculizumab e endovenoso, de uso exclusivamente no nosso hospital - Hospital Guilherme Álvaro, hospital público em Santos que atende 9 municípios do Litoral Paulista tanto Norte como Sul . Pacientes saem dos seus municípios 2 horas da madrugada para receber a medicação na veia a cada 2 semanas . O medicamento via oral vai melhorar a adesão ao tratamento, facilitar a administração, reduzir os custos com transporte, não utilizando a via Endo venosa não haverá complicações como flebites e trombozes frequentes em caso de punções repetidas, melhor qualidade de vida para o paciente e familiares	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Será muito importante para os pacientes com HPN pois além dos bons resultados no controle da doença, haverá melhora da qualidade de vida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com HPN tem uma necessidade não atendida no sus quando não respondem ao tratamento com a terapia já existente - eculizumabe, apresentando necessidade transfusional e morbidade/ piora de qualidade de vida sem controle de sintomas	2ª - Sim, Qual: Uso de iptacopana em setor privado , Positivo e facilidades: Melhora de sintomas anêmicos, diminuição de necessidade transfusional, melhora da qualidade de vida, menos internações hospitalares , Negativo e dificuldades: Não percebi aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Melhora da anemia e da necessidade transfusional, menos infecções e trombose , Negativo: Parcela dos pacientes não respondem com essa medicação e continuam sintomáticos e anêmicos	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Novos medicamentos devem ser sempre utilizados para doenças!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com HPN nao tem opções adequadas para tratamento no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab , Positivo: Eficácia , Negativo: Custos e irregularidades no fornecimento	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisamos incorporar as necessidade e demandas de forma integral para os pacientes do SUS	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve incorporar no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação desta medicação no SUS trará um incremento na qualidade de vida dos pacientes portadores da HPN. O Fabhalsa é uma medicação oral que traz praticidade e mais autonomia às pessoas, reduz a necessidade de transfusões e internações e melhora a anemia. Sou completamente a favor da inclusão do medicamento no SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Não sei informar., Positivo: Melhora parcial da qualidade de vida., Negativo: Possuo familiar portador da HPN, e vejo os transtornos gerados pelos tratamentos atuais: transfusões, internações hospitalares, necessidade de refrigeração dos medicamentos.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Além da eficácia, a medicação demonstrou um perfil de segurança favorável e boa tolerabilidade. Atualmente, não há nenhuma opção disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) para pacientes com anemia persistente apesar do uso de inibidores de C5. Diante disso, a introdução da iptacopana representa uma adição essencial ao arsenal terapêutico, oferecendo uma alternativa eficaz para esse grupo de pacientes., Participantes de estudos de mundo real com o iptacopan relataram alta satisfação e preferência pelo iptacopan em relação aos tratamentos anteriores, destacando sua conveniência (via oral, 2x/dia, diariamente) e eficácia. Esses dados qualitativos complementam os resultados clínicos e reforçam o impacto positivo do medicamento na experiência dos pacientes.	2ª -	3ª -	4ª - As informações técnico-científicas constam nos pareceres elaborados pelos Comitê Científico da ABHH: Glóbulos Vermelhos e do Ferro Falências Medulares, anexados a esta contribuição.. Pelo limite de caracteres deste campo não foi possível reproduzi-los na íntegra.	5ª - Não

I

|

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos tem direito a saúde	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Os tratamentos aprovados e já incorporados no SUS para HPN, Eculizumabe e Ravulizumabe (ambos inibidores C5 do complemento) mudaram a história natural da doença. O ganho de sobrevida global com estas medicações é inquestionável, porém cerca de 25% dos pacientes tratados com estes permanecem com HEMÓLISE EXTRA-VASCULAR, e alguns deles, com anemia residual e sintomas que comprometem a qualidade de vida (Risitano AM et al. Front Immunol 2019	2ª - 10:1157	3ª - Iptacopana	4ª - São extremamente eficazes. Bloqueiam a hemólise intra-vascular e consequentemente, impedem os eventos trombóticos e a mortalidade associada.	5ª - Sim

I

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes que tem diagnóstico de Hemoglobinúria Paroxística Noturna e quadro de anemia severa com dependência de transfusões e suas complicações representam uma necessidade não atendida., A aprovação pela ANVISA do cloridrato de iptacopana oral (Fabhalta) foi baseada no estudo pivotal APPLY-PNH - publicado por Latour RP et al. N Engl J Med 2024, 390: 994-1008. , Neste estudo, a troca de eculizumab e ravulizumabe pela iptacopana foi comparado com a manutenção destes inibidores de C5 em pacientes com HPN e 1/3 dos pacientes estavam em uso de ravulizumabe no momento da randomização. , A troca para iptacopana resultou num aumento de níveis de hemoglobina clinicamente significativo e redução de fadiga e normalização (ou quase normalização) na taxa de hemoglobina em pacientes com HPN tratados com inibidores de C5 (incluindo ravulizumabe) e anemia persistente. , A tolerância do novo tratamento foi adequada e não surgiram toxicidades novas significativas, a não ser cefaleia. Estes dados foram confirmados com uma extensão do estudo, publicado por Risitano AM et al. Lancet Haematology 2025,12: E414-430. Neste relato atualizado, 72% dos pacientes que trocaram de tratamento tiveram um aumento de mais de 2 g/dl de hemoglobina e 59% destes pacientes atingiu uma taxa de hemoglobina de pelo menos 12 g/dl. , Estes dados de melhora clínica associados a melhor qualidade de vida confrimam a necessidade de incorporação pela CONITEC do do cloridrato de iptacopana oral (Fabhalta) para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Redução da hemólise e consequente do risco de trombose, Negativo: Posologia, Intravenoso e quinzenal	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, aqui no Hemopa, tratamos cerca de 10 pacientes que fazem eculizumab, mas que não alcançam hemoglobina acima de 8,00 e LDH é sempre elevado, mostrando que ainda há um sangramento interno e que com o Iptacopan isso poderá ser solucionado levando mais saúde aos pacientes. Temos também a questão dos pacientes que mora em regiões ribeirinhas que precisam se deslocar duas vezes por mês para fazerem a infusão do eculizumab e com o iptacopan esse problema social poderá ser revertido.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, eculizumab e ravulizumab, Positivo e facilidades: o uso do iptacopan aos pacientes com HPN trouxe mais saúde ao paciente e elevou sua hemoglobina para acima de 11,0. Resolvendo ainda mais a questão da fadiga, Negativo e dificuldades: não tive experiência negativa	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Ravulizumab e iptacopan, Positivo: elevação da hemoglobina, aumento do fadit, , Negativo: nenhuma	4ª - o uso do iptacopan aos pacientes com HPN trouxe mais saúde ao paciente e elevou sua hemoglobina para acima de 11,0. Resolvendo ainda mais a questão da fadiga	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este remédio por ser oral vai trazer qualidade de vida aos pacientes de HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito importante pra saúde do paciente	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação que melhora a qualidade de vida das pessoas com HPN, deve ser incorporada!	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento tem como intuito melhorar e aliviar os sintomas de doenças raras no qual impactam diretamente diversos brasileiros. Com esse medicamento liberado pelo sus, iria desafogar diretamente o próprio governo no qual distribui medicamentos similares e com o custo ainda mais alto.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação, além de excelente em termos de eficácia, quando bem indicada, como no proposto, sensivelmente colabora com a recuperação da qualidade de vida e da produtividade dos pacientes, permitindo, em todos os casos em que tive experiência, o retorno ao trabalho e a normalização das atividades sem impedimentos ou limitações., Ademais, em particular após a revisão dos critérios de armazenagem, ainda na fase de estudo clínico, viabiliza simples autoadministração, fomentando equidade ao anular a necessidade de longas jornadas para tomar a medicação em centros de referência, particularmente em locais desprovidos desses centros e em regiões mais remotas do país.,	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Com essa medicação, dentro dos critérios indicados na proposta em apreciação, os pacientes conseguem retomar qualidade de vida, rendimento físico e laboral e níveis de hemoglobina normais. Em minha experiência, em todos os casos expostos, o que é compatível com os resultados do estudo clínico APPLY que averigou essa indicação específica., Ademais, suspende a necessidade de centro de infusão, o que também facilita o manejo das atividades diárias dos pacientes e a normalização da vida pessoal e de trabalho, além de aliviar a demanda sobre esses centros e o sistema como um todo., Finalmente, isso também facilita o acesso a tratamento adequado a pacientes que por vezes têm de se deslocar longas horas para acesso à medicação, particularmente em zonas rurais, perdendo por vezes o dia de trabalho., Negativo e dificuldades: Nenhuma, nos pacientes tratados - aqui importante dizer que fui autor do estudo APPLY e estive com os 3 pacientes que tratei dentro do estudo clínico, tendo restrita experiência fora dessa situação - todos tiveram sensível melhora em todos os aspectos apontados, atualmente normalizados laboratorial e clinicamente.	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Ravulizumab, Crovalimab, Positivo: Em particular, o crovalimab traz muitos dos mesmos benefícios de acesso e equidade, mas não tem a mesma eficácia, tendo eficácia semelhante aos outros inibidores terminais (C5). Acresito que seja uma primeira linha bastante interessante a ser considerada, futuramente., Negativo: Eculizumab e Ravulizumab necessitam de deslocamento e não têm a mesma vantagem quanto à equidade., Esses dois e o crovalimab, ao terem efeito limitado ou nulo contra hemólise extravascular, não são alternativas de segunda linha um ao outro na maioria dos casos, de forma que, com essas medicações, a normalização da hemoglobina é para uma minoria dos pacientes., A Pegcítacopana, medicamento equivalente ao iptacopan em eficácia, demonstra maior número de eventos de hemólise de escape pela posologia e, embora autoadministrável, sua administração é mais trabalhosa e dificultosa, limitando seu uso prático quando comparado com a droga aqui em avaliação.	4ª - Os dados referentes a essa aprovação são fundamentalmente do estudo APPLY e sua extensão de 48 semanas ¹, A porcentagem de paciente com normalização de hemoglobina ficou em torno de 70% nesse estudo, com exatamente a indicação aqui proposta, com normalização de scores que qualidade de vida e desfechos paciente reportados², De forma importante, os dados até agora, mesmo com os estudos tendo sido realizados durante a pandemia de COVID-19, não sugerem imunossupressão adicional sensível pelo uso dessas medicações, mediante vacinação adequada¹, que já está incluída no PCADT atual., , ¹Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal haemoglobinuria: final 48-week results from the open-label, randomised, phase 3 APPLY-PNH trial in anti-C5-treated patients and the open-label, single-arm, phase 3 APPOINT-PNH trial in patients previously untreated with complement inhibitors Risitano, Antonio M et al. The Lancet Haematology, Volume 12, Issue 6, e414 - e430, ²Patient-reported improvements in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria treated with iptacopan from 2 phase 3 studies. Antonio M. Risitano et al. https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2024014652	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que incorporação de iptacopana para HPN no SUS é essencial para atender os pacientes com HPN que, mesmo em tratamento atual, continuam com necessidade transfusional e fadiga, permanecendo desassistidos e sem qualidade de vida que merecem. Essa população precisa de alternativas que permitam alcançar um “novo normal”, com mais autonomia e bem-estar. Além disso, oferecer opções que tragam sustentabilidade ao sistema é fundamental: hoje, pacientes precisam fazer infusões frequentes em alguns poucos centros espec’íficos, o que implica deslocamentos frequentes (mais de 50% dos pacientes não reside próximo aos centros designados para fazer a infusão). Como iptacopana é um tratamento oral, ela pode reduzir essa barreira, melhorar a adesão e diminuir custos indiretos, além dos ganhos de qualidade de vida para os pacientes, representando um avanço significativo tanto para os pacientes quanto para o sistema de saúde.