

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana hemoglobínúria paroxística noturna - 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:
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As medicações de primeira linha irão proporcionar maior comida de aos pacientes, apesar de não oferecem nenhum diferencial em termos de eficácia, salvo situações de hemólise próximo ao final da dose, que poderia ser minimizado com crovalisumabe ou espaçado com ravalizumabe. Na segunda linha é necessário uma terapia com outro mecanismo de ação pois praticamente metade dos pacientes apresentam anemia. Das duas terapias oferecidas, a oral, Iptacopan, me parece ser a mais conveniente dada a praticidade e os dados maiores de segurança, conforme os arquivos anexos a esta consulta. No caso de pegcetacoplan, a bomba de infusão pode ser um fator que prejudique a adesão, visto que já tivemos o uso deste equipamento para infusão de deferasirox no passado e enfrentamos problemas com parte dos pacientes, quer no uso do equipamento e mesmo na manutenção dele.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os medicamentos vão ajudar muito quem precisa. A incorporação é necessária!!!	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:
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana ao SUS é justificável diante dos benefícios clínicos, assistenciais e operacionais reconhecidos pela própria Conitec durante sua avaliação. Embora o eculizumabe esteja atualmente disponível para pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), as novas tecnologias oferecem alternativas capazes de atender necessidades ainda não plenamente contempladas pelo tratamento existente., Ravulizumabe e crovalimabe apresentam eficácia comparável ao eculizumabe, porém com esquemas terapêuticos mais convenientes. A redução da frequência de administração diminui a necessidade de deslocamentos frequentes aos centros de infusão, reduz a sobrecarga dos serviços de saúde e favorece a adesão ao tratamento. Em um país de dimensões continentais como o Brasil, essas características representam um ganho relevante para pacientes e cuidadores, especialmente aqueles que residem longe dos centros especializados., Além disso, pegcetacoplane e iptacopana ampliam as opções terapêuticas para pacientes que apresentam resposta inadequada aos inibidores de C5, oferecendo mecanismos de ação distintos e potencial benefício para o controle da hemólise persistente e melhora dos desfechos clínicos. Sua disponibilização fortalece a individualização do tratamento e amplia a capacidade do SUS de atender diferentes perfis de pacientes., A incorporação dessas tecnologias também promove maior equidade no acesso à inovação terapêutica, alinhando o SUS às alternativas já disponíveis em diversos sistemas de saúde internacionais. A existência de tratamento prévio não elimina a necessidade de modernização do cuidado quando há opções capazes de reduzir barreiras assistenciais, melhorar a experiência do paciente e ampliar as possibilidades de manejo clínico., Dessa forma, considerando os benefícios reconhecidos pela própria Conitec, a ampliação das opções terapêuticas e o potencial impacto positivo na qualidade de vida, adesão e organizaç	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Iptacopana, Positivo e facilidades: A iptacopana apresenta vantagens relevantes em relação ao eculizumabe no tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Seu principal diferencial é a administração por via oral, dispensando as infusões intravenosas quinzenais necessárias com o eculizumabe. Essa característica proporciona maior comodidade, autonomia e menor impacto na rotina dos pacientes, além de reduzir deslocamentos frequentes aos centros de tratamento. Do ponto de vista clínico, a iptacopana demonstrou melhora da fadiga, um dos sintomas mais incapacitantes da HPN e um importante fator de comprometimento da qualidade de vida. Pacientes tratados com a tecnologia apresentaram maior disposição para realizar atividades diárias e melhor bem-estar geral. Em relação aos parâmetros laboratoriais, a iptacopana promoveu aumento dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões sanguíneas e melhora dos marcadores de hemólise, como LDH, bilirrubina e reticulócitos. Esses resultados indicam melhor controle da doença e da anemia associada à HPN. Além disso, por atuar no fator B da via alternativa do complemento, a iptacopana oferece um controle mais amplo da atividade da doença, reduzindo tanto a hemólise intravascular quanto a hemólise extravascular residual, que pode persistir em pacientes tratados com inibidores de C5, como o eculizumabe. Dessa forma, a iptacopana reúne benefícios clínicos e assistenciais importantes, incluindo melhora da fadiga, aumento da hemoglobina, menor necessidade de transfusões, melhor controle laboratorial da doença e maior comodidade terapêutica, contribuindo para a qualidade de vida e para uma experiência de tratamento mais favorável aos pacientes com HPN., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo apresentado.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - "A recomendação preliminar desfavorável da Conitec baseia-se, em grande medida, na expectativa de que a entrada de biossimilares do eculizumabe e a implementação de PDPs possam reduzir significativamente os custos da terapia padrão a partir de 2027. Contudo, essa premissa está sustentada em um cenário futuro e incerto, sem garantia de que tais reduções efetivamente ocorrerão na magnitude ou no prazo considerados pelo Comitê., O próprio relatório utiliza termos condicionais, afirmando que a ampliação da concorrência ""poderá resultar"" em reduções de preços e que o impacto orçamentário das novas tecnologias ""poderia sofrer modificações"" . Essas expressões evidenciam a ausência de certeza quanto à concretização dos benefícios econômicos projetados., Além disso, a produção nacional por meio de PDPs envolve processos complexos de transferência tecnológica, sujeita a riscos regulatórios, industriais e comerciais. Não há evidências de que a produção local prevista para 2027 resultará, necessariamente, em custos inferiores aos atualmente praticados ou em economia suficiente para justificar a rejeição das tecnologias avaliadas., Dessa forma, a decisão da 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:
					contrapõe benefícios concretos e reconhecidos pelo próprio Comitê — como maior comodidade posológica, redução de barreiras de acesso e potencial melhora da adesão ao tratamento — a uma expectativa de economia futura que permanece incerta. A fundamentação econômica adotada, portanto, apoia-se em projeções ainda não comprovadas, utilizando um cenário hipotético como elemento central para afastar a incorporação de alternativas terapêuticas que apresentam vantagens assistenciais relevantes para os pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna., FONTE: Relatório técnico preliminar Ravulizumabe, Crovalimabe, Pegcetacoplane e Iptacopana disponível pela Conitec no link da Consulta Pública aberta dia 16/06/2026."
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com a incorporação vai melhora muito as nossas condições para encontrar um emprego, pois o período entre as infusões vai aumentar consideravelmente, é mais eficiente do que o Eculizumab em tudo, vai diminuir um pouco as filas e esperas no local das infusões, melhorar o psicológico do paciente durante o tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Com as infusões do Eculizumab diminuiu muito as minhas hemolises diárias, uma melhora na disposição para fazer as tarefas diárias de casa, diminuiu os riscos de trombozes., Negativo: Ponto negativo o período entre as infusões a dada 14 dias atrapalha de mais, atualmente estou desempregado a muito tempo justamente por conta do período muito curto das infusões, é muito difícil encontra emprego que aceite a saída do funcionário no mínimo dois dias ao mês mesmo justificando com atestado médico, o deslocamento para o local das infusões para me é de um pouco mais de 35 km já é custoso !, tem pessoas que moram a 300 km do local da infusão os custos triplicam fora o abalo do psicológico do paciente !	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 com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A droga atualmente incorporada ao SUS para tratamento da enfermidade possui imitações no combate à doença, visto que não controla totalmente as hemólises. Além disso, suas infusões são numa frequência muito alta, causando transtorno aos pacientes e sobrecarga no serviço público de saúde.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhorou minha qualidade de vida substancialmente, mas entendo que as outras drogas chegam para mitigar as limitações do Eculizumabe, Negativo: Hemólise de escape e infusões numa frequência muito alta!	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A droga atualmente incorporada ao SUS para tratamento da enfermidade possui limitações no combate à doença, visto que não controla totalmente as hemólises. Além disso, suas infusões são numa frequência muito alta, causando transtorno aos pacientes e sobrecarga no serviço público de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação das tecnologias avaliadas, com destaque para a iptacopana., Pacientes com HPN podem apresentar falha ou resposta insuficiente aos inibidores de C5, mantendo anemia e impacto relevante na qualidade de vida. A iptacopana representa uma alternativa importante para esse cenário, com potencial de melhor controle da doença., Por ser uma opção oral, pode facilitar a adesão ao tratamento, especialmente considerando os desafios de acesso em um país de grande extensão territorial como o Brasil.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que todas as tecnologias que cuidem e apoiem a vida dos pacientes são necessárias. Por tratar-se de uma doença rara e já existir todo o impacto na qualidade de vida do paciente, o mesmo poder tomar jma medicação para ser tratamento e ainda de forma oral, pode contribuir muito lara a eficácia de seu tratamento.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação das tecnologias avaliadas, com destaque para a iptacopana., Pacientes com HPN podem apresentar falha ou resposta insuficiente aos inibidores de C5, mantendo anemia e impacto relevante na qualidade de vida. A iptacopana representa uma alternativa importante para esse cenário, com potencial de melhor controle da doença., Por ser uma opção oral, pode facilitar a adesão ao tratamento, especialmente considerando os desafios de acesso em um país de grande extensão territorial como o Brasil.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O fato do medicamento ver oral, mas ele tá muito o dia a dia do paciente. Principalmente pelo acesso e armazenamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, medicamento é oral e isso é muito bom em um país grande como brasil e que mantém impacto relevante na qualidade de vida sla	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque nós pacientes necessitamos dessa medicação para ter uma qualidade de vida melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que as medicações propostas são excelentes alternativas de tratamento para os pacientes, com resultados comprovados para melhoria da qualidade de vida e saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que o medicamento deve ser incorporado por conta da posologia ser via oral e isso é muito bom em um país grande como brasil e que mantém impacto relevante na qualidade de vida dos seus pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pra melhorar a qualidade de vida dos pacientes né meu povo vamo ajudar , Não é pq a vida de vcs é boa e nao é afetada por essa doença q a vida dos outros é boa o suficiente pra nao ter q implementar outros remédios	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: É boa, mas levar a vida com a única forma de tratamento ser q ir de 15 em 15 dias (11 dias no meu caso) nao é sustentável , Negativo: O intervalo de tempo entre doses	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessidade de atualização dos medicamentos que podem contribuir em uma melhor qualidade de vida para o paciente, e consequentemente uma diminuição dos riscos de intercorrências associados a doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Em um primeiro momento a mesma deu uma estabilidade nas intercorrências que aconteciam e diminuição das internações e transfusões., , Negativo: "Com o passar dos anos infelizmente o Eculizumabe precisou mudar o período de infusão, visto que não mais ""segurava"" como jo começo, o que aumentou o risco de vida do paciente."	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana é de suma importância para pacientes com HPN clássica, sobretudo para aqueles que apresentam hemólise de escape ou anemia extra-vascular mesmo em uso do Eculizumabe. É importante salientar que essas medicações são de primeira linha no combate à hemólise mediada pelo sistema complemento - bloqueando os receptores de C5 e/ou C3. Além disso, o uso do ravulizumabe diminuirá os custos com insumos de atendimento nos hospitais de referência para quem usa o Eculizumabe de 14 em 14 dias. Com o uso da medicação melhorada (ravulizumabe), o paciente passará a ir ao hospital apenas de 8 em, 8 semanas, reduzindo filas de espera, número de leitos ocupados e insumos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Faço uso do Eculizumabe. , Positivo: O uso do eculizumabe faz a minha hemólise ficar controlada, níveis de LDH normais, hemograma sem apresentar sinais de anemia. , Negativo: A grande desvantagem do Eculizumabe é que eu preciso ir ao hospital de 14 em 14 dias. Eu sou professor e trabalho 300h (3 turnos). Então pelo menos 2 vezes por mês eu preciso me ausentar do trabalho para fazer as infusões e necessito de atestado médico.	4ª - Há evidências que o Ravulizumabe consegue bloquear por mais tempo a via de hemólise do complemento (C5) em relação ao Eculizumabe. As demais medicações além de bloquearem a via do C5 atuam na hemólise de escape e bloqueiam a via do complemento C3. Então as novas tecnologias garantem melhor qualidade de vida do paciente e garantem o uso de outras terapias no caso de falhas ligadas ao uso do Eculizumabe.	5ª - O impacto econômico do uso do ravulizumabe em relação ao eculizumabe consiste na diminuição de ida ao hospital pelos pacientes, gerando uma maior qualidade de vida e não sobrecarregando o hospital público. Haverá redução de insumos já que as infusões só ocorre ao de 8 em 8 semanas.
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou portadora de HPN e seria incrível ter acesso a esse novo medicamento... pois irá me proporcionar uma qualidade de vida melhor	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação deve ocorrer pois esses medicamentos ampliam de forma relevante o controle clínico da HPN ao endereçar lacunas terapêuticas não atendidas, com potencial de melhorar desfechos e qualidade de vida dos pacientes 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:
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como paciente com HPN, acredito que a disponibilização do ravulizumabe pelo SUS pode fazer uma grande diferença na vida de quem convive com essa doença. Um tratamento adequado não significa apenas controlar a doença, mas também ter mais qualidade de vida, menos limitações, mais segurança e mais tranquilidade para realizar as atividades do dia a dia. Para nós, pacientes, ter acesso a uma terapia eficaz representa a oportunidade de viver melhor e com mais dignidade.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe soloris, Positivo: Como paciente com HPN, acredito que a disponibilização do ravulizumabe pelo SUS pode fazer uma grande diferença na vida de quem convive com essa doença. Um tratamento adequado não significa apenas controlar a doença, mas também ter mais qualidade de vida, menos limitações, mais segurança e mais tranquilidade para realizar as atividades do dia a dia. Para nós, pacientes, ter acesso a uma terapia eficaz representa a oportunidade de viver melhor e com mais dignidade., Negativo: Não tive experiências negativas com a medicação	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente com Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN) e acredito que o SUS deve garantir acesso aos tratamentos mais eficazes e modernos disponíveis para essa doença rara. Não queremos perder qualidade de vida com a substituição por medicamentos que possam apresentar menor efetividade ou mais limitações. O tratamento adequado reduz complicações, internações, riscos à saúde e permite que os pacientes tenham uma vida mais próxima do normal. Por isso, peço que sejam incorporadas as melhores opções terapêuticas, priorizando a segurança, a eficácia e o bem-estar dos pacientes que convivem diariamente com a HPN. Como paciente, sei o impacto que a doença tem na rotina, no medo das complicações e na saúde física e emocional. Ter acesso ao melhor tratamento representa esperança, dignidade e qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Faço tratamento com ecolizumab e para Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN). O medicamento foi fundamental para o controle da doença e para a melhora da minha qualidade de vida. Por isso, considero importante que o SUS incorpore opções terapêuticas mais modernas e eficazes, que possam oferecer ainda mais benefícios aos pacientes, sem comprometer a segurança e a efetividade do tratamento., Positivo: Faço uso de eculizumab e percebi uma melhora significativa na minha qualidade de vida. Antes do tratamento, eu sentia muitas dores e limitações causadas pela doença. Após iniciar a medicação, houve uma redução importante das dores, melhora da disposição e da capacidade de realizar minhas atividades diárias. Hoje consigo ter uma vida muito mais próxima do normal, com mais independência, bem-estar e segurança. Por isso, considero fundamental que pacientes com HPN tenham acesso aos tratamentos mais eficazes, que proporcionem esses benefícios e contribuam para uma melhor qualidade de vida., Negativo: O único aspecto que considero mais difícil é a necessidade de comparecer regularmente para receber a medicação, o que pode impactar a rotina. No entanto, os benefícios do tratamento superam esse inconveniente, devido à melhora importante da qualidade de vida e ao controle da doença.	