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu já faço uso da medicação iptacopana 5 meses e a mesma melhorou muito a minha condição de vida não preciso viajar 250 km para fazer o tratamento que era injetável de 15 em 15 dias espero que seja aprovado pois todos os pacientes com HPN vão ter uma condição de vida melhor	2ª - Sim, Qual: Iptacopana de 200 mg, Positivo e facilidades: Parei de Hemolisar não tem mais desconforto abdominal, não tenho mais problema de ereção e nem dificuldade de engolir além do mais os episódios de vômitos pararam também e meu organismo ficou mais resistente voltei a jogar bola coisa que eu não conseguia fazer a mais de 10 anos , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Soliris eculizumabe , Positivo: No começo do meu tratamento em 2018 com o soliris minha saúde melhorou bastante, Negativo: Ao longo dos anos foi aumentando as quantidades de ampolas do soliris de 3 para 4 de 15 em 15 mesmo assim eu estava hemolisando e me sentindo muito mal ao ponto de ter me internado várias vezes percebi que a medicação não estava fazendo o efeito esperado	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que esse remédio seria de grande ajuda e um grande avanço no tratamento de pacientes com HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Consta no anexo	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Elimina a necessidade de infusões hospitalares, reduzindo o ônus do deslocamento e conferindo muito mais autonomia e conforto ao paciente. A conveniência posológica é um fator crucial que favorece a adesão contínua, o que se traduz diretamente em melhores desfechos clínicos, menor incidência de complicações e a redução de reinternações evitáveis., Do ponto de vista da administração pública, a adoção de uma terapia oral representa um ganho em eficiência operacional e sustentabilidade:, , Permite a deslocação de recursos humanos e estruturais (como salas de infusão e leitos-dia) que hoje estão comprometidos com a logística das infusões., , O planejamento da dispensação se torna mais simples, pois o medicamento pode ser fornecido diretamente pelas farmácias de alto custo, eliminando a complexidade do agendamento ambulatorial para infusão., Negativo e dificuldades: Custo direto do medicamento.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe e ravulizumabe, Positivo: redução da necessidade de transfusão e eventos trombóticos nos pacientes, Negativo: As medicações atualmente disponíveis exigem administração endovenosa, realizada em instalações hospitalares ou ambulatoriais., , Esse modelo de tratamento implica custos operacionais e logísticos elevados, demandando infraestrutura física específica (salas de infusão), mobilização constante de equipe multiprofissional e o deslocamento recorrente e oneroso dos pacientes., , Tais fatores exercem uma pressão significativa sobre a capacidade de atendimento dos serviços de saúde e representam uma barreira importante à plena adesão do paciente ao cronograma terapêutico.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Como gestor de Assistência Farmacêutica, responsável por garantir que os pacientes do SUS tenham acesso a terapias eficazes, seguras e capazes de modificar o curso clínico de doenças graves, entendo que a decisão preliminar da CONITEC pela incorporação de iptacopana representa um passo relevante para qualificar o cuidado de pessoas com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) e hemoglobina persistentemente baixa (<10 g/dL), mesmo após o uso de inibidores de C5., Trata-se de uma população altamente vulnerável, que apesar dos tratamentos disponíveis, continua apresentando anemia grave, fadiga incapacitante e, muitas vezes, dependência de transfusões — condição que compromete a qualidade de vida e impõe elevada carga assistencial ao sistema público., Nesse contexto, o ensaio clínico de fase 3 APPLY-PNH apresentou resultados expressivos e clinicamente relevantes em pacientes previamente tratados com C5, como elevação de ?2 g/dL da hemoglobina sem transfusão, versus 0% no grupo controle, em 82% dos pacientes, 69% alcançaram Hb ?12 g/dL sem transfusão, também contra 0% no comparador	2ª - Independência transfusional em 95% dos pacientes, comparado a 40% com C5	3ª -	4ª - Não	5ª - "Referência de Latour RP, Röth A, Kulasekararaj A, Hillmen P, Anand K, Urbano-Ispizua A, et al. Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal haemoglobinuria: primary analysis of the phase 3 APPLY-PNH and APPOINT-PNH trials. Lancet Haematol. 2025

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, e um remédio que controla melhor a hemólise , que tem chance de da uma qualidade de vida bem melhor que vai diminuir a transfusão de sangue, e melhora a fadiga. e uma medicação oral e vai diminuir a chance de ir ao centro de infusão para toma a medicação.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É muito importante sua incorporação já que age em mecanismos de tratamento não alcançados para paciente já em tratamento para a HPN, aumentando da hemoglobina, redução da necessidade de transfusões, melhora da fadiga e da qualidade de vida, que n]ao alcança com o tratamento atual disponível pelo SUS. Por ser um tratamento por via oral também vemos um grande benefício na adesão e conforto do paciente. ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tem experiência no uso de eculizumabe nos paciente do SUS, no HEMOSC, hemocentro de Santa Catarina. Vejo que alguns não alcança a resposta necessária para tratamento para a anemia. , Essa medicação também precisa ser aplicada endovenosa a cada 14 dias em local apropriado, geralmente em hemocentro, de forma contínua nos pacientes com indicação de tratamento. , A facilidade de medicação por via oral facilitaria muito a adesão ao tratamento com o Iptacopan., Positivo: Para o tratamento da HPN as outras terapias podem ser efetivas na grande parte dos pacientes, mas em alguns ainda há hemólise residual, ainda há doença para ser tratada, que podemos alcançar com o uso de Iptacopan., Negativo: Repito que ainda há pacientes que mantém anemia mesmo com o correto tratamento (por exemplo uso regular de eculizumabe) da HPN, havendo hemólise residual, queixas de anemia, fraqueza, necessidade de transfusão, dessa forma, é necessário outras alternativas para essa população.	4ª - Um dos principais estudos é o de fase III APPLY?PNH que incluiu adultos com HPN em terapia estável com inibidor de C5 por ? 6 meses, com hemoglobina média < 10 g/dL, que foram randomizados para mudar para Iptacopan 200 mg duas vezes/dia ou continuar o tratamento padrão com C5. Resultados no 24 semanas: em pacientes que mudaram para Iptacopan, aumento médio de Hb ~3,59 g/dL vs ~-0,04 g/dL no ramo C5. Média Hb no braço Iptacopan foi ~12,6 g/dL vs ~9,2 g/dL no braço C5. Independência de transfusão: estimado ~96,4% dos pacientes tratados com Iptacopan ficaram livres de transfusões versus ~26,1% no braço C5. , Melhora de fadigatambém foi significativa nessa população.	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esta nova fórmula vem para dar qualidade de vida para pacientes portadores de doenças raras .	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação tem como proposta cobrir os pacientes que não tem resposta adequada a medicação atualmente existente. Fica bom para o paciente que reduz morbidade e para o serviço que vai gastar menos recurso com esses pacientes que não são respondedores a medicação disponível.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumab, Positivo: a maior parte dos pacientes responde muito bem, porém alguns tem escape e nestes ainda há risco aumentado de trombose e eventualmente necessidade transfusional., Negativo: para os pacientes que não tem resposta completa ainda apresentam necessidade de transfusão e trombose.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vide documento anexo.	2ª -	3ª -	4ª - Vide documento anexo.	5ª - Vide documento anexo.

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Atualmente, aproximadamente 39% dos pacientes têm uma resposta menor ou parcial, se mantendo severamente anêmicos (Hb<10g/dL) e eventualmente com necessidade de transfusão. A anemia severa em um longo prazo pode levar a complicações severas como problemas cardíacos e até à falência múltipla de órgãos. Além de impactar diretamente a qualidade de vida de pessoas com PNH, sendo a fadiga o fator mais impactante. 1-8, Na minha experiência ao conviver com pessoas com HPN, vejo o impacto real da doença mal controlada no dia a dia com relatos desde “um bom dia é conseguir levantar da cama e pentear o cabelo e levar o filho na escola” a impactos em atividades básicas “como tomar banho ser um desafio. É necessário deixar sempre um banquinho no banheiro, ele já virou parte da rotina porque passa mal com frequência” e até relatos de impacto social como “não conseguir acompanhar colegas em atividades que requerem raciocínio rápido, uma vez que a fadiga também é mental” ou da pessoa ter adaptado a vida e se contentar com o que é possível “o corpo se adaptou a viver com dor, passou a ser normal. Para salvar o casamento, tem relações sexuais com dor mesmo e em festas e encontros, é visível que não está bem. Falta energia até para conversar.” [relatos pessoais de pessoas com HPN], Nesse contexto vejo como uma necessidade dessas pessoas terem acesso a medicamentos que permitam o controle abrangente da doença e permita que as pessoas que convivem com HPN possam ter suas vidas reestabelecidas ao normal., O controle abrangente da hemólise se dá ao controlar tanto a hemólise intravascular, marcado pelo controle do DHL com até 1,5x LSN, bem como o controle da hemólise extravascular que pode ser medido pela contagem absoluta de reticulócitos, demonstrando uma compensação da medula para hemólise remanescente no baço e fígado. 1-2	2ª - 9"	3ª - não houve aspectos negativos na minha experiência.	4ª - Sim	5ª - 4160067



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As incorporações tecnologicas só tem a agregar no desenvolvimento e atualização do SUS para qualquer area que a incorporação se direcione. Com certeza é suma importância essas pesquisas e tenham cada vez mais para atualizarmos o SUS e deixa-lo mais acessível a população brasileira.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todo medicamento para salvar vidas deveria ser incorporado ao Sus	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há evidências científicas suficientes de que a Iptacopana é eficaz e segura para os pacientes com resposta subótima aos inibidores de C5. Será um grande avanço para o SUS e de grande benefício para esses pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, o tratamento padrão, Positivo: muito eficaz pra a maior parte dos pacientes, Negativo: a periodicidade de administração, considerando a necessidade de deslocamento para um centro de referência muitas vezes longe do município do paciente.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento oral ,se necessidade transfusional 92 % taxa de resposta	2ª - Sim, Qual: Estudos de colegas , Positivo e facilidades: Taxa de resposta , Independência transfusional , Negativo e dificuldades: Droga nova	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Garantia de adesão , Segurança da medicação , Negativo: Taxa de normalização de hemoglobina em 20%, Necessidade de deslocamento para fazer a médica cão	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Não tenho opinião	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinuria paroxística noturna é uma doença que o paciente apresenta muita anemia e cansaço, a aplicação da primeira linha já é complicada (por se tratar de uma aplicação venosa). Esses paciente não tem outra linha se caso falhar a esse tratamento, O iptacopana entraria nesses casos, para melhor a anemia, além de ser medicação oral.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe , medicamento usado na primeira linha de tratamento, Positivo: O eculizumabe ajuda na melhora da anemia e diminui a transfusão nos pacientes tamebm, Negativo: o Eculizumabe tem alto custo	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação irá melhorar a qualidade de vida daqueles que necessitam	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Alternativa terapêutica inovadora, capaz de resolver o tratamento da HPN em pacientes que continuam anêmicos sob tratamento tradicional.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE , Positivo: Aumento da sobrevida do paciente, Negativo: A infusão duas vezes no mês	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação da Iptacopana no SUS é importante para ampliar as opções terapêuticas das pessoas com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), principalmente para aqueles que já utilizaram inibidores de C5, mas que continuam apresentando anemia e sintomas debilitantes, como fadiga, fraqueza e necessidade de transfusões., , A HPN é uma doença rara, de evolução crônica e impacto significativo na qualidade de vida. Quando o tratamento disponível não é suficiente para manter níveis adequados de hemoglobina, o paciente permanece em sofrimento e com risco aumentado de complicações, internações e redução da capacidade funcional., , A Iptacopana oferece um mecanismo de ação complementar ao bloqueio de C5, podendo contribuir para melhorar o controle da hemólise, reduzir transfusões, diminuir sintomas e favorecer uma vida mais ativa e produtiva., , Considerando que o SUS tem como princípio a integralidade do cuidado e a equidade no acesso, é fundamental garantir que pessoas com HPN tenham acesso a alternativas terapêuticas eficazes, principalmente quando o tratamento padrão não apresenta resposta satisfatória., , Por esses motivos, sou favorável à incorporação da Iptacopana no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Abrale apresenta contribuição favorável à incorporação do iptacopana para pacientes adultos com hemoglobínúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina < 10 g/dL., O estudo da Abrale sobre o panorama da HPN no Brasil evidenciou o alto impacto clínico e social da doença, com pacientes enfrentando fadiga intensa, infusões frequentes e dificuldades de adesão., O iptacopana, por ser um medicamento oral e de mecanismo inovador, oferece melhora expressiva de qualidade de vida, adesão e autonomia, além de reduzir hospitalizações e custos assistenciais., A Abrale endossa os pareceres da ABHH, que reconhecem o benefício clínico e a segurança da tecnologia, e reforça a importância de alinhar sua análise à Portaria GM/MS nº 8.477/2025 (AF-ONCO), que prioriza tecnologias de alto valor terapêutico e sustentável., A incorporação do iptacopana representa um avanço na equidade e integralidade do cuidado aos pacientes com HPN, em consonância com a Política Nacional de Prevenção e Controle do Câncer (Lei nº 14.758/2023).	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse remédio irá ajudar as pessoas que sofrem com a doença	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Minha mãe teve sua saúde elevada com o uso do remédio , Negativo e dificuldades: Nenhuma. Somente positivas	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável ao tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidor de C5 (eculizumabe ou ravulizumabe) e que apresentam hemoglobina <10 g/dL. Apesar dos avanços com os inibidores de C5, como eculizumabe e ravulizumabe, uma parcela significativa dos pacientes permanece com anemia persistente e dependência de transfusões. Esses pacientes apresentam hemólise extravascular residual, decorrente da ativação da via alternativa do complemento que não é totalmente bloqueada pelos inibidores de C5. Portanto, há necessidade clínica clara de novas abordagens terapêuticas que controlem mais completamente a ativação do complemento. Maior controle da doença: A incorporação reduzirá casos de anemia persistente, necessidade de transfusões e internações hospitalares., , Além disso, o medicamento é administrado por via oral, maior comodidade do tratamento, reduz custos com infusão, deslocamento e tempo de equipe, aumentando adesão e conforto do paciente., , Racionalidade econômica: Embora o custo unitário do medicamento seja elevado, o impacto orçamentário incremental é compensado por menor necessidade transfusional e assistência médica intensiva.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Conforme já informei, tive experiência com medicamento já padrão utilizado pelo SUS, ECULIZUMABE., Positivo: "A iptacopana promoveu aumento significativo dos níveis de hemoglobina em comparação com o tratamento padrão, Negativo: , , Houve redução da necessidade transfusional e melhora da qualidade de vida relacionada à fadiga	4ª - Conforme já informei, tive experiência com medicamento já padrão utilizado pelo SUS, ECULIZUMABE, necessidade de infusões quinzenais e alguns pacientes mantêm hemólise de escape.	5ª - Não
Interessado no tema 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Primeiro e único medicamento monoterapia oral para o tratamento da HPN no Brasil.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser implementado para melhoria da qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A ciência sempre deve estar aliada à área de saúde.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A presença desse medicamento na rede publica abrirá portas para uma maior qualidade de vida de pessoas com a doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento via oral, o que facilita a adesão do paciente., Mecanismo de ação amplo, melhor resposta ao tratamento.	2ª - Sim, Qual: Paciente jovem, trocou a medicação endovenosa (eculizumabe) pela medicação via oral iptacopana., Resposta sustentada, hemograma normal. , Sem recaídas., Positivo e facilidades: Fácil adesão, medicação via oral, não necessita de centros de infusão. Paciente tem liberdade de deslocamento., A resposta é boa, melhora da anemia, das dores abdominais e das crises de hemólise., Negativo e dificuldades: Não é disponível para todos os pacientes.,	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora do hemograma, sem necessidade de transfusão., Função renal preservada., Negativo: A medicação, por ser endovenosa, requer local adequado para aplicação (centro de infusão), o paciente deve cumprir as aplicações em dias determinados, perdendo a qualidade de vida.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "A Casa Hunter apoia a incorporação da iptacopana no SUS para adultos com HPN previamente tratados com inibidor de C5 e hemoglobina < 10 g/dL, conforme o escopo da CP 88/2025. A recomendação se fundamenta em: (i) benefício clínico e funcional em anemia residual/fadiga	2ª - (ii) melhora de qualidade de vida e autonomia com via oral	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, a iptacopana representa um avanço importante no tratamento das doenças mediadas pelo sistema complemento, como a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), e tem vários diferenciais em relação às drogas usadas até agora (como eculizumabe e ravulizumabe)., Tem.um.Mecanismo de ação diferente, , Iptacopana atua inibindo o fator B da via alternativa do complemento, ou seja, atua antes da formação do complexo C3 e C5., , Já eculizumabe/ravulizumabe bloqueiam o C5, impedindo apenas a etapa terminal (formação do complexo de ataque à membrana). Consequência:, A iptacopana bloqueia mais “cedo” a ativação do complemento ? reduz tanto a hemólise intravascular (dentro dos vasos) quanto a hemólise extravascular (mediada por C3)., Os inibidores de C5 controlam bem a hemólise intravascular, mas não controlam completamente a extravascular, o que pode deixar pacientes ainda anêmicos., Iptacopana: oral, duas vezes ao dia., Eculizumabe / Ravulizumabe: infusões intravenosas (a cada 2 semanas ou 8 semanas)., Vantagem: muito mais conveniente — melhora a qualidade de vida, reduz necessidade de hospital/centro de infusão.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Controle da doença e de suas complicações , Negativo: Administração parenteral e necessidade de comparecimento ao centro de infusão , Hemolise de escape.	4ª - , Estudos (como o APPOINT-PNH e o APPLY-PNH) mostraram que a iptacopana:, , Controla a hemólise tão bem ou melhor que o eculizumabe,, , Melhora os níveis de hemoglobina significativamente	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho necessário e de suma importância que tais tecnologias e medicamentos sejam incorporados ao SUS, pelo fato de trazerem mais qualidade de vida para pacientes e familiares.	2ª - Sim, Qual: Sim, Eculizumab Soliris., Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida e prognóstico da doença., Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumab Soliris., Positivo: Melhora na qualidade de vida, sintomas e expectativa prognostica do paciente. , Negativo: Algumas burocracias para receber o medicamento.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pessoas estão precisando dessa ajuda	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante haver mais uma opção de terapia para portadores de HPN. Ainda, esse medicamento inibe o complemento C3, que evitando hemólise de escape, um sintoma presente no meu familiar que é portador de HPN. A medicação seria uma ótima opção para o caso dele.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab e Crovalimab, Positivo: Recuperação da qualidade de vida, aumento da sobrevida de portadores de HPN e controle muito efetivo da patologia., Negativo: Auto custo, inacessibilidade e não bloqueio do complemento C3.	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 10/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Iptacopana é a primeira monoterapia oral para HPN. Os tratamentos atuais (inibidores de C5) requerem infusões intravenosas frequentes (quinzenais ou a cada 8 semanas), realizadas em centros de referência. O Iptacopana vai dar uma autonomia maior, evitando deslocamentos frequentes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eu tomo o medicamento Eculizumabe, onde é necessário a cada 15 dias ir no Hospital para realizar a infusão. , Positivo: Com o uso do Eculizumabe, observei a diminuição da hemólise, redução no risco de ter novos quadros de trombozes, estabilização dos níveis de Hemoglobina e Leucócitos. Diminuição da fadiga e do cansaço. , Negativo: O fato de ter que ir de 15 em 15 dias no hospital é um dos pontos negativos, pois toda a programação e organização da minha rotina deve respeitar esse intervalo de tempo.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Opção tem se mostrado muito boa para pacientes com pobre resposta e persistência de anemia com as outras drogas. E tem o benefício e praticidade da via oral.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris , Positivo: Relatos de melhor resposta e controle da anemia., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque, é um medicamento, que melhora a fadiga, é oral, controla a hemólise, tem chance de dar melhor qualidade de vida	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à inclusão de iptacopan no SUS, uma vez que, conforme o PCDT atual, não há alternativa efetiva para pacientes que permanecem com resposta inadequada ao eculizumabe, seja por falha terapêutica, seja por anemia residual, excetuando-se o transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas, intervenção de alto custo e elevada morbimortalidade. A disponibilidade de iptacopan preencheria essa lacuna assistencial, oferecendo controle mais completo da hemólise e potencial redução de transfusões, com impacto direto na qualidade de vida desses pacientes.	2ª -	3ª -	4ª - Medicamentos como o eculizumabe, inibidor de C5 disponível no SUS, embora apresentem boa resposta, ainda podem falhar em controlar a hemólise residual/extravascular. O iptacopan, por atuar de forma mais proximal na via alternativa do complemento, consegue controlar tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular. Estudos clínicos, como APPLY-PNH e APPOINT-PNH, demonstraram que pacientes previamente anêmicos ou dependentes de transfusão passaram a apresentar aumento de hemoglobina, independência transfusional, melhora de sintomas relacionados à hemólise e impacto positivo na qualidade de vida. Conforme o PCDT vigente, não há alternativa terapêutica disponível no SUS em caso de falha ao eculizumabe, exceto o transplante de células-tronco hematopoéticas alogênico, que implica maior custo e morbimortalidade., , https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S0268960X24000432 , https://www.thelancet.com/journals/lanhae/article/PIIS2352-3026(25)00081-X/abstract , https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/resumos/pcdt_resumido_hemoglobinuriaparoxisticanocturna.pdf	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todo o tipo de doença, inclusive as mais raras, deviam ser incorporada ao SUS.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do iptacopan pelo SUS. Como marido de uma paciente com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), vejo de perto os desafios do tratamento atual com eculizumabe. Apesar de ser um avanço, ele não bloqueia o fator B da via alternativa do complemento, o que resulta em hemólise residual e sintomas persistentes. Isso compromete a qualidade de vida da minha esposa, que precisa ir ao hospital a cada 14 dias para infusões intravenosas, prejudicando suas veias e sua rotina., O iptacopan, por ser um medicamento oral e com mecanismo de ação mais abrangente, oferece controle superior da hemólise e melhora dos níveis de hemoglobina. Isso reduz a necessidade de transfusões, hospitalizações e intervenções emergenciais, gerando economia direta e indireta para o SUS., No entanto, me preocupo com a recomendação da CONITEC de restringir o uso do iptacopan apenas a pacientes com hemoglobina abaixo de 10 g/dL. Há pacientes, como minha esposa, que mesmo com hemoglobina em torno de 10 ainda apresentam sintomas significativos, como fadiga, dores e limitações funcionais. A resposta clínica não pode ser avaliada apenas por um número laboratorial, mas sim pelo impacto real na vida do paciente e só quem poderá avaliar isso é o seu médico., Do ponto de vista econômico, a incorporação do iptacopan é necessária. O custo das infusões de eculizumabe, somado à logística hospitalar e aos impactos da hemólise não controlada, torna o tratamento atual mais caro. O iptacopan, ao ser administrado em casa, elimina esses custos recorrentes e melhora a adesão ao tratamento., A aprovação do iptacopan representa uma decisão clínica acertada e uma medida de responsabilidade fiscal e social.