4ª - Embora eu não tenha conhecimento técnico aprofundado sobre os estudos clínicos, acredito que as evidências devem considerar não apenas os resultados laboratoriais, mas também o impacto na qualidade de vida dos pacientes. Tratamentos mais eficazes podem reduzir sintomas, complicações e permitir que pessoas com HPN tenham uma vida mais próxima do normal, com mais disposição, menos dores e maior independência.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, São medicamentos que são necessários para quem convive com a condição dessa doença rara, que é a Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN). As terapias disponíveis até o momento, nem sempre chegam ao resultado dos pacientes com a referida doença tenham condição de viver com os desafios do dia a dia. Os pacientes acometidos por essa doença rara precisam ter a oportunidade de ter acesso às terapias que sejam mais eficaz para o tratamento e por consequência, uma qualidade de vida melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ajudar as pessoas que necessitam de ajuda	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na realidade como profissional de saúde trabalhando há anos com HPN, Precisamos de , Raviluzimabe - eficiência, custo, qualidade vida , Iptacopan - para pacientes com boa adesão	2ª - Sim, Qual: Ravalizumabe, Positivo e facilidades: Ravalizumabe Tao efetivo com eculizumabe devido a sua meia vida melhora a qualidade de vida por aplicações mais espacadas. Evita viagem dos pacientes de seu município ao centro de referência a cada 25 dias melhorando qualidade de vida e diminuindo exposição aos riscos de nossas redigias. Levaria a um menor custo para secretarias municipais. Manteria a avaliação clínica a cada 2 meses mantendo aderência e segurança, Iptacopana para pacientes com capacidade de entendimento da importância da adesão. Conforto, , Negativo e dificuldades: Pegcetacopana - nossa população não tem condições sócio intelectual para uso das bombas de infusão. Maior custo. Riscos acrescidos de infecção, Crovalumabe também não temos nível intelectual da população para armazenamento das canetas., Temos a via iv e Vo de outras medicações inibidoras do complemento com eficácia igual ou até melhor	3ª - Sim, Qual: Eculizimabe, Positivo: Aplicação IV segura e mantém aderência. Sendo a cada 2 meses , Negativo: O eculizimabe só tem de negativo a aplicação a cada 15 ds	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, precisamos ampliar as opcoes terapêuticas para HPN e beneficiar os pacientes de HPN com o acesso a Fabhulta (Iptacopana) em 2º linha de tratamento. ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Excelente mas com posologia difícil, dependencia de ir ao centro de infusão periodicamente para o tratamento que é crônico , Negativo: .	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 com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente uma opção de tratamento está disponível no SUS, a qual atualmente não é mais utilizada em diversos países e também por não bloquear vias suficientes do sistema complemento. Os pacientes precisam de uma medicação que atenda as necessidades atuais para cada caso particular, além de que, a medicação disponível faz com que o paciente esteja constantemente indo ao hospital, para pacientes que moram longe é extremamente complicado.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe. , Positivo e facilidades: Minhas taxas sanguíneas melhoraram muito, assim como células brancas e plaquetas. Bom controle da hemólise intravascular. A qualidade de vida também de ir ao hospital fazer o tratamento a cada 8 semanas., Negativo e dificuldades: Continuo tendo hemólise extravascular por outra via, pois não inibe mais vias do sistema complemento.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ainda existem necessidades não atendidas no tratamento com inibidor de C5, mantendo alguns pacientes dependentes de transfusão., Nos estudos de iptacopana houve normalização dos reticulócitos, controle de hemólise intra e extravascular, resolução da anemia (independência transfusional) e da fadiga. , Além disso, por ser uma medicação oral, a adesão ao tratamento seria muito melhor, além de não depender de deslocamento dos pacientes aos grandes centros para infusão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Reduz necessidade de transfusão, reduz risco trombótico., Negativo: Aumento do risco de infecções, infusões intravenosas frequentes	4ª - Estudo APPLY, Estudo de Fase III, aberto, randomizado, multicêntrico, com 158 pessoas (incluindo período inicial + período de extensão), que investigou a monoterapia com cloridrato de iptacopana em pacientes com HPN mantendo anemia persistente apesar da terapia com anti-C5., , A normalização da Hb atingida na semana 24 foi mantida até a semana 48 e rapidamente alcançada no braço do switch de anti-C5 para cloridrato de iptacopana., , Na semana 48, 86% dos pacientes tiveram um aumento de pelo menos 2g/dL de Hb e 68% atingiram níveis de Hb de 12g/dL ou maior.5, , A contagem absoluta de reticulócitos com iptacopana foi mantida normalizada ao longo das 48 semanas., , A contagem absoluta de reticulócitos manteve-se dentro da faixa normal com cloridrato de iptacopana até a semana 48, indicando um controle abrangente da hemólise (intravascular e extravascular)., , 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, 12(6):e414-e430.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há grande limitação e perda de qualidade de vida dos pacientes com HPN. Precisamos de inibidores para pacientes refratários e medicações com maior espaçamento de dose para permitir que o paciente possa trabalhar e viver de forma digna	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Bom controle da doença e recuperação funcional de pacientes que tem boa reposta, Negativo: Alguns pacientes são refratários e a infusão quinzenal limita a vida, trabalho, viagens ...	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, São medicamentos extremamente importantes para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna. A incorporação ao SUS pode garantir acesso mais amplo aos pacientes, melhorar a qualidade de vida, reduzir complicações da doença e promover maior equidade no acesso aos tratamentos disponíveis.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente possuímos duas drogas para tratamento de primeira linha de HPN disponíveis no SUS, o Eculizumabe e o Ravolizumabe, ambos inibidores de C5. Porém, ambos não conseguem resultados ótimos para o tratamento da doença, com pacientes se mantendo anêmicos, com fadiga importante e com hemólise extra vascular, além de existir, muitas vezes, dificuldade técnica e logística para a infusão de ambas as drogas., Dessa forma, acredito que exista uma demanda não atendida que pode ser suprida com a incorporação de iptacopana para segunda linha de tratamento de pacientes com HPN, pois ele é um medicamento de uso oral que possui inibição de do fator b da via alternativa do complemento, que consegue normalizar níveis de hemoglobina melhorando efetivamente a qualidade de vida do paciente e com boa aceitação e fácil adesão ao tratamento, sem problemas logísticos em relação a necessidade de centros de infusão.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Iptacopana, Positivo e facilidades: Iptacopana melhor posologia e forma de administração mais cômoda por ser uma medicação oral, promove melhores resultados em relação a normalização de hemograma e qualidade de vida para os pacientes em relação a outras drogas., Negativo e dificuldades: Por não estar ainda incorporado como segunda linha no SUS existe dificuldade de conseguir liberação desse medicamento para pacientes com HPN.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente possuímos duas drogas para tratamento de primeira linha de HPN disponíveis no SUS, o Eculizumabe e o Ravolizumabe, ambos inibidores de C5. Porém, ambos não conseguem resultados ótimos para o tratamento da doença, com pacientes se mantendo anêmicos, com fadiga importante e com hemólise extra vascular, além de existir, muitas vezes, dificuldade técnica e logística para a infusão de ambas as drogas., Dessa forma, acredito que exista uma demanda não atendida que pode ser suprida com a incorporação de iptacopana para segunda linha de tratamento de pacientes com HPN, pois ele é um medicamento de uso oral que possui inibição de do fator b da via alternativa do complemento, que consegue normalizar níveis de hemoglobina melhorando efetivamente a qualidade de vida do paciente e com boa aceitação e fácil adesão ao tratamento, sem problemas logísticos em relação a necessidade de centros de infusão.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessário para a qualidade de vida do paciente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como paciente da doença HPN, as medicações devem ser incluídas pois irá melhorar significamente a qualidade de nossas vidas.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Embora o eculizumabe tenha transformado o tratamento da doença, o ravulizumabe oferece eficácia clínica equivalente ou superior no controle da hemólise, com a vantagem de possuir duração de ação prolongada., Na prática, isso significa reduzir significativamente a frequência de infusões intravenosas, passando de aplicações quinzenais para aplicações a cada oito semanas. Essa característica diminui a carga do tratamento para os pacientes, reduz deslocamentos frequentes aos centros de infusão, reduz faltas ao trabalho e atividades habituais, além de proporcionar maior qualidade de vida e autonomia., Do ponto de vista assistencial, a menor frequência de infusões também contribui para otimizar recursos do sistema de saúde, reduzindo a utilização de leitos, cadeiras de infusão, equipes de enfermagem e custos indiretos relacionados ao acompanhamento do tratamento., Além disso, a manutenção mais estável do bloqueio do complemento reduz o risco de escape farmacocinético entre as doses, favorecendo o controle sustentado da hemólise e das complicações associadas à HPN, especialmente eventos trombóticos, que constituem a principal causa de morbidade e mortalidade desses pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O uso do Eculizumabe representou um marco no tratamento da HPN, proporcionando controle efetivo da hemólise intravascular mediada pelo complemento. Entre os principais benefícios observados destacam-se a redução significativa da necessidade de transfusões sanguíneas, redução da hemólise, redução do risco de eventos trombóticos e melhora importante da qualidade de vida dos pacientes. Além disso, muitos pacientes apresentam redução da fadiga, maior capacidade funcional e menor necessidade de hospitalizações relacionadas às complicações da doença. O medicamento também contribui para aumento da sobrevida quando comparado à história natural da HPN., Negativo: O Eculizumabe apresenta algumas limitações relevantes. Alguns dos pacientes permanece com anemia residual devido à manutenção da hemólise extravascular, podendo haver necessidade de manter de transfusões em alguns casos. O tratamento exige infusões intravenosas frequentes (geralmente a cada 14 dias), o que gera impacto logístico para pacientes e serviços de saúde. Além disso, a interrupção do medicamento pode resultar em rápida reativação da hemólise e aumento do risco de complicações graves. Outro aspecto importante é a necessidade de vacinação e monitoramento rigoroso devido ao maior risco de infecções por bactérias encapsuladas, especialmente meningococo. Embora reduza significativamente a hemólise intravascular, nem todos os pacientes alcançam resposta hematológica completa ou independência transfusional.	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para as pessoas que vivem com HPN, a anemia persistente continua sendo um grande desafio, mesmo quando estão em tratamento. O cansaço intenso, a fraqueza e a necessidade frequente de transfusões comprometem a qualidade de vida, a capacidade de trabalhar e a realização das atividades do dia a dia., , Por isso, é fundamental ampliar as opções terapêuticas disponíveis. A iptacopana (Fabhalta®) representa uma alternativa importante para pacientes que ainda apresentam anemia e sintomas residuais, contribuindo para um melhor controle da doença, redução da dependência de transfusões e melhora dos resultados clínicos., , Mais do que tratar exames, essa opção oferece a possibilidade de uma vida com mais disposição, autonomia e qualidade para quem convive com a HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Beneficiar pacientes não responsivos as terapias de primeira linha	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Resposta apenas parcial, pois o paciente continuava apresentando fadiga e necessidade de transfusão de hemácias , Negativo: Resposta incompleta	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento maravilhoso	2ª - Sim, Qual: Crovalimabe , Positivo e facilidades: Uma condição de vida muito melhor no meu dia a dia , Negativo e dificuldades: Nao tem aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Com o eculizumabe eu tinha muita hemolise no meu organismo, e tinha que fazer muitas transfusões de sangue e internações , Negativo: Com o cromalimabe e uma tecnologia maravilhosa , nao precisei de internação e nem transfusão de sangue, vivo a minha vida normal graças à Deus	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 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente possuímos duas drogas para tratamento de primeira linha de HPN disponíveis no SUS, o Eculizumabe e o Ravolizumabe, ambos inibidores de C5. Porém, ambos não conseguem resultados ótimos para o tratamento da doença, com pacientes se mantendo anêmicos, com fadiga importante e com hemólise extra vascular, além de existir, muitas vezes, dificuldade técnica e logística para a infusão de ambas as drogas., Dessa forma, acredito que exista uma demanda não atendida que pode ser suprida com a incorporação de iptacopana para segunda linha de tratamento de pacientes com HPN, pois ele é um medicamento de uso oral que possui inibição de do fator b da via alternativa do complemento, que consegue normalizar níveis de hemoglobina melhorando efetivamente a qualidade de vida do paciente e com boa aceitação e fácil adesão ao tratamento, sem problemas logísticos em relação a necessidade de centros de infusão.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma medicação que é tão necessária jamais deveria estar fora do programa do sus mesmo que o valor seja alto	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamentos importantes e com bons resultados para tratamento de pacientes com HPN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Terapias que proporcionam melhor qualidade de vida aos pacientes, mais adesão ao tratamento, com redução de morbimortalidade.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Bom tratamento em comparação ao transplante de medula óssea , Negativo: Necessidade de aplicações frequentes, hemólise de escape	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As tecnologias citadas são essenciais para manutenção e sustentação da vida dos doentes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna	2ª - Sim, Qual: Pegcetacoplane!! Tecnologia com ótima resposta clínica mensurada com casos de vidas reais e estudos. , Positivo e facilidades: Pacientes foram beneficiados com a utilização de Pegcetacoplane. Pude observar que os resultados de eficácia dos estudos de Pegcetacoplane para HPN, ocorreram também em vida Real. Pegcetacoplane administração subcutânea, facilitando a aderência e melhorando qualidade de vida dos doentes de HPN. , Negativo e dificuldades: Pegcetacoplane não apresenta aspectos negativos	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:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento é oral e isso é muito bom em um país extenso e com uma grande população como Brasil. Além disso, mantém impacto relevante na qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho faz tratamento para HPN e vejo diariamente a importância de novos medicamentos para que ela consiga trabalhar, estudar e ter uma vida normal.	2ª - Sim, Qual: Meu filho faz uso atualmente do iptacopana, Positivo e facilidades: Redução do risco de trombose e suas complicações através da redução significativa de hemólise , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: Não tivemos uma resposta muito significativa a esse trabalho , Negativo: Resposta abaixo do esperado	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN apesar de doença carrega consigo grande morbimortalidade, o comprometimento sistêmico associado principalmente a hemólise acarreta grande prejuízo ao paciente. Corroborado a isto, o Ravulizumabe possui maior estabilidade com maior controle de doença e sintomas, associado a menos hemólise de escape, devido a maior estabilidade o tempo de aplicação entre uma dose e outras é espaçado, resultando em mais autonomia e qualidade de vida. Para os Sistema Único de Saúde a droga possibilidade menor custo e ocupação de cadeiras de infusão , otimizando espaço físico,, Do ponto de vista médico, entendo que a incorporação desta medicação agrega em qualidade de vida, melhor controle da doença e melhor gestão de recurso físico e financeiro do SUS	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Controle de doença, Negativo: Hemólise de escape, dependencia do centro de infusão, ocupação de cadeiras de infusão	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, PACIENTES COM HPN TEM NECESSIDADES NÃO ATENDIDAS DEVIDO A HETEROGENICIDADE DE APRESENTAÇÃO CLINICA DA DOENÇA E DE RESPOSTA AOS TRATAMENTOS DISPONIVEIS. A DOENÇA INCIDE EM PACIENTES DE FAIXA ETÁRIA JOVEM, PRODUTIVA, O QUE AFETA DIRETAMENTE A VIDA SOCIAL, FAMILIAR E PROFISSIONAL DOS MESMOS. APESAR DE UMA DOENÇA RARA, TEM ALTA MORTALIDADE E NECESSITA DE MAIS OPÇÕES TERAPÊUTICAS DEVIDO ÀS TAXAS DE FALHA IMPORTANTES EVIDENCIADAS NA PRATICA CLINICA.	2ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE E IPTACOPANA, Positivo e facilidades: ECULIZUMABE TEM BOA RESPOSTA INICAL AOS PACIENTES, BOA TOLERÂNCIA, SEGURANÇA EM RELAÇÃO A DIMINUTAS TAXAS REAÇÃO INFUSIONAL. , IPTACOPANA TEM RESPOSTA SUSTENTADA E DEVIDO A INIBIÇÃO PROXIMAL DO COMPLEMENTO TEM MUITO MENOS HEMOLISE DE ESCAPE, ALÉM DE SER VIA ORAL, MELHORANDO MUITO A TAXA DE ADERENCIA DEVIDO AS DIMENSÕES CONTINENTAIS DO ESTADO EM QUE RESIDO (MT). , Negativo e dificuldades: ECULIZUMABE APRESNETA MUITA HEMOLISE DE ESCAPE E TEMOS DIFICULDADE DE ADERENCIA DEVIDO A DISTÂNCIA DO CENTRO INFUSOR, IPTACOPANA A PRINCIPIO O PREÇO DA MEDICAÇÃO SERIA O MAIOR EMBATE, MAS A LONGO PRAZO, OBSERVANDO TODOS OS RECURSOS DIPENSADOS PARA TRASNPORTE, INFUSÃO, ATENDIMENTO DO PACIENTE E INTERCORRÊNCIAS, SERIA CABÍVEL EM CUSTO BENEFICIO	3ª - Não	4ª - DE ACORDO COM ESTUDOS APLY E APPOINT, O IPTACOPANA TEM EFICÁCIA E SEGURANÇA EM PONTOS ESTRATÉGICOS NO TRATAMENTO DA HPN, QUE SÃO EXCLUSIVOS DA DROGA: POSOLOGIA SIMPLIFICADA E ORAL, INIBE O COMPLEMENTO DE FORMA PROXIMAL, INIBINDO FATOR B (UNICA DROGA QUE TEM ESSA AÇÃO) REDUZINDO IMPORTANTEMNETE OS INDICES DE HEMOLISE DE ESCAPE. APRESENTA SEGURANÇA FARMACOLOGICA COM BAIXISSIMAS TAXAS DE EFEITOS COLATERAIS, NORMALIZAÇÃO DE INDICES DE HEMOGLOBINA, INDEPENDENCIA TRASNFUSIONAL E MELHORANDO QUALIDADE DE VIDA DOS PACIENTES,	5ª - EM RELAÇÃO A AVLIAÇÃO CUSTO BENEFICIO JÁ DIVULGADA PELA CONITEC, O IPTACOPANA DOMINA O ECULIZUMABE E RAVULIZUMABE. EM RELAÇÃO AOS CUSTOS ANUAIS, HÁ UM BAIXO INCREMENTO, DISSOLVIDO A LONGO PRAZO. É IMPORTANTE LEMBRAR QUE DEVIDO A NORMALIZAÇÃO DO HEMOGRAMA, MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA, INDEPENDENCIA TRANFUSIONAK, BAIXA TAXA DE INTERCORRENCIA, ESSE PACIENTE JOVEM TORNA-SE MAIS PRODUTIVO, ADERE MELHOR AO TRATAMENTO, NÃO PRECISA SE DESLOCAR ATÉ O CENTRO INFUSOR (OU GERAR GASTOS AS SECRETARIAS MUNICIPAIS COM DESLOCAMENTO, ALIMENTAÇÃO E REPOUSO DOS PACINETES E ACOMPANHANTES), REDUZ CONSUMO DE HEMOCOMPONENTES GERANDO MENOR DEMANDA AOS BANCOS DE SANGUE CUJA REALIDADE BRASILEIRA JÁ EVIDENCIA ESCASSEZ.