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Claramente trará benefícios para nossos pacientes com poucas opções terapêuticas. Além da redução de custo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Oportunidade de tratamento. Melhora clinica, , Negativo: Escapes de hemolise, Períodos de falta de medicamento liberado pelo SUS.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, NDN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Esse medicamento de uso oral, vai proporcionar:, , Menor ônus financeiro com despesas hospitalares, clínicas e a aquisição de insumos para infusão., , Mais conveniência e rapidez no processo de tratamento, eliminando a necessidade de deslocamentos frequentes a estabelecimentos de saúde., , Otimização da efetividade terapêutica e aprimoramento da qualidade de vida, dada a sua ação mais abrangente sobre os diferentes tipos de hemólise (intravascular e extravascular)., , Geração de maior poupança para o erário público ao evitar o desperdício de medicamentos endovenosos em pacientes que experimentam ""escapes"" (quando a medicação não mantém sua eficácia até o ciclo de infusão seguinte, exigindo mais doses ou intervalos menores entre as aplicações)., , Prevenção da perda de horas de trabalho e ausências, tanto para trabalhadores do setor privado quanto para servidores públicos, resultando em um incremento da produtividade., , Possibilidade de realizar viagens, seja a negócios ou a lazer (o que contribui significativamente para o bem-estar mental e a qualidade de vida dos indivíduos em tratamento)., , Redução do desgaste físico e emocional dos pacientes no manejo da condição, bem como a diminuição do impacto nas rotinas dos seus familiares e círculos sociais., , O investimento inicial no medicamento é compensado a longo prazo pela diminuição dos custos associados a serviços médicos e internações hospitalares provocadas por falhas terapêuticas (""escapes"")., , A medicação proporciona ao paciente uma existência notavelmente mais próxima da normalidade, similar à experiência de qualquer indivíduo que faz uso de medicamentos por via oral."	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com a carga tributária elevada, benefícios devem ser devolvidos a sociedade de diversas, entre elas, na forma de medicamentos, produtos ou procedimento	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessidade médica não atendida, visto que parcela significativa dos pacientes com HPN, apesar do aumento de sobrevida com as drogas atualmente incorporadas, mantém anemia, fadiga e consequente impacto na qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Anexo com descrição de resultados obtidos no acesso expandido realizado em nossa Instituição.	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pelo fato de ser um tratamento via oral e melhorar a qualidade de vida do paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Redução da homolise e da anemia estabilizando as plaquetas, leucócitos e hemoglobina., Negativo: Custo elevado e necessidade de deslocamento até o hospital a cada 15 dias.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente da hpn, será um excelente remedio	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, iniciei em fevereiro de 2025, mas a importação é bem complicada, valor altíssimo , Positivo: Como tive trombozes em setembro de 2024, ao iniciar o tratamento com ravulizumabe em fevereiro de 2025, melhorei o cansaço, a falta de ar, Negativo: Este novo medicamento cura a hemólise que os remédios anteriores não são capazes	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A proposta de incorporação do iptacopana (Fabhalta®?) ao Sistema Único de Saúde representa um avanço significativo no cuidado de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), especialmente aqueles que apresentam resposta subótima ao tratamento com inibidores de C5 e níveis de hemoglobina persistentemente baixos (<10 g/dL). O iptacopana é o primeiro medicamento oral aprovado para HPN, com mecanismo de ação voltado à inibição seletiva da via alternativa do complemento, oferecendo uma abordagem terapêutica inovadora e potencialmente mais eficaz para pacientes que não alcançam controle adequado da hemólise com os tratamentos atuais. Além dos benefícios clínicos, a administração oral pode melhorar a adesão ao tratamento, reduzir a necessidade de infusões intravenosas frequentes e ampliar o acesso em regiões com menor infraestrutura hospitalar. Isso é especialmente relevante no contexto do SUS, onde a logística de medicamentos intravenosos pode representar uma barreira ao cuidado contínuo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Qualquer tipo de doença deve ser patrocinado estudos	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este é um medicamento importantíssimo para melhoria de qualidade de vida dos pacientes com essa doença rara	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma porcentagem significativa dos pacientes com a doença não tem uma resposta satisfatória ao tratamento tradicional com Eculizumabe / Ravilizumabe, apresentando hemólise importante mesmo com as doses efetivas, com má qualidade de vida e complicações. No nosso serviço temos pelo menos três casos assim, e um, que está usando a medicação proposta pelo acesso expandido, a Iptscopana, , teve uma resposta excelente em poucas semanas. Trata-se de uma necessidade médica não atendida, e essa medicação é essencial	2ª - Sim, Qual: Iptacopana , Positivo e facilidades: Muito positiva, resposta completa que nunca havia sido obtida antes pelo tratamento tradicional , Negativo e dificuldades: Depende de programa de acesso expandido, sendo que os outros pacientes que a necessitam não puderam recebê-la	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe é Rsvuulizumabe , Positivo: A maioria dos pacientes responde muito bem, mas cerca de 30% não respondem, Negativo: 30 por cento dos casos não respondem adequadamente e não tem outra alternativa terapêutica	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhoria à saúde publica	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho amiga portadora e melhorou com o uso da medicação., Como profissional de saúde observo também em outras pessoas a melhora com o uso da meditação	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Não tive, Positivo: Não posso dizer , Negativo: Não se aplica	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que o medicamento deve ser incorporado ao SUS para oferecer oportunidade de sobrevivência e qualidade de vida aos pacientes portadores da doença. Não dispomos de muitos recursos para tratar a doença, e por se tratar de doença rara, a oportunidade igualitária da população em ter acesso a medicamentos cuja eficácia foi comprovada por meio de estudos científicos é questão de justiça. Todos devem ter direito ao acesso à melhores tratamentos disponíveis.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação em avaliação vai contribuir significativamente na vida dos pacientes com HPN, trazendo inúmeros benefícios, entre eles, não precisar ir a hospitais e melhor eficácia no tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Utilizo o Eculizumabe., Positivo: A vida! Não posso ficar sem a medicação., Negativo: "Fazer a infusão quinzenalmente em hospital	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Diante das evidências e do contexto, considero favorável à incorporação de Iptacopan no SUS para tratamento de adultos com HPN, devendo a incorporação contemplar:, , Definição criteriosa de elegibilidade (adultos com HPN confirmada, anemia residual ou necessidade de tratamento), Inclusão no rol da Hemorrede como terapia de 1ª ou 2ª linha (dependendo de linha de tratamento vigente), Estabelecimento de protocolo clínico-operacional integrado (farmacêutico, hematologia, hemoterapia, acompanhamento ambulatorial), Monitoramento sistemático de segurança, eficácia e adesão pós-incorporação, Análise de impacto orçamentário e acompanhamento dos resultados em âmbito nacional,	2ª - Sim, Qual: iptacopana e Inibidores de C5, Positivo e facilidades: Melhora dos parâmetros hematológicos do paciente, como: aumento da Hemoglobina e redução dos reticulócitos. Diminuição da fadiga e aumento da qualidade de vida do paciente., Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravalizumabe, Positivo: Melhora dos parâmetros hematológicos do paciente, como: aumento da Hemoglobina e redução dos reticulócitos. Diminuição da fadiga e aumento da qualidade de vida do paciente., Negativo: Via de administração., Necessidade de infusão em centro especializado., Falha no alcance da Hb ideal em alguns pacientes., Dificuldade de acesso aos centros tratadores aos pacientes de regiões remotas.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Portanto, a incorporação do iptacopana no SUS é uma medida promissora, especialmente para pacientes refratários ao tratamento padrão, e deve ser considerada com base em critérios de efetividade clínica, segurança, custo-efetividade e equidade no acesso.,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A administração por via oral do Iptacopana traz uma série de benefícios que vão além da praticidade. Em primeiro lugar, ela reduz custos relacionados a internações, materiais e procedimentos hospitalares, já que elimina a necessidade de infusões. Além disso, o tratamento se torna mais ágil e acessível, evitando deslocamentos frequentes às unidades de saúde., Outro ponto importante é a eficácia: o Iptacopana oferecerá maior cobertura contra as hemólises intra e extravascular, com resultados mais consistentes e melhora significativa na qualidade de vida. Para o sistema público, isso também representa economia, especialmente em casos de pacientes que apresentam falhas no tratamento com infusão e demandam doses adicionais ou intervalos menores entre infusões (como no meu caso com o Soliris)., No dia a dia, o Iptacopana reduzirá faltas no trabalho e períodos improdutivos, permitindo que o paciente mantenha sua rotina profissional (sem faltas no trabalho) e até realize viagens, seja a trabalho ou lazer, o que impacta positivamente na saúde mental. Além disso, diminui o esforço físico e emocional exigido do paciente e de seus familiares, tornando o enfrentamento da doença menos desgastante., Por fim, embora o custo do medicamento possa parecer elevado inicialmente, ele é compensado ao longo do tempo pela redução de gastos com serviços médicos e internações, inclusive por problemas no tratamento venoso (hematomas, desgaste e enfraquecimento de veias). O maior benefício, porém, é a transformação na vida do paciente, que passa a ter uma rotina muito próxima à de qualquer pessoa que utiliza medicamentos orais para outras condições.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Isso ajudaria centenas de pessoas que hoje precisam de um apoio mais completo.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação IPATACOPANA tem demonstrado eficácia em relação ao pacientes em que o uso previo do anti-C5 nao obteve resposta hematológica, levando ao resgate terapeutico desses pacientes inclusive com independencia transfusional,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Aumento tanto da sobrevida e quando aqualidade de vida de forma absoluta, inclusive equiparando-se a bem proximas da população não portadora de HPN , Negativo: Sem	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As drogas disponíveis não apresentam respostas satisfatórias	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Ecolizumabe , Positivo: Melhora hematimetrica, Negativo: Resposta parcial é pouco significativa	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporada no SUS para melhoria de saúde das pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada ao sus	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, VER RELATORIO	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Em síntese, a adoção do tratamento por via oral reduz gastos com hospitais, clínicas e materiais de infusão, ao mesmo tempo em que traz mais praticidade e agilidade ao cuidado, pois elimina deslocamentos até unidades de saúde. Do ponto de vista clínico, oferece maior eficácia pela cobertura dos dois tipos de hemólise, intra e extravascular. Para o Estado, há ganho econômico adicional quando comparado ao regime venoso em pacientes com “escapes” (situação em que o fármaco não mantém eficácia até o próximo ciclo e exige mais frascos ou intervalos menores entre infusões). No plano laboral e social, o regime oral evita perda de horas de trabalho e faltas, elevando a produtividade, permite viagens a trabalho, e mesmo a turismo, com reflexos positivos na saúde mental e na qualidade de vida, e reduz o esforço do paciente no enfrentamento da doença, mitigando impactos na rotina de familiares e amigos. Ao final, o custo do medicamento se dilui no longo prazo pela menor demanda por serviços médicos e por internações decorrentes de escapes, aproximando a rotina do paciente de uma normalidade praticamente equivalente à de quem utiliza tratamento oral.