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação com melhor farmacodinâmica do que o eculizumabe trazendo melhor qualidade de vida e maior segurança aos pacientes com HON	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe e ravalizumabe , Positivo e facilidades: Melhor qualidade de vida aos pacientes. Com redução de custos relacionado aos centros de infusões, Negativo e dificuldades: Não tive experiências negativas	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Em meu nome e em nome da equipe de hematologia do HC-Unesp, acreditamos que o tratamento da HPN pode ser ainda melhor com a incorporação dessas novas tecnologias, ainda que o Eculizumabe já seja um ganho enorme para nossos pacientes. A entrada de moléculas mais estáveis farmacologicamente (RAVULIZUMABE) e de estratégias de inibição proximal (IPTACOPANA) tem o potencial de melhorar ainda mais não apenas a sobrevida dos nossos pacientes, como também sua qualidade de vida, assim como os custos que sistema público teria com esses pacientes a médio e longo prazo., , A inibição Sistema Complemento foi transformadora para a HPN. A chegada do Eculizumabe ao SUS foi algo revolucionário para o cuidado dessa patologia e incrementou sobremaneira a sobrevida dos nossos pacientes., Entretanto, existem ainda algumas necessidades não atendidas. Quando comparado ao Eculizumabe, o RAVULIZUMABE é uma droga que apresenta vantagens como maior estabilidade farmacológica, tempo de administração mais conveniente para o paciente e menos oneroso para o serviço (aplicações a cada 2 meses ao invés de quinzenal), menos episódios de escape hemolítico e dose de acordo com o peso (algo que faz grande diferença para pacientes com maior superfície corporal, levando a melhor controle e menos episódios de escape). , Ainda se tratando das necessidades não atendidas, a droga IPTACOPANA tem o benefício de oferecer também um bom controle do sistema complemento terminal, mas também a inibição do complemento terminal, o que leva a melhora significativa da anemia em paciente que está estão em uso de inibidores terminais e desenvolver hemólise extravascular. Poderia entrar como uma linha subsequente para aquele paciente que ainda manteve anemia a despeito do uso do RAVULIZUMABE, mas também é uma droga aprovada para uso desde a primeira linha e tem a vantagem posológica de ser de via oral.	2ª - Sim, Qual: Temos experiência institucional com o Ravulizumabe por conta de estudo clínico conduzido na nossa instituição e temos pacientes que mantem uso da droga em esquema pós-trial., Positivo e facilidades: O que notamos é que nossas pacientes que fazem uso do RAVULIZUMABE tem um controle mais profundo da HPN, o que provavelmente está associado a maior estabilidade farmacocinética da droga e também o uso associado ao peso, o que individualiza o tratamento e permite maior e mais longa inibição do Sistema Complemento. Além disso, a qualidade de vida dessas pacientes é certamente muito melhor com o uso da droga, pois elas vem a cada 2 meses apenas para as infusões. E também não tiveram complicações clínicas ao longo dos anos em que estão exposta à droga., Negativo e dificuldades: Não tenho aspectos negativos para relatar com a experiência com o Ravulizumabe.	3ª - Sim, Qual: Temos ampla experiência com o Eculizumabe, que já é dispensado pelo SUS., Positivo: O uso do Eculizumabe tem sido fundamental para nossos pacientes, provendo bom controle de doença na maioria dos casos., Negativo: Temos alguns pacientes que respondem parcialmente à droga, o que leva a necessidade de novas terapias que possam suplantar essa deficiência.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho conhecimento de que essas medicações podem melhorar a Hb e também prolonga as aplicações, além dessa nova possibilidade de medicação por comprimido.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O uso do eculizumabe diminuiu a hemólise, além da descontinuidade de internações e transfusões., Negativo: A Hb segue abaixo de 10, o que contribui muito com a fadiga.	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Benefício direto ao paciente no que tange ao tratamento de sua condição clínica	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, extremamente necessária a disponibilização	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Representa um avanço importante, pois amplia o acesso a um tratamento adequado para uma doença rara e grave. A medida pode contribuir para o controle da doença, redução de complicações e melhora da qualidade de vida dos pacientes.	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como farmacêutica hospitalar atuando há 13 anos na área de hematologia, considero importante que o SUS disponha de diferentes opções terapêuticas para o tratamento da Hemoglobulinúria Paroxística Noturna (HPN), incluindo alternativas de administração oral., , A possibilidade de utilização da iptacopana representa um avanço relevante, especialmente por reduzir a necessidade de deslocamentos frequentes dos pacientes aos centros de tratamento para infusões, proporcionando maior conforto, autonomia e potencial melhora da qualidade de vida. Embora reconheça que a terapia oral não seja adequada para todos os pacientes, uma vez que a adesão ao tratamento deve ser avaliada individualmente, sua disponibilização amplia as opções terapêuticas para atender diferentes perfis e necessidades., , No Hemorio, tivemos a oportunidade de acompanhar três pacientes em uso de iptacopana, com resultados positivos, principalmente relacionados à melhora da qualidade de vida e à maior independência em relação ao tratamento. Na prática assistencial, a redução da necessidade de comparecimento frequente ao hospital pode representar benefício significativo para pacientes que convivem com uma doença crônica e rara como a HPN., , Dessa forma, considero válida a incorporação da iptacopana como opção terapêutica para pacientes com HPN que apresentem indicação para seu uso, contribuindo para a ampliação das alternativas de tratamento disponíveis no SUS.,	2ª - Sim, Qual: RAVULIZUMABE, IPTACOPANA, Positivo e facilidades: Sou farmacêutica hospitalar e atuo há 13 anos na área de hematologia. Considero importante que o SUS disponha de diferentes opções terapêuticas para o tratamento da Hemoglobulinúria Paroxística Noturna (HPN), permitindo que a escolha do tratamento seja individualizada de acordo com as características clínicas e necessidades de cada paciente., , Na prática assistencial, nem todos os pacientes se adaptam da mesma forma a uma única estratégia terapêutica. Além da eficácia e da segurança, aspectos como frequência de administração, via de aplicação, necessidade de deslocamentos aos serviços de saúde, adesão ao tratamento e impacto na qualidade de vida devem ser considerados., , Nesse contexto, a disponibilização de diferentes opções terapêuticas pode trazer benefícios relevantes. O ravulizumabe apresenta a vantagem de reduzir significativamente a frequência das infusões quando comparado a outras terapias intravenosas. O crovalimabe oferece a possibilidade de administração por via subcutânea, proporcionando maior comodidade para determinados pacientes. Já a iptacopana representa uma alternativa oral, favorecendo a autonomia e reduzindo a dependência de procedimentos infusivos e de comparecimentos frequentes ao hospital., Negativo e dificuldades: É importante destacar que nenhuma dessas opções é necessariamente a melhor para todos os pacientes. A existência de diferentes alternativas permite que a equipe assistencial selecione o tratamento mais adequado para cada situação clínica, considerando tanto os aspectos médicos quanto as particularidades da rotina e da qualidade de vida dos pacientes.	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: Como aspecto positivo, destaco que o eculizumabe foi a primeira terapia que trouxe uma mudança significativa na história natural da doença, proporcionando melhor controle clínico, redução das complicações relacionadas à hemólise e importante melhora da qualidade de vida dos pacientes., Negativo: Como aspecto negativo, resalto a necessidade de administração intravenosa frequente, com comparecimento ao hospital a cada 14 dias para realização das infusões. Essa característica pode impactar a rotina dos pacientes e seus familiares, especialmente em casos de deslocamentos longos, dificuldades de acesso ao serviço de saúde e necessidade de ausências do trabalho ou de outras atividades habituais.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha amiga que sofre muito com a doença disse que seria de extrema ajuda para ela, por isso acho importante.	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença que impacta muito na morbimortalidade e qualidade de vida do paciente - principalmente pelos eventos trombóticos e sintomas de fadiga mau controlados, que impactam na produtividade do paciente. O tratamento de segunda linha é uma necessidade não atendida atualmente pelo Sistema Único de Saúde e as opções ofertadas nesta consulta pública são ótimas em questões de eficácia e adesão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe - tratamento de primeira linha, Positivo: Ótima opção de primeira linha em questões de eficácia, Negativo: Necessita de centro de infusão e a posologia é bastante frequente, havendo outras opções com mesma efetividade e que tem maior intervalo entre as aplicações	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos os estudos apontam para resposta mais duradoura, melhora na posologia refletindo em melhora na qualidade de vida, menos escapes e melhor custo)efetividade, atestada pelo fato de que o NHS incorporou o ravulizumab como primeira linha.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Melhor posologia e resposta mais duradoura, Negativo e dificuldades: Eventos adversos, porém comparáveis ao perfil de segurança do eculizumabe	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora da hemólise em pacientes que não tinham outra opção terapêutica, Negativo: Posologia com vindas frequentes ao centro de saúde	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É extremamente necessária a inclusão dos medicamentos citados, para que as pessoas tenham acesso ao tratamento, que lhes darão melhores condições de saúde e uma perspectiva de vida digna.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou paciente e dependo da medicação. Já utilizei o tratamento de primeira linha (Eculizumabe), mas com a progressão da doença eu passei a ter hemólise de escape e troquei para o pegcetacoplane. Incluir tratamentos além do eculizumabe no SUS dará mais opções aos pacientes cuja doença progrediu ou apresenta sintomas além do que o eculizumabe consegue tratar, além de modernizar o sistema com novas tecnologias e opções de tratamento aos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Pegcetacoplane, Positivo e facilidades: Eu fazia uso do eculizumabe e ele estabilizou meus sintomas, mas eu nunca deixei de ter anemia e hiperbilirrubenia. Com a pegcetacoplane, eu não tenho mais anemia, minhas bilirrubinas melhoraram, além de melhorar significativamente minha qualidade de vida. Tive um fôlego novo para trabalhar. Antes eu precisava aplicar o eculizumabe em uma clínica, e o pegcetacoplane eu aplico sozinho em casa., Negativo e dificuldades: O acesso ao tratamento é bem complicado e necessitou de via judicial. A aplicação não é tão simples mas é possível aplicar sozinho.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como farmacêutico clínico especialista vejo a importância de garantir aos pacientes um controle ideal através dos inibidores do sistema complemento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Estabilidade no controle do sistema complemento dos pacientes com HPN., Garantido mais qualidade de vida e contribuindo para o paciente ter mais possibilidade de conviver com essa doença., Vejo pacientes conseguindo fazer procedimento cirúrgico que antes não conseguiam fazer por não ter estabilidade no sistema complemento., Negativo e dificuldades: Burocracia para ter acesso ao ravulizumabe	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há diversos medicamentos novos que são de fácil auto aplicação pelos portadores da condição, bastando a disponibilização dos mesmos pelo SUS para contribuir em muito com o tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como hematologista que acompanha pacientes com HPN, reforço o apoio à incorporação de terapias inibidoras do complemento, tanto terminal quanto proximal., Muitos pacientes convivem com exaustão persistente, limitações para o trabalho, para os estudos, para a convivência familiar e para atividades simples da vida diária., O Ravulizumabe, inibidor do complemento terminal, promove bloqueio sustentado do C5 e proporciona controle efetivo da hemólise intravascular, reduz o risco de trombose, diminui a necessidade transfusional e modifica de forma significativa a história natural da doença. Além dos benefícios clínicos, a administração em intervalos maiores (a cada 8 semanas) reduzem deslocamentos frequentes aos serviços de saúde, diminuem as faltas no ambiente de trabalho e escolar e proporcionam maior independência e qualidade de vida., Entretanto, nem todos os pacientes atingem controle pleno da doença apenas com o bloqueio terminal do complemento. Uma parcela permanece sintomática, frequentemente em decorrência de hemólise extravascular., Nesses casos, os inibidores proximais do complemento representam uma alternativa fundamental, oferecendo uma abordagem mais abrangente da fisiopatologia da HPN., A disponibilidade de diferentes mecanismos de ação não deve ser vista como uma duplicidade terapêutica, mas como oportunidade de individualização do tratamento., Por esses motivos, considero importante a incorporação dos medicamentos propostos, garantindo o acesso a inibidores terminais e proximais do complemento.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Maior controle da hemólise, redução expressiva da fadiga, melhora significativa na qualidade de vida em virtude de maior tempo entre os ciclos (a cada 8 semanas)., Negativo e dificuldades: Não houve aspectos negativos	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Ótimo Controle da hemólise intravascular, porém por ser inibidor de C5 utilizado a cada 14 dias, o tempo de meia vida da droga torna o uso para o paciente bastante exaustivo, impedindo que o mesmo tenha uma qualidade de vida adequada., Negativo: Infusão a cada 14 dias	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma alternativa que pode garantir a qualidade de vida e até mesmo a vida dos pacientes	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As medicações em avaliação são uma necessidade médica não atendida no sistema público, especialmente naqueles pacientes que não atingiram a resposta adequada com eculizumabe	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, iptacopan, eculizumabe, Positivo e facilidades: São ótimas medicações e realmente causam um desfecho positivo na jornada dos pacientes, Negativo e dificuldades: Poucos aspectos negativos quando comparado com os pacientes que não fazem uso dessas medicacoes	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Danazol, prednisona, Positivo: Poucos eventos adversos,, Negativo: Pouca eficacia	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas necessitam de medicamentos (muitas vezes caros) para tratar doenças diversas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Fará bem para pessoas com a necessidade específica.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importante pois tenho conhecidos que possuem a doença e é complicado o tratamento pelo meio privado	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Infliximab, Positivo: Tenho crohn e ajuda muito no meu tratamento, porém faço pelo meio privado (não sei se tem no SUS), Negativo: nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou responsável pelo acompanhamento dos pacientes com HPN e que fazem uso dessa medicação, através do exame de imunfenotipagem. A melhora desses pacientes é fantástica, devolvendo a qualidade de vida aos portadores dessa enfermidade.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Apesar do avanço do tratamento com eculizumabe, 25a50% dos pacientes ainda podem apresentar hemólise extravascular, com morbimortalidade ainda elevada., A incorporação de inibidores de complemento proximal (iptacopana e pegcetacoplana), mesmo que em segunda linha, atende esta demanda.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Alguns pacientes responderam muito bem, sem mais sinais de hemólise, sem necessidade transfusional / sintomas constitucionais. , Negativo: Alguns mantiveram sinais de hemólise, ainda com necessidade transfusional. ,	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilidade de aplicações	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com esta rara doença tem uma qualidade de vida muito ruim e muitos sintomas tanto pela anemia quanto pela inflamação crônica ocasionada pela ativação do complemento., Um ótimo controle da doença com espaçamento das doses e um controle adequado de LDH e do C5 permitem que esses pacientes tenham sobrevida igual a população em geral e com qualidade de vida, retornando ao mercado de trabalho.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe -, Ravulizumabe -, Crovalimabe, Positivo e facilidades: Eculizumabe - v'ários pacientes do sus em uso, boas respostas. No entanto, a aplicação é a cada 14 dias e alguns pacientes apresentam hemólise de escape próximo da dose seguinte, Ravulizumabe - posologia mais cômoda, melhor controle de LDH e de C5 s'érico, reduz transfusões, ideal para 1ª linha, Crovalimabe - uso SC injetável, permite uso domiciliar, Negativo e dificuldades: Eculizumabe - aplicação é a cada 14 dias e alguns pacientes apresentam hemólise de escape próximo da dose seguinte, não controla hemólise extravascular apenas, Ravulizumabe - não controla hemólise extravascular apenas, Crovalimabe - dados de estudos ainda recentes, pouco tempo de mercado, possibilidade de falha de adesão e não sabermos pois não vem ao centro aplicar.	3ª - Não	4ª - Ravulizumabe comparado com eculizumabe tem melhor controle de hemólise intravascular e de escape, bom controle de LDH com menos aplicações, sendo a cada 8 semanas e dose pelo peso do paciente. Sendo portanto, não inferior e tendendo a superioridade em alguns aspectos como redução de transfusões e sintomas. No Estudo 301, o maior estudo controlado de pacientes com HPN em 1ª linha, o tratamento com razulizumabe atingiu todos os desfechos principais de eficácia coprimários e secundários. Referência: . Lee JW, et al. Blood. 2019, 133(6):530–539., , Dados de 48 semanas dos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH reforçam resultados consistentes associados à monoterapia oral com iptacopana em 1ª ou 2ª linha. No estudo APPLY-PNH em 2ª linha em paciente com anemia persistente com uso de inibidor de complemento terminal (c5), a normalização da hemoglobina alcançada na semana 24 foi mantida até a semana 48.3 e mais de 90% dos pacientes atingiram independência transfusional. Referência: 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, 12(6).	