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tratamento com infusões., Positivo: Também é um tratamento eficaz, mas com todos os pontos negativos abaixo., Negativo: Quando comparadas ao regime oral, as infusões por via venosa agregam uma série de ônus clínicos, logísticos e econômicos. Do ponto de vista clínico, expõem o paciente a eventos inerentes ao acesso vascular: dor, flebite, infiltração/extravasamento, hematomas e, nos acessos prolongados (PICC/port-a-cath), risco adicional de infecção e trombose, além das reações de infusão (hipersensibilidade imediata, queda pressórica, febre, calafrios) que podem exigir interrupção do tratamento. Há ainda maior probabilidade de erros de taxa/tempo de administração e dependência de protocolos rígidos, o que reduz a flexibilidade terapêutica. Em terapias que exigem níveis séricos mínimos para manter eficácia, os “escapes” entre ciclos (perda de efeito antes da próxima dose) são mais frequentes, levando a adensamento de doses ou aumento de frascos, com elevação de custo e variabilidade de resposta.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que este medicamento deva ser incorporado ao SUS pois os estudos recentes demonstram proporcionar melhor qualidade de vida aos pacientes, especialmente para aqueles que não respondem bem aos tratamentos atuais, com redução de complicações graves e potencial diminuição de custos relacionados à hospitalizações e transfusões. A incorporação deste novo tratamento ao SUS, considerando critérios de efetividade clínica e segurança, oferecerá a todos mais equidade no acesso.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tecnologia absurdamente necessária para os pacientes que sofrem diariamente com tratamentos antiquados e inadequados para sua doença. Essa medicação pode mudar o paradigma do tratamento e qualidade de vida desses pacientes.	2ª - Sim, Qual: iptacopana para HPN, Positivo e facilidades: Qualidade de vida e diminuição de risco de morte por trombose e outros., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Corticoides e antiagregante, Positivo: Nada , Negativo: Inchaço, problemas renais, sobrevida baixa e com pessima qualidade de vida	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que este medicamento deve ser incorporado pois existem portadores de HPN que não respondem ao eculizumabe e precisam de outra linha terapeutica. Esta é uma doença rara, mas grave. Acho que a medicação deva ser liberada apenas para aqueles com anemia significativa ou evento trombótico.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana - com otimos resultados em 3 pacientes que haviam tentado o eculizumabe, Positivo e facilidades: Uma melhora importante da hemolise com elevação da hemoglobina, Negativo e dificuldades: Nao tivemos eventos adversos.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Nos pacientes com boa resposta há melhora da anemia e dos sintomas de fadiga relacionados a hemolise, Negativo: Necessidade da aplicação endovenosa é um ponto negativo do eculizumabe.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É da maior importância que a medicação seja oral e disponibilizada, pelo SUS, ao público que necessita. Para melhor qualidade de vida,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A população deve ter acesso amplo a tratamento de qualquer natureza. Principalmente doenças auto-imunes.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "No estudo APPLY-PNH, randomizado e aberto, 97 pacientes com HPN e anemia residual (Hb <10 g/dL) sob terapia anti-C5 foram avaliados. O iptacopana oral demonstrou superioridade sobre a continuação do anti-C5. Após 24 semanas, 82,3% dos pacientes no grupo iptacopana atingiram aumento de hemoglobina (Hb) ?2 g/dL sem transfusão, contra 2,0% no grupo controle (p<0,001). Similarmente, 68,8% alcançaram níveis de Hb ?12 g/dL, versus 1,8% no controle (p<0,001) [1]. Dados de 48 semanas confirmaram a manutenção dos benefícios e um perfil de segurança favorável [2]., Como terapia de primeira linha no estudo APPOINT-PNH (braço único, n--40), 92,2% dos pacientes virgens de tratamento atingiram o desfecho primário de aumento de Hb ?2 g/dL sem transfusão [1]., O sucesso do iptacopana deve-se ao controle eficaz da hemólise intravascular e extravascular, resultando em melhoras significativas na fadiga e qualidade de vida [3]. Seu perfil de segurança foi consistente, com cefaleia e infecções do trato respiratório superior como eventos adversos mais comuns., Referências:, Peffault de Latour R, et al. N Engl J Med. 2024	2ª - 390(11):994-1008., Risitano AM, et al. Lancet Haematol. 2025	3ª -	4ª - Não	5ª - Sim
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, a incorporação pelo SUS facilitará os pacientes por se tratar de medicação via oral, deixando de comparecer com frequência ao hospital para infusão parenteral e custo benefício ao paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe e ravulizumabe, Positivo: divisor de águas, melhora considerável da evolução do quadro clínico de HPN dos pacientes, Negativo: alguns pacientes apresentaram resposta parcial com o uso dessas medicações	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação em questão deverá promover uma melhora significativa na qualidade de vida dos pacientes e maior adesão	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar de ser uma doença rara, não há tratamento adequado no serviço publico.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou Hematologista e trato HPN há vários, possuo 3 pacientes em tratamento no momento e alguns pacientes não conseguem controle da Hemólise somente com o Eculizumabe e necessitam de um bloqueio mais proximal do complemento para controle da doença .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Ravalizumabe, Positivo: Redução da dependência transfusional, da hemólise e seus sintomas. Redução do risco trombótico , Negativo: Algumas vezes não consegui controle da necessidade trabsfusional somente com Eculizumabe e há necessidade da associação com Iptacopan	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pessoas que recebem essa medicação conseguem viver plenamente suas vidas, conseguem trabalhar, constituir família, cuidar de seus dependentes, e contribuir com a sociedade ativamente.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com o acesso a essa medicação as pessoas terão a oportunidade de continuar vivendo suas vidas.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado, pois tem direito a saúde plena	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deve ser incorporado, pois essa medicação mostrou ser mais eficaz comparada a que já existe hoje, eculizumabe, além de trazer benefícios como: comodidade posológica, por ser oral, melhora da hemoglobina e da fadiga. Teremos também liberação de cadeiras, para outros protocolos terapêuticos. , No nosso serviço de hematologia - temos 2 pacientes em uso da medicação. Os dois já sem anemia e um deles já sem necessidade transfusional. Dois pacientes a menos em esquema infusional.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso de inibidores de complemento é amplamente usado na HPN, temos experiência com os inh de C5 com bons resultados compatíveis com o descrito la literatura, porém alguns casos selecionados beneficiam-se de ajuste no tratamento com o iptacopana, como os pacientes com persistência de anemia ao despeito do tratamento com inh de C5, onde teria como objetivo o bloqueio da hemolise intra e extravascular, reduzindo transfusões, além de que tem a vantagem de ter posologia de comprimido via oral, diferente dos eculizumabe e ravulizumabe. Dados da literatura conferem segurança e desfechos positivos na HPN.	2ª - Sim, Qual: Uso na minha pratica clinica os inibidores do complemento, Positivo e facilidades: Controle da doença , Diminuição das transfusões , Diminui morbi mortalidade, Controle do clone , , Negativo e dificuldades: Descrito na pergunta 12	3ª - Sim, Qual: Trasplante de medula óssea, Positivo: Cada opção de tratamento apresenta as suas indicações , Negativo: .	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para a saúde e evolução da saúde pública	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento muito importante para os pacientes portadores de HPN que precisam se deslocar (muitas vezes de municípios distantes de sua residência) para fazer imunobiologico endovenoso), pacientes sem condições financeiras de se deslocarem.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Controle eficaz da doença,, Qualidade de vida do paciente,, Comodidade do paciente poder fazer via oral, sem se expor a punções venosas. , Negativo e dificuldades: Não vi aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: Adminstracao endovenosa de eculizumabe., Positivo: Controle da doença., Negativo: "Deslocamento do paciente para um centro de infusão	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante de outra tecnologia 11/11/2025	1ª - Não tenho opinião formada, "A manutenção do Eculizumabe como primeira linha é recomendada, uma vez que não há evidências que justifiquem sua substituição. O medicamento deve permanecer como padrão terapêutico, conforme o PCDT vigente, especialmente quando considerado que ensaios clínicos de longo prazo e análises de mundo real confirmam que o tratamento resulta em um controle rápido e sustentado da hemólise intravascular, refletido pela redução significativa e consistente dos níveis de lactato desidrogenase., , A opinião pela não incorporação ampla e irrestrita do Iptacopana é consequência de que a evidência de superioridade é proveniente de um único estudo comparativo APPLY-PNH (NCT04558918), que é de baixa a muito baixa qualidade, devido ao alto risco de viés. A decisão de indicar transfusão sanguínea — componente essencial dos endpoints primários ("sem transfusões") — é subjetiva e altamente suscetível a manipulação ou expectativa em um estudo aberto., , Essa fragilidade metodológica é corroborada pela disparidade extrema nos resultados: 82,3% de sucesso no Iptacopana versus 0,0% no grupo controle anti-C5. Além disso, o estudo não gera evidência de superioridade para o uso em primeira linha, e o seguimento de 24/48 semanas é insuficiente para avaliar desfechos clinicamente relevantes e de longo prazo, como eventos tromboembólicos e mortalidade., A incorporação condicional da Iptacopana, caso seja considerada após a consulta pública, deve ser estritamente limitada a pacientes com refratariedade documentada ao Eculizumabe. Mesmo assim, deve estar sujeita a monitoramento rigoroso de efetividade e segurança no mundo real., , Considerando que a incorporação de novas tecnologias no SUS deve ser pautada por evidências robustas, entende-se que a inexistência de estudos confirmatórios de alta qualidade fragilizam a decisão de incorporação desta nova tecnologia, especialmente em situação de substituição do eculizumabe como primeira linha., "	2ª -	3ª -	4ª - A evidência clínica para a superioridade da Iptacopana, um inibidor oral do Fator B, baseia-se unicamente no estudo APPLY-PNH (NCT04558918), o único ensaio concluído de Fase 3 randomizado com comparador ativo (anti-C5). Contudo, a qualidade da evidência é baixa devido ao alto risco de viés sistemático. A decisão de indicar transfusão sanguínea é subjetiva e altamente suscetível a viés de medição, o que é sugerido pelos resultados extremos (82,3% vs 0,0% de sucesso para Iptacopana vs controle). O estudo, que avaliou pacientes com anemia residual após anti-C5, não produz evidência para uso em primeira linha. O seguimento de 24/48 semanas é insuficiente para avaliar desfechos clinicamente relevantes e de longo prazo. Tais limitações metodológicas impedem conclusões robustas sobre superioridade terapêutica., , O Eculizumabe (anti-C5) é a terapia padrão de primeira linha para a HPN, demonstrando eficácia e segurança sustentadas no tratamento de longo prazo. Ensaios clínicos de extensão e análises de mundo real confirmam que o tratamento resulta em um controle rápido e sustentado da hemólise intravascular, refletido pela redução significativa e consistente dos níveis de lactato desidrogenase, além de prevenir complicações potencialmente fatais, como a redução drástica de eventos trombóticos e a melhoria ou estabilização da função renal,	5ª - A principal preocupação técnico-econômica observada na avaliação do Iptacopana versus anti-C5 (Eculizumabe/Ravulizumabe) no Relatório Preliminar da CONITEC (outubro/2025) reside na análise de custo-utilidade., , O Relatório da CONITEC utilizou um valor de referência do Eculizumabe de R\$ 15.081,70. Essa metodologia é limitada por desconsiderar a expectativa de redução de preços decorrente da Parceria para o , , Desenvolvimento Produtivo (PDP) aprovada em 2025., , A manutenção do preço de referência do Eculizumabe sem considerar a aplicação da redução esperada por uma PDP subestima a eficiência de custo da tecnologia atualmente incorporada., , Portanto, a análise de custo-utilidade e impacto orçamentário deve ser revista, considerando os preços do Eculizumabe decorrentes da PDP de 2025. A adoção dos preços revisados tenderia a tornar a análise econômica mais favorável ao Eculizumabe em comparação com alternativas sem redução de preço assegurada, reforçando sua posição como padrão terapêutico.,