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 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara, mas com alta morbi-mortalidade, principalmente devido a quadro de trombozes de sítios não habituais. Trato atualmente pacientes com essa condição e após início do tratamento com eculizumabe eles apresentam melhora significativa do quadro de anemia, voltando a trabalhar e contribuir com a sociedade (prestando serviços, produzindo e pagando impostos). Entretanto nem todos apresentam resposta suficiente ao eculizumabe e poderiam se beneficiar com o ravulizumabe ou mesmo outros inibidores do complemento proximal. A forma de administração dos diversos medicamentos para esta patologia também nos auxilia na hora de selecionar a melhor droga, tendo em vista que muitos pacientes do SUS tem dificuldade de acesso aos grandes centros e infusões quinzenais podem nem sempre ocorrer nas datas devidas devido à dificuldades no acesso. A medicina evoluiu muito nesse ponto ao oferecer diversas drogas, com diversas formas de administração para uma doença extremamente rara, mas que é debilitante, limitante e muitas vezes fatal, levando nossos pacientes ainda jovens quando ficam sem tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, inibidor terminal de complemento, Positivo: Os pacientes que fizeram uso da medicação melhoraram o quadro de anemia, recuperaram a função renal e conseguiram voltar a trabalhar, Negativo: A infusão quinzenal da medicação acaba limitando um pouco as atividades de vida dos pacientes e gerando um volume maior de necessidade de atendimento nos centros que infundem o medicamento	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito importante	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O processo de incorporação trará ampliação do N de pacientes e aumentará o leque de pesquisa como trará mais benefícios aos pacientes agravados!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 17/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho conhecimento de pessoa necessitada desse medicamento.	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:
Pessoa com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TODOS DEVEM TER ACESSO A SAUDE, PAGAMOS MUITOS IMPOSTOS PARA ISSO, NAO FAZ SENTIDO EM TERMOS QUE PAGAR PARTICULAR, PRA TER UMA SAUDE DE QUALIDADE,, MUITAS PESSOAS DEPENDEM DISSO PARA O MINIMO DE SOBREVIVENCIA	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho tem 19 anos, a quase 5 anos luta contra duas doenças, APLASIA DA MEDULA ÓSSEA + HPN. Dentre outros medicamentos, hoje ele faz uso do FABHALTA (IPTACOPANA), que não é disponibilizado pelo SUS, esse medicamento tem feito uma diferença significativa no tratamento da doença do meu filho, e custeado pelo convênio médico que temos, a maioria das pessoas não tem essa condição, acredito que todos deveriam ter acesso a todo tipo de tratamento existente. Esse é o mínimo que o governo poderia fazer por quem está passando por isso.	2ª - Sim, Qual: IPTACOPANA (FABHALTA) , Positivo e facilidades: Diminuição significativa dos marcadores de hemólise, aumento dos marcadores de HB, plaquetas e leucócitos, automaticamente diminuição ou até extinção da necessidade de transfusão de sangue, melhoria na qualidade de vida do paciente. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE. , Positivo: Não houve resultado significativo favorável. , Negativo: Não houve resultado significativo favorável, marcadores de hemólise se mantiveram elevados.	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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Prezados membros da Conitec,, Venho manifestar meu PARECER FAVORÁVEL à incorporação do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana para o tratamento de pacientes com Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN) no SUS., Compreendo a preocupação desta comissão quanto à competitividade de preços e o impacto orçamentário inicial. No entanto, a incorporação dessas tecnologias não deve ser vista apenas como um custo isolado, mas como uma estratégia de eficiência e humanização do tratamento por três motivos centrais; 1. Redução de Custos Indiretos com Hospitalização: Medicamentos de longa duração (como ravulizumabe) ou de administração domiciliar/oral (como crovalimabe e iptacopana) esvaziam os centros de infusão do SUS, economizando recursos com equipes médicas, materiais hospitalares e transporte de pacientes., 2. Ganho de Produtividade e Qualidade de Vida: Livrar o paciente da obrigação de comparecer ao hospital a cada duas semanas permite que ele estude, trabalhe e contribua ativamente com a sociedade, reduzindo o absenteísmo e as concessões de auxílio-doença., 3. Eficácia para Pacientes Refratários: Para os pacientes que continuam anêmicos e dependentes de transfusões mesmo usando o eculizumabe, as novas opções terapêuticas (como a pegcetacoplane e a iptacopana) controlam a doença de forma superior, eliminando gastos subsequentes com bolsas de sangue e manejo de complicações., Diante disso, solicito que o Ministério da Saúde utilize seu poder de compra para negociar preços sustentáveis com os laboratórios parceiros, mas que garanta o direito de escolha e o avanço clínico dos pacientes com HPN através da recomendação positiva de incorporação desta linha completa de cuidados., , "	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes com HPN no SUS possuem apenas o eculizumabe disponível para tratamento. Em alguns caso apresenta anemia hemolítica extravascular de escape, o que pode ser reduzida e cessada com a utilização das novas tecnologias.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Os pacientes com HPN no SUS possuem apenas o eculizumabe disponível para tratamento. Em alguns caso apresenta anemia hemolítica extravascular de escape, o que pode ser reduzida e cessada com a utilização das novas tecnologias., Negativo: Sem aspectos negativos.	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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, doença rara, a HPH afeta os pacientes podendo leva-los ao óbito. Conviver com a doença não é fácil e impacta na vida produtiva e emocional . O eculizumabe cumpriu bravamente o seu papel tornando possível a vida dos pacientes, mas há importante dependência quanto ao modo de sua aplicação - intravenosa , de 15/15 dias por alguns e até uma vez por semana para outros. o aprisionamento do paciente depende de onde ele se trata: instalação hospitalar, equipe de enfermagem e médicos , deslocamentos até a área de aplicação com gastos de fomentos importantes. a aquisição dos novos medicamentos tem todas as vantagens que o eculizumabe não tem, tanto para o paciente quanto para a rede de saúde envolvida. Sendo doença rara, acredito que valerá para todos, governo e pacientes, a introdução destes novos medicamentos, que tem propostas inovadoras e já comprovadas por estudos clínicos. Incentivo e apoio a introdução destes na farmácia do SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe (Soliris) utilizado desde sua aprovação no Brasil em pacientes do nosso hospital - Hospital Universitário Gafrrre e Guinle, da Universidade Federal do Estado do Rio de Janeiro, com excelente resultado. , Corticoterapia , com resultados paliativos , , Positivo: Para o eculizumabe, melhora da hemólise intravascular permitindo normalização do quadro clínico é dos níveis de hemoglobina, suspendendo as necessidades transfusionais, as iniciativas como exsanguineo transfusão, e melhora clínica geral., Negativo: Para o eculizumabe , a dependência de acesso venoso e da infusão semanal do medicamento.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu como mãe de paciente com HPN, sei do impacto da doença na vida do paciente, e da necessidade de novas terapias para melhor qualidade de vida deles.	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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , O ravulizumabe apresenta vantagens importantes no tratamento ao proporcionar inibição rápida e sustentada do complemento, garantindo melhor controle da hemólise intravascular. , Apresenta posologia individualizada por peso corporal permite maior precisão terapêutica. Além disso, oferece maior comodidade ao paciente, com administração a cada 8 semanas, reduzindo a frequência de infusões., , Está associado a menor ocorrência de eventos adversos de hemólise de escape e eventos tromboembólicos, contribuindo para maior segurança. Também promove melhora na qualidade de vida, com redução da necessidade transfusional e impacto positivo na sobrevida. Por fim, também apresenta benefício econômico, ao reduzir custos assistenciais e indiretos, além de ser amplamente aceito pelos pacientes devido à conveniência do tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A avaliação é necessária, pois existem vários pacientes que precisam se viajar quilômetros e quilômetros para realizar as infusões, fora o desgastes físico e emocional que afetam. , O sus precisa se adaptar e melhorar para realizada de enfrentada dos pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Poise nós pacientes ficam tanto cansado pra deslocar tão v longe pra fazer a infusão eu mesmo preciso ficar quarto dias fora da minha cidade pra fazer a infusão isso que é a cada quinze dias.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculuzumabe, Positivo: Senti melhora no cansaço, os meus afazeres eu já consigo fazer, mas quando chega o período de tomar a efusão eu já sinto a necessidade., Negativo: A experiência negativa é só as viagens longas que preciso fazer, a cada 15 dias preciso me ausentar de casa por 4 dias para receber as infusões ,	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Traz uma melhor qualidade de vida para os pacientes .	2ª - Sim, Qual: Iptacopana , Positivo e facilidades: Iptacopona é uma droga que propicia adesão terapêutica visto que é uma medicação oral , com diminuição na necessidade transfusional , levando consequentemente a melhor impacto na qualidade de vida dos pacientes, Negativo e dificuldades: Não tenho pontos negativos.	