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				proporcionando uma melhoria substancial na sobrevida. , , HILL A, et al. Sustained response and long-term safety of eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. 2005 , KIM JS, et al. Long-Term Efficacy and Safety of Eculizumab in Patients With Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria and High Disease Burden: Real-World Data From Korea. J 2023 , KULAGIN AD, et al. Results of Long-Term Therapy with a Biosimilar of Eculizumab in Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. 2025 , VERSMOLD K, et al. Long-term outcomes of patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria treated with eculizumab in a real-world setting. 2023 ,	
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana é uma alternativa terapêutica para pacientes com HPN que não respondem adequadamente ou que são refratários aos inibidores de C5 e portanto deve ser incorporada no SUS	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, iptacopana, Positivo e facilidades: Os pacientes que apresentam anemia persistente após uso de eculizumabe podem alcançar resposta e melhora da anemia após o uso de iptacopana por ela agir em via alternativa do complemento a via que o eculizumabe age. Além disso, iptacopana é administrada por via oral o que permite maior mobilidade e independência ao paciente, uma vez que com o eculizumabe o paciente tem que comparecer ao centro de infusão de referência a cada 15 dias para administração da medicação que é injetável. , Negativo e dificuldades: A medicação pode levar a alguns efeitos colaterais como diarreia, cefaleia, infecções virais	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, pegcetacopana, Positivo: Uma porcentagem de pacientes alcança resposta e melhora dos sintomas hematológicos e clínicos., Negativo: São medicações injetáveis que precisam ou de centro de infusão ou de grau de treinamento para aplicação.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação é fundamental	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento Fabhalta permite aumento dos níveis de hemoglobina, assim como melhora significativa da fadiga e do DHL. Ainda percebe-se uma facilidade posológica atrativa uma vez que e uma medicação oral.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pegcetacoplana se mostrou muito eficaz no tratamento da HPN, tanto na forma farmacêutica mais cômoda (comprimido), também no aumento da Hemoglobina do paciente.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: comodidade posológica, aumento da qualidade de vida do paciente, parâmetros hematológicos, como a hemoglobina, aumentados e estabilizados por mais tempo em comparação aos tratamentos que já estão em uso., Negativo e dificuldades: não se aplica.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Pegcetacoplana, Positivo: melhoria da qualidade de vida do paciente, Negativo: para o eculizumabe: estar a cada 15 dias no hospital de referencia para infusão (muitos pacientes viajavam mais de 10 horas), , para o pegcetacoplana:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concorde com a incorporação da iptacopana no SUS	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada para melhor tratamento	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Hemocentro de Alagoas (HEMOAL) faz parte da Hemorrede Pública do Estado de Alagoas e presta Assistência Hematológica e Hemoterápica aos usuários do SUS, em consonância com a Coordenação Nacional do Sangue e Hemoderivados. Foi o Serviço escolhido como centro de infusão para tratamento dos pacientes com HPN com inibidor de C5. Somos favoráveis à incorporação, pois acreditamos que o ganho ultrapassa a perspectiva de tratamento para os pacientes que falharam ao tratamento com os inibidores de C5, mas também pela comodidade de ser uma droga via oral, com possibilidade de maior adesão, redução de custos relacionados aos insumos e transporte de pacientes e facilidade de administração, pois não depende de acesso venoso.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, MINHA OPINIÃO COMO MÉDICA HEMATOLOGISTA QUE ACOMPANHA PACIENTES COM DIAGNÓSTICO DE HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA HÁ ALGUMAS DÉCADAS É DE QUE A IPTACOPANA DEVE SER INCORPORADA AO SUS COMO OPÇÃO DE TRATAMENTO PARA PACIENTES ADULTOS COM HPN PREVIAMENTE TRATADOS COM INIBIDOR DE C5 E QUE MANTEM QUADRO CLÍNICO E LABORATORIAL COM EVIDÊNCIA DE HEMÓLISE INTRA E / OU EXTRAVASCULAR, EVOLUINDO COM QUEDA DAN HB (HB<10) E COM NECESSIDADE TRANSFUSIONAL., ACREDITO SER UMA OPÇÃO DE TRATAMENTO FUNDAMENTAL PARA O TRATAMENTO DE NOSSOS PACIENTES.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: ÓTIMO CONTROLE DA HEMÓLISE INTRAVASCULAR MAS ALGUNS PACIENTE MANTÉM A EXTRAVASCULAR E QUEDA DA HB., Negativo: MAS ALGUNS PACIENTE MANTÉM A HEMÓLISE EXTRAVASCULAR E QUEDA DA HB.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Alguns pacientes, mesmo já em tratamento, podem continuar tento hemólise extravascular. Portanto a tecnologia em análise - iptaconapa - deve ser incorporada como segunda linha de tratamento para aqueles pacientes com HPN, que mesmo fazendo uso dos inibidores de C5 ainda continuam com hemólise extravascular e com hemoglobina menor de 10.g/dl. O referido tratamento demonstrou ser eficaz para os casos que continuam com hemólise extra vascular, além de sua conveniência de administração oral	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do Asciminibe no SUS será de extrema importância para evitar o Transplante de Medula óssea em uma parcela de pacientes com Leucemia Mielóide Crônica carentes de terapia de terceira linha atualmente.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tecnologia segura	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa mas cara e com posologia mais desafiadora, Negativo: Preço	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se faz necessário a incorporação do medicamento ao SUS	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, toda tecnologia que venha para o bem e saúde publica deve sim ser aplicada ao sus	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana é uma medicação revolucionária no tratamento da HPN e os pacientes merecem ter direito a acesso via SUS	2ª -	3ª -	4ª - A iptacopana é uma medicação revolucionária no tratamento da HPN. Apesar da doença já ser atendida no SUS com a incorporação do eculizumabe e ravulizumabe, diversas necessidades não atendidas ainda permanecem nestes pacientes. Cerca de 80% dos pacientes em uso destas medicações não atingem níveis normais de hemoglobina (1), levando a prejuízos consideráveis na qualidade de vida (2,3). Além disso, a infusão a cada 2 semanas (eculizumabe) ou 4 semanas (ravulizumabe) ocasiona um fardo grande na vida dos pacientes, que precisam se deslocar em média mais de 100km de suas residências para os centros de referência (4). Além de dificultar na produtividade e empregabilidade, estes deslocamentos frequentes podem levar a uma dificuldade na adesão ao tratamento, uma vez que nem sempre estes pacientes tem este tempo disponível ou mesmo disponibilizam de uma rede de apoio para que possam deixar familiares que dependem deles neste período de infusão, levando a um risco na equidade do Sistema Único de Saúde., Iptacopana apresentou resultados inquestionáveis no tratamento da HPN. No estudo APPLY, com a população em questão nesta consulta pública, quase 70% dos pacientes normalizaram os níveis de hemoglobina, mas de 80% tiveram uma importante melhora de pelo menos 2g/dL de hemoglobina, e mais de 90% permaneceram livres de transfusão, resultados estes	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				bastante superiores ao do eculizumabe ou ravulizumabe (5). Igualmente importante, a qualidade de vida destes pacientes melhorou consideravelmente, atingindo um escore do FACIT semelhante à da população sem a doença (5). Soma-se a este resultado superior a praticidade do uso oral, facilitando a adesão ao tratamento independente da situação atual dos pacientes. Uma tecnologia mais eficaz, prática, que melhora a adesão ao tratamento, evitando desperdício de uma medicação de alto custo, que não traz mais gastos ao governo e devolve uma vida normal aos pacientes deve ser incorporada no SUS., , Referências no arquivo em anexo, ,	
Empresa fabricante de outra tecnologia 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento oral representa maior comodidade para os pacientes, principalmente para aqueles que. Oram longe dos centros de infusão.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho interessante a incorporação do medicamento ao SUS.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma amiga que tem essa doença, e como é rara, estou aqui para contribuir e ajudá-la	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, fortalecimento e a modernização da saúde pública no Brasil, Melhoria na qualidade do atendimento e . Ampliação do acesso à saúde	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredeito que deva ser incorporada ao SUS	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, xxxxxx	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante disponibilizar uma terapia mais acessível a todos os brasileiros com a condição	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, XXXXX	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É hoje uma doença negligenciada com graves repercussões prosutivas e sociais aos doentes e consequentemente ao Estado	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "A CDD se posiciona favoravelmente à incorporação do iptacopana ao SUS, com as seguintes recomendações: 1. Ampliar o acesso a novas terapias para pacientes que não apresentam resposta completa ao tratamento atual com inibidor de C5	2ª - , , 2. Manter a transparência sobre os processos da PDP, sem que sua implementação impeça o acesso a terapias inovadoras	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Iptacopana é um medicamento inibidor do complemento que atua no Fator B, utilizado para tratar pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)., - Indicação: Tratamento de pacientes adultos com HPN., - Mecanismo de Ação: Inibição seletiva da via alternativa do complemento, deixando intactas as vias clássicas e da lectina., - Eficácia: Em estudos clínicos, o Iptacopana mostrou-se superior ao tratamento com anti-C5, com uma taxa de resposta de 82,3% para melhora da hemoglobina e 68,8% para nível sustentado de hemoglobina ?12 g/dL.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora clínica de anemia em pacientes com HPN, Negativo: Paciente ainda com sintomas de fadiga durante o tratamento.	4ª - Resultados de Estudos Clínicos: , - APPLY-PNH: Estudo controlado por comparador ativo, com 97 pacientes adultos com HPN, mostrou que o Iptacopana foi superior ao anti-C5 na melhora da hemoglobina e redução da necessidade de transfusões., - APPOINT-PNH: Estudo de braço único, com 40 pacientes adultos com HPN, mostrou que o Iptacopana foi eficaz na melhora da hemoglobina e redução da hemólise.	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação é imprescindível para o conforto e a qualidade de vida do indivíduo, visto que por ser de uso oral facilita o tratamento, bem como possibilita a adequação da rotina dos paciente, visto que diminuirá o deslocamento das pessoas do interior para as capitais. Este fato compromete a autonomia do indivíduo, impactando negativamente nas relações de trabalho e educacionais.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Oportunidade de terapia eficaz e com comodidade posológica para uma condição grave.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab., Positivo: Controle de anemia, hemólise e risco trombótico., Negativo: Posologia incômodo, infusional e frequente. Dependente de acesso venoso, que nem todos os pacientes tem facilidade, além da disponibilidade de locomoção para um centro tratador e do custo de cadeira de infusão.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Incorporar o Fabhalta ao SUS é uma questão de justiça social e eficiência pública. Em um país com desigualdades regionais e econômicas, depender apenas de tratamentos intravenosos limita o acesso e a adesão para muitos. Essa inovação oral não só alivia o sofrimento de pacientes com HPN, mas fortalece o SUS como pilar de saúde universal, promovendo equidade e inovação tecnológica.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Acesso pelo SUS. , Redução do risco de trombose no paciente com HPN, Melhora da qualidade de vida, Negativo: '-Reações Relacionadas à Infusão e Inconveniência da administração : Administrado por via intravenosa a cada 14 dias. , - Ma aderência dos pacientes devido a posologia e a via de administração., -Hemólise de Escape: Apesar do tratamento, alguns pacientes continuam a apresentando episódios de hemólise intravascular, além de muita fadiga o que impacta na qualidade de vida., - Persistência de anemia e sintomas clínicos de alguns pacientes mesmo com uma boa adesão.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Não uso, mas tenho alguém próximo que utiliza do Soliris para seu tratamento de HPN.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considerando que somente existe no sus a utilização de medicamentos inibidores de C5 injetáveis para Hemoglobinúria paroxística noturna ,a opção oral e com menor chance de hemólise é a melhor proposta pra principalmente pacientes que moram em locais longe de grandes centros, facilitando a adesão	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação da medicação no SUS representa a possibilidade de uma melhor resposta no tratamento dos sintomas de pacientes que sofrem com um diagnóstico raro. Permite o investimento no cuidado global, de fatores não somente biológicos mas também psicossociais.	2ª - Sim, Qual: Experiência com a medicação em avaliação. , Positivo e facilidades: Melhora significativa nos sintomas e, consequentemente, na qualidade de vida dos pacientes. , Negativo e dificuldades: Não foram percebidos aspectos negativos até o presente momento.	3ª - Sim, Qual: Os medicamentos Ravulizumabe e Eculizumabe. , Positivo: Melhora dos sintomas em pacientes que respondem bem as medicações citadas. , Negativo: A persistência da necessidade de transfusão, procedimento que representa grande parte da demanda de sofrimento psíquico, não somente pela parte invasiva mas também por outras questões.	4ª - "Foram realizados dois encontros, um na etapa inicial e outro 60 dias após o início do uso da medicação, nos quais foram utilizadas como ferramentas a entrevista psicológica semiestruturada e a escala de avaliação funcional FACIT (Functional Assessment of Chronic Illness Therapy) (Adaptado de Cella D et al. Cancer. 2002 Jan 15	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho fundamental que as pessoas que necessitam desse tratamento possam recebê-lo pelo SUS em sua maior abrangência possível.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha mãe tem HPN e seria benefício ela poder utilizar a medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para facilitar a vida dos pacientes e melhorar a qualidade de vida.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A JUSTIFICATIVA ESTÁ NO DOCUMENTO ANEXO.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: O ECULIZUMABE CONSEGUIU CONTROLAR A HEMÓLISE NA MAIORIA DOS PACIENTES., Negativo: NECESSITA DE INFUSÃO ENDOVENOSA A CADA 15 DIAS E ALGUNS PACIENTES APRESENTAM QUEDA DE HEMOGLOBINA ANTES DA PRÓXIMA DOSE DO ECULIZUMABE, JUSTIFICANDO O USO DE TERAPIAS MAIS EFICIENTES PARA ESSAS SITUAÇÕES.	4ª - AS INFORMAÇÕES TÉCNICO-CIENTÍFICAS ESTÃO NO ARQUIVO ANEXO.	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação deve ser incorporada ao SUS para facilitar o tratamento de quem precisa do medicamento	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma alternativa a medicações endovenosas para o tratamento de HPN, principalmente por que esses pacientes fazem uso crônico de medicações. Além disso, é outra alternativa terapêutica para pacientes com refratariedade a terapia de primeira linha	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: Foi uma medicação que mudou a sobrevida e qualidade de vida de pacientes com HPN, Negativo: Medicamento parenteral , Riscos de infecção	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Consulta Pública (CP) nº 88 para avaliar a possível inclusão do medicamento iptacopana (nome comercial Fabhalta®) no sus com indicação para o tratamento de pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), que tenham sido previamente tratados por pelo menos seis meses com inibidor de C5 (segunda linha). , O cenário atual de tratamento dos pacientes de HPN ainda é limitado, contudo, o manejo da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), a iptacopana, inibidor do fator B da via alternativa do sistema complemento, atua em um estágio anterior do processo da doença em comparação aos inibidores de C5, configurando-se como uma alternativa terapêutica revolucionária, administrada por via oral na dose de 200 mg duas vezes ao dia., O medicamento demonstra eficácia na normalização dos níveis de hemoglobina, normalização do DHL, redução dos níveis de fadiga e na diminuição da necessidade de transfusões sanguíneas, o que pode ser observado no estudo clínico pivotal, aberto, randomizado, multicêntrico de fase 3 APPLY-HPN., Há uma demanda médica não atendida entre pacientes com HPN e hemoglobina inferior a 10 g/dL, condição clínica que persiste mesmo após tratamento com inibidores de C5, já que cerca de 40% dos pacientes continuam apresentando anemia severa e fadiga incapacitante e resposta deficiente quanto aos produtos disponibilizados pelo Ministério da Saúde., Este achado reforça o impacto positivo de avanços terapêuticos na qualidade de vida dos pacientes, reduzindo significativamente a dependência de procedimentos invasivos e frequentes. A agência técnica reconhece, ao avaliar a tecnologia, a existência dessa necessidade médica não suprida para o grupo populacional em questão.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Possibilidade de melhores tratamentos ., Negativo: Não tive contato	4ª - "Assim, o iptacopana representa um avanço relevante no tratamento de pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), a inclusão de oferta do medicamento pode oferecer uma alternativa terapêutica mais conveniente, eficaz e com mecanismo de ação inovador. , , Risitano, AM., et al. Lancet Haematol. 2025 Jun	5ª - Sim

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais praticidade no tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, vide anexo	2ª - Sim, Qual: vide anexo, Positivo e facilidades: vide anexo, Negativo e dificuldades: vide anexo	3ª - Sim, Qual: vide anexo, Positivo: vide anexo, Negativo: vide anexo	4ª - vide anexo	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "O Iptacopana é um medicamento de eficácia comprovada, com resultados de melhora de anemia e de redução do número de transfusões nos pacientes com HPN, além de ser um medicamento de administração por via oral, o que impacta na qualidade de vida do paciente	2ª - principalmente aqueles que moram em cidades distantes da capital ou de cidades que fazem infusões de drogas para o tratamento, ou seja melhor custo-benefício "	3ª - Risco aumentado de infecções por bactérias encapsuladas (como também em outros inibidores do complemento)	4ª - Administração quinzenal, sendo realizada em centro de infusão. Muitos pacientes que são de cidades distantes que dependem de transporte para ida e volta são os que mais sofrem.	5ª - Não
Empresa fabricante de outra tecnologia 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Informações completas em anexo.	2ª -	3ª -	4ª - Informações completas em anexo.	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento bom para uso em pacientes com HPN.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pode propiciar melhora que de outra forma não seria sentida	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito importante para quem precisa.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A proposta de incorporação do iptacopana ao Sistema Único de Saúde representa um avanço significativo no cuidado de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), especialmente aqueles que apresentam resposta subótima ao tratamento com inibidores de C5 e níveis de hemoglobina persistentemente baixos (<10 g/dL). O iptacopana é o único medicamento oral aprovado para HPN, com mecanismo de ação voltado à inibição seletiva da via alternativa do complemento, oferecendo uma abordagem terapêutica inovadora e potencialmente mais eficaz para pacientes que não alcançam controle adequado da hemólise com os tratamentos atuais. Além dos benefícios clínicos, a administração oral pode melhorar a adesão ao tratamento, reduzir a necessidade de infusões intravenosas frequentes e ampliar o acesso em regiões com menor infraestrutura hospitalar. Isso é especialmente relevante no contexto do SUS, onde a logística de medicamentos intravenosos pode representar uma barreira ao cuidado contínuo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boas respostas ao tratamento de pacientes com HPN, com redução dos sintomas e dos riscos de morte pela doença , Negativo: Alguns pacientes continuam com dependência transfusional e hemólise extravascular	4ª - A avaliação técnica da Conitec destaca que o iptacopana demonstrou melhora nos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões e controle da hemólise extravascular, com perfil de segurança aceitável.	5ª - Embora o impacto orçamentário ainda esteja em análise, a incorporação pode ser justificada pela melhoria da qualidade de vida, redução de complicações graves como trombose e potencial diminuição de custos indiretos relacionados à hospitalizações e transfusões., Portanto, a incorporação do iptacopana no SUS é uma medida promissora, especialmente para pacientes refratários ao tratamento padrão, e deve ser considerada com base em critérios de efetividade clínica,
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação que vai ajudar aos pacientes com HPN	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo e facilidades: Controle de doença , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Exulizumabe , Positivo: Controle de doença , Negativo: Não tem	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação via oral melhora qualidade de vida dos pacientes	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ganho antecipado dos benefícios.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação modificadora do curso da doença, agrega qualidade de vida e opções terapêuticas	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Melhora clínica expressiva , Negativo: Hemólise persistente	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O remédio em avaliação controla melhor a nossa doença. Controla hemólise que não são controladas hoje em dia pelos remédios que existem disponíveis pelo sus. Eu sou uma das pessoas que não tem a resposta completa ao remédio e vivi muitos anos de transfusão de sangue e tenho uma qualidade de vida muito afetada, não consigo trabalhar 8h, tenho muita fadiga, fico limitada ao tratamento de 15 em 15 dias, questões que com esse remédio seriam cessadas.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Benefícios do remédio via oral:, - redução dos gastos com hospitais e clínicas e materiais de infusão	2ª - , - ?maior praticidade, agilidade e facilidade no tratamento, pois evita deslocamentos até unidades de saúde, - ?maior eficácia no tratamento e aumento da qualidade de vida devido a maior cobertura nos tipos de hemólises (intra e extra vascular), - ?maior economia para o Estado para quem usa os remédios via venosa e possui os chamados escapes (remédio não permanece eficaz até o próximo ciclo infusão, necessitando de mais frascos ou redução do intervalo entre as infusões), - ?evita a perda de períodos na jornada de trabalho e faltas para quem trabalha, aumentando a produtividade do trabalhador ou servidor público, - ?permite a realização de viagens a trabalho (e mesmo viagens a turismo, o que auxilia na saúde mental e qualidade de vida dos pacientes), - ?diminui os esforços dos pacientes no enfrentamento da sua doença e o consequente impacto nas rotinas de familiares e amigos, - ?o custo do medicamento é absorvido a longo prazo pela redução dos custos com serviço médico e com internações decorrentes de escapes, - ?o remédio transforma a vida do paciente em uma vida praticamente normal, como a de qualquer pessoa da população que toma remédio via oral"	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O SUS deve amparar quem depende da medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devem ser incorporados para uma melhor saúde da população	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

I

—

—

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Iptacopan é um medicamento extremamente eficaz, seguro e com posologia adequada para pacientes com HPN. Por se tratar de um medicamento via oral, a comodidade para o paciente é de extrema importância, fazendo com que haja melhora importante da qualidade de vida, reduzindo tempo de utilização de estrutura hospitalar., No contexto do paciente com falha em uso de inibidor do C5, até o presente momento não há opção de tratamento para o paciente. Com a incorporação do Iptacopan, isso irá ser resolvido.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, Positivo e facilidades: Tive contato com o medicamento para 3 pacientes. Todos com quadro de hemólise extravascular com uso de Eculizumabe, Mantendo valores de hemoglobina em torno de 8-9 g/dL com sintomas de astenia e fraqueza, Após o início do Iptacopan, todos os 3 pacientes apresentando aumento da hemoglobina para valores normais em até 15 dias, além da resolução dos sintomas de astenia, fraqueza e outros., Nenhum dos pacientes apresentou efeitos colaterais com a medicação, Todos relatam importante melhora na qualidade de vida após troca de um medicamento endovenoso a cada 15 dias para um medicamento via oral, Negativo e dificuldades: Não percebi nenhum aspecto negativo na droga em questão	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Crovalimabe, Pegcetacoplan, Positivo: Eculizumabe, Ravulizumabe e crovalimabe apresentam importante controle da hemólise intravascular, Cessando risco de trombose e consequentemente de obito, , Negativo: Não tem controle da hemólise extravascular, Droga endovenosa, paciente tendo que ir a um centro de infusão regularmente, Alguns pacientes mantem anêmicos e sintomáticos	4ª - "Antonio M. Risitano,1,2 Carlos de Castro,3 Bing Han,4 Austin Kulasekararaj,5-7 Jaroslaw P. Maciejewski,8 Phillip Scheinberg,9 Yasutaka Ueda,10 Susan Vallow,11 Georgina Bermann,12 Marion Dahlke,12 Rakesh Kumar,13 and Re'gis Peffault de Latour1. Patient-reported improvements in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria treated with iptacopan from 2 phase 3 studies. BLOOD 22 APRIL 2025 • VOLUME 9, NUMBER 8, O artigo apresenta os resultados de dois estudos de fase 3 (APPLY-PNH e APPOINT-PNH) sobre o uso do iptacopan, um inibidor oral seletivo do fator B do complemento, no tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (PNH). Seguem os principais pontos:, 1. Melhorias relatadas pelos pacientes:, o Pacientes tratados com iptacopan apresentaram melhorias significativas na fadiga e na qualidade de vida (HRQOL)., o Em pacientes previamente tratados com inibidores de C5 (C5i), as melhorias na fadiga e na qualidade de vida foram associadas ao aumento dos níveis de hemoglobina (Hb)., 2. Estudos e resultados:, o APPLY-PNH: Pacientes com anemia persistente apesar do tratamento com C5i (eculizumab ou ravulizumab) foram tratados com iptacopan. 51% dos pacientes atingiram uma mudança significativa na escala FACIT-Fatigue, em comparação com 11% no grupo C5i., o APPOINT-PNH: Pacientes que nunca haviam recebido C5i foram tratados com iptacopan. 56% dos pacientes atingiram uma mudança	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				significativa na escala FACIT-Fatigue., 3. Melhorias nos marcadores hematológicos:, o Em pacientes tratados com iptacopan, houve aumento dos níveis de hemoglobina e redução dos níveis de lactato desidrogenase (LDH), indicando controle da hemólise intravascular e extravascular., 4. Impacto na qualidade de vida:, o Os pacientes tratados com iptacopan apresentaram melhorias significativas em subescalas do questionário EORTC QLQ-C30, incluindo as subescalas de funcionamento físico, de papéis, fadiga, dispneia e dor., 5. Correlação entre marcadores hematológicos e fadiga:"	
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O inibidor do fator B é uma alternativa terapêutica essencial para o paciente por ser administrado por via oral e por demonstrar eficácia nos níveis de hemoglobina, DHL, redução na fadiga e diminuição da transfusão sanguínea. Aumentando a qualidade de vida do paciente e reduzindo os procedimentos invasivos, além de ser um avanço para os pacientes de HPN pelas condições da doença que é rara e grave, sendo necessário a incorporação e disponibilidade pelo Sistema Único de Saúde (SUS).	2ª - Sim, Qual: Medicamento é importante para uma sobrevida maior para o paciente , Positivo e facilidades: É essencial para o tratamento por ser de uso oral e não necessitar do deslocamento frequente do paciente até o centro de tratamento. , Negativo e dificuldades: Precisa de orientação e acompanhamento do farmacêutico para uma boa adesão ao tratamento	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Por ser uma doença rara e grave a incorporação de tecnologias novas se torna primordial para a sobrevida desses pacientes , Negativo: Paciente tem dificuldade para se deslocar por questões financeiras ou pessoas para acompanhamento no dia da infusão	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado para facilitar e melhorar a qualidade de vida dos pacientes que enfrentam dificuldades em viagens longas para os centros tratadores	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Dificuldades nas infusões , Positivo: Facilidades na manutenção e administração das doses prescritas, Negativo: Sem aspectos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para melhorar a qualidade de vida do paciente.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 11/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos devem ter direito ao tratamento.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, USO DE INIBIDOR DE COMPLEMENTO PROXIMAL EM PACIENTES COM HEMÓLISE DE ESCAPE TEM IMPORTANTE PAPEL EM PACIENTES QUE AINDA MATEM ANEMIA MESMO COM INIBIDOR DE COMPLETO DISTAL.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O iptacopana traz uma opção terapêutica eficaz, segura e posologicamente cômoda para os pacientes que não estão bem controlados com a medicação atualmente disponível para o tratamento da HPN. A posologia oral confere liberdade para o paciente, impedindo idas frequentes aos centros de infusão, o que o afasta dos compromissos pessoais (trabalho, cuidados dos filhos,...). Ter uma opção mais moderna e segura para o tratamento da HPN, como iptacopana, se faz urgente para que necessidades ainda não atendidas pelo tratamento atual possam ser resolvidas. Considero importante a incorporação dessa nova tecnologia.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ampliar a possibilidade de melhora da saúde	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Poder antecipar soluções.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação ao SUS ajudará milhares de doentes.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica hematologista e acompanho pacientes com hpn em um hospital terciário do sus. Temos 15 pacientes em tratamento com inibidores de c5 sendo que 20% desses apresentam hb abaixo de 10 d/dl (com exames compatíveis com hemólise extravascular) com sintomas de fadiga e dificuldades para realizar atividades do dia a dia e trabalhar. A incorporação de iptacopana para tratamento da hpn pode beneficiar de maneira muito importante esses pacientes que apesar de um tratamento adequado ainda apresentam sintomas que prejudicam muito a qualidade de vida dos mesmos, alem de ser um medicamento oral e com boa segurança.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: bom controle da hemólise intravascular, Negativo: Uso ev com administração a cada 2 semanas, alem de ocasionar hemolise extravascular	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Agiliza e o paciente tem certeza que, no prazo determinado pelo médico assistente, ele terá o medicamento sem o risco de não ter chegado.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tal incorporação e fundamental para estabelecer qualidade de vida e oportunizar a chance de viver	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris - eculizumabe, Positivo: Qualidade de vida, tive oportunidade de uma vida bem melhor, conseguindo realizar minhas atividades, Negativo: Até a presente data, não tive aspectos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um medicamento muito necessário a pessoas que têm a doença.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pode proporcuonar mais qualidade de vida a quem precisa da medicação, além de novas tecnologia que podem melhorar os tratamentos atualmente aplicados.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora significativa do quadro logo nas primeiras infusões, além da manutenção da qualidade de vida, Negativo: Período das infusões e falta de fornecimento no início do tratamento quando em demanda judicial.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Não tenho opinião formada, NA	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitos pacientes, como meu irmão, precisam viajar 600 kms para fazer a infusão. Este medicamento facilitaria a vida dele.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitos pacientes como meu cunhado precisam viajar centenas de milímetros para realizar a infusao- 600 km. Este medicamento facilitaria a vida dele.	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento iptacopan, ao ser incorporado para dispensação no SUS, trará benefícios para saúde do paciente, melhorando sintomas como fadiga e exames laboratoriais.	2ª - Sim, Qual: Com o medicamento iptacopan., Positivo e facilidades: "Após acompanhamento de dois pacientes em uso do medicamento em questão, é possível perceber melhora da fadiga e da disposição, Negativo e dificuldades: melhora da qualquer da vida	3ª - aumento da hemoglobina e redução da necessidade de transfusão sanguínea. Além de ser medicamento por via oral, evitando que o paciente fique dependente de centro de infusão."	4ª - '.	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O iptacopana é um inibidor oral do complemento proximal, atuando de forma seletiva sobre o fator B da via alternativa. Essa inibição bloqueia a formação da C3-convertase, prevenindo tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular. A ANVISA aprovou o uso do iptacopana como monoterapia para o tratamento da HPN em janeiro de 2025 (Resolução-RE nº 320, de 24 de janeiro de 2025), com base em resultados de dois estudos clínicos de Fase III: APPLY-PNH e APPOINT-PNH. Os estudos demonstraram que até 68,8% dos pacientes tratados com cloridrato de iptacopana atingiram níveis normais de hemoglobina sem necessidade de transfusões durante o período de acompanhamento. Esses resultados evidenciam eficácia clínica significativa, melhora na qualidade de vida, redução de custos indiretos e simplificação do tratamento, já que o iptacopana é uma medicação oral, diferentemente do eculizumabe, que requer infusões intravenosas regulares., No Ambulatório de Falências Medulares do Complexo Hospital de Clínicas da UFPR (CHC-UFPR), aproximadamente 15% dos pacientes com HPN apresentam anemia clinicamente significativa que não responde adequadamente ao tratamento com eculizumabe, mantendo dependência transfusional e limitação funcional importante. Atualmente, nenhum inibidor do complemento proximal está disponível no âmbito do SUS, o que priva esses pacientes de uma opção terapêutica moderna, eficaz e potencialmente curativa da anemia residual. A incorporação do iptacopana traria impacto clínico direto para esses pacientes, reduzindo internações hospitalares, transfusões e riscos trombóticos, com consequente melhora da sobrevida e da qualidade de vida.. A Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH) emitiu parecer favorável à incorporação do iptacopana no SUS, reconhecendo sua eficácia superior no controle da hemólise, segurança clínica, facilidade de uso oral e potencial de otimizar recursos públicos ao reduzir custos relacionados à assistência transfusional	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É UM MEDICAMENTO QUE TEM RECEBIDO UMA OPINIÃO ALTAMENTE POSITIVA E TRARÁ MUITO BENEFÍCIOS PARA SEUS USUÁRIOS	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não
Empresa fabricante de outra tecnologia 12/11/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Pint Pharma apresenta esta contribuição à Consulta Pública nº 88/2025, com o objetivo de colaborar para o aprimoramento das políticas públicas de acesso e tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) no Sistema Único de Saúde (SUS)., , A empresa parabeniza a CONITEC pelo trabalho técnico-científico rigoroso e pela constante atualização das diretrizes clínicas, que têm resultado na expansão de opções terapêuticas para pacientes com HPN, especialmente para aqueles que mantêm atividade da doença ou falham ao bloqueio terminal do complemento (C5)., , No entanto é fundamental considerar aspectos de adesão e aplicabilidade clínica no contexto nacional. O Brasil apresenta uma das menores taxas de adesão a tratamentos orais crônicos entre países de renda média, com índices inferiores a 50%, segundo dados da Organização Mundial da Saúde (WHO, 2003) e da Pesquisa Nacional de Saúde (PNS, 2013). Esse cenário é especialmente relevante no caso do iptacopan, cuja administração é oral e realizada a cada 12 horas (duas vezes ao dia) — fator que pode impactar negativamente a adesão e, conseqüentemente, a efetividade terapêutica no mundo real., , Além disso, o iptacopana é um comprimido rígido, que não pode ser fracionado, o que limita seu uso em situações clínicas frequentes entre pacientes com HPN, como hospitalizações ou necessidade de intubação, nas quais a via oral se torna inviável., , Outro ponto clínico relevante é que todos os inibidores do complemento podem apresentar hemólise de escape. No caso do iptacopana, não existem dados publicados nem orientação em bula sobre ajustes de dose nesses cenários, o que representa uma limitação importante em termos de manejo e segurança clínica., , Esses fatores reforçam a importância de que o SUS disponha de opções terapêuticas complementares,	2ª -	3ª -	4ª - Não	5ª - Não