3ª - Sim, Qual: Eculuzimave e ravulizumabe que depende de idas regulares a centro de infusão prejudicando a qualidade de vida e adesão terapêutica dos pacientes., Positivo: Diminuição da hemólise mas maior necessidade transfusional comparado a iptacopana., Negativo: Maior necessidade transfuosnal.	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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como parente de familiar que possui HPN, acompanhamento de perto a jornada de pacientes e os desafios, mesmo em tratamento com Ecolizumabe, permanecem com anemia e sintomas que impactam significativamente sua qualidade de vida., , Alem deste ponto, exige deslocamentos, disponibilidade de vagas nos serviços de saúde, acompanhamento contínuo e gera desgaste físico e emocional tanto para os pacientes quanto para suas famílias., , Nesse contexto, a disponibilização de uma segunda linha de tratamento, como a iptacopana (Fabhalta®?), representa uma importante oportunidade para aqueles que não alcançaram o controle adequado da doença com a terapia atual. , , A possibilidade de controlar melhor a doença e reduzir a carga assistencial associada às transfusões traz benefícios que vão além dos resultados laboratoriais, permitindo que os pacientes retomem suas atividades, tenham mais independência e convivam com mais segurança e esperança em relação ao futuro.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sei que possui muitas evidências principalmente como terapia iptacopana. A ser destinado como segunda terapia no tratamento da HPN.	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN É UMA DOENÇA RARA E CRÔNICA, NECESSITA DE TRATAMENTO CONTINUO QUANDO DIAGNOSTICADA., A MEDICAÇÃO RAVULIZUMABE APRESENTA EFICIENCIA NO CONTROLE DA DOENÇA E DIFERENTE DO ECULIZUMBE APRESENTA MENOR TAXA DE HEMOLISE AO FINAL DO PERÍODO DE MANUTENÇÃO- ENTRE DOSES, DE FORMA QUE É MAIS EFICIENTE E SEGURA, ALEM DE TERM MAIOR TEMPO ENTRE AS APLICAÇÕES DAS DOSES DE MANUTENÇÃO COM A POSSIBILIDADE DE ASSEGURAR MELHOR QUALIDADE DE VIDA PARA OS PACIENTES QUE UTILIZAM ESSA MEDICAÇÃO E MENOR CUSTO RELATIVO AS INFUSÕES.	2ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, FAHBALTA, Positivo e facilidades: MENOR INCIDENCIA DE HEMOLÍSE E CRISES HEMOLITICS, MAIOR ESPAÇO DE TEMPO ENTRE AS INFUSÕES, SEGURANÇA DA DROGA, Negativo e dificuldades: NENHUMA	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, FAHBALTA, Positivo: MENOR INCIDENCIA DE HEMOLÍSE E CRISES HEMOLITICS, MAIOR ESPAÇO DE TEMPO ENTRE AS INFUSÕES, SEGURANÇA DA DROGA, Negativo: NENHUM	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tanto o Ravalizumabe quanto o iptitacona devem ser incorporados ao sus por melhorarem a qualidade de vida dos pacientes. o Ravalizumabe reduz a hemolise de escape e tem posologia mais comoda, não tão frequente como a droga atual, o ecolizumabe. Já o ipitacon além de ser oral reduz a hemolise extravascular melhorando a anemia residual dos pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa resposta, boa tolerabilidade, Negativo: entretanto dificuldade de manter a longo prazo devido a posologia com aplicações frequentes. Além disso por não dar cobertura para hemolise extravascular muitas vezes o paciente permanece com anemia sintomática.	4ª - A medicação incorporada não possui cobertura para hemolise extravascular, sendo coberta pelo ipitacopan, o que melhora a anemia e a qualidade de vida dos pacientes, Ravalizumabe pela melhora da posologia apresenta melhora na qualidade de vida e menor taxa de hemolise de escape	5ª - Ravalizumabe e iptiacopan possuem um custo anual inferior a medicação atualmente incorporada que é o ecolizumabe.

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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devido as condições de saúde que enfrentamos, quanto mais alternativas tiver será melhor para nossa qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Estou sendo tratado com o eculizumabe., Positivo: Eu estava morrendo e depois que comecei o tratamento estou conseguindo seguir minha vida de forma quase normal, bem como estou totalmente produtivo no trabalho., Negativo: A dependência de qualquer medicamento sempre é assustador, principalmente pelo medo de falta este medicamento.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se faz necessário a incorporação do ravulizumabe para tratamento em primeira linha para pacientes portadores de HPN com indicação de tratamento devido ao conforto posológico, além da redução da hemólise de escape. A utilização do eculizumabe deve ser preterida em favor da ravulizumabe uma vez que o eculizumabe demanda mais idas ao centro infusional além de maior incidência de hemólise de escape. Os inibidores de C5, especificamente, o ravulizumabe devem ser adotados como tratamento de primeira linha para HPN. Além disso, se faz necessário a adoção de inibidores proximais para o tratamento de segunda linha em pacientes que apresentam resposta sub-ótima aos inibidores de C5 por conta da hemólise extravascular. Nesse último caso, recomenda-se a incorporação do iptacopana pela potência de inibição proximal com redução de hemólise além de conforto posológico por ser droga oral.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe. , Positivo e facilidades: Comodidade posológica devido a meia vida mais longa em comparação ao eculizumabe. , Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Espaçamento de aplicações implica em redução de custos de deslocamento e de infusão. Além de melhoria de qualidade de vida.
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação da tecnologia é de clara importância no tratamento dos pacientes com a doença auto-imune em questão e como fonte de dados futuros para a alegibilidade em outras do mesmo espectro de ação, a saber o controle de etapas do sistema complemento anormalmente atuante causando lise celular. O medicamento torna-se de particular interesse em função do regime posológico consideravelmente mais cômodo, com uma vida útil maior.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: hidroxiuréia no tratamento da doença falciforme., Positivo: O uso regular e consciente do medicamento altera de forma significativamente positiva o quadro clínico geral da doença falciforme e, consequentemente a qualidade de vida dos pacientes., Negativo: Quase inexistentes, desde que utilizado regime posológico prescrito em função de exames de sangue regulares.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitos pacientes estão a meses, anos na justiça precisando dos medicamentos e várias vezes tem seus pedidos negados	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:
Pessoa com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamentos de alto custo e que dão qualidade de vida aos pacientes devem ser incorporados ao sus	2ª - Sim, Qual: Medicação eculizumab, Positivo e facilidades: Melhoria da qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Não tive pontos negativos	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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Em janeiro de 2025 tive uma paciente do sexo feminino, 20 anos, previamente hígida que fora admitida no pronto atendimento em urgência dialítica e em investigação de etiologia da lesão renal foi diagnosticada a Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Hoje a paciente encontra-se bem, sem nenhum evento de trombose e com recuperação total da função renal. Este desfecho foi possível, pois ela faz uso do inibidor do complemento. No momento está em uso do eculizumabe, porém esta medicação exige a infusão do medicamento de forma quinzenal o que dificulta a manter a sua rotina de estudo e trabalho. A posologia a cada 8 semanas do Ravulizumabe facilitaria muito essa dinâmica do dia a dia, sem contar que não há necessidade de cateter central para a infusão do medicamento.	2ª - Sim, Qual: Em janeiro de 2025 tive uma paciente do sexo feminino, 20 anos, previamente hígida que fora admitida no pronto atendimento em urgência dialítica e em investigação de etiologia da lesão renal foi diagnosticada a Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Hoje a paciente encontra-se bem, sem nenhum evento de trombose e com recuperação total da função renal. Este desfecho foi possível, pois ela faz uso do inibidor do complemento. No momento está em uso do eculizumabe, porém esta medicação exige a infusão do medicamento de forma quinzenal o que dificulta a manter a sua rotina de estudo e trabalho. A posologia a cada 8 semanas do Ravulizumabe facilitaria muito essa dinâmica do dia a dia, sem contar que não há necessidade de cateter central para a infusão do medicamento., Positivo e facilidades: Segurança e praticidade o que permite o paciente a manter a sua rotina para além da doença., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - O ravulizumabe é um anticorpo monoclonal humanizado anti-C5 de longa duração, desenvolvido a partir do eculizumabe. Seu principal diferencial é a administração a cada 8 semanas (após dose de ataque), em comparação ao esquema quinzenal do eculizumabe, mantendo bloqueio sustentado do complemento terminal O ravulizumabe liga-se ao componente C5 do complemento, impedindo sua clivagem em C5a e C5b e bloqueando a formação do complexo de ataque à membrana (MAC), reduzindo a hemólise intravascular característica da HPN. Estudo CHAMPION-301 População: pacientes adultos com HPN sem tratamento prévio com inibidores de C5 (n=246). Desenho: estudo multicêntrico, randomizado, aberto, comparando ravulizumabe versus eculizumabe durante 26 semanas. O ravulizumabe demonstrou não inferioridade para todos os desfechos primários e secundários, com tendência favorável para menor hemólise de escape. Estudo CHAMPION-302, População: pacientes com HPN clinicamente estáveis em uso de eculizumabe por pelo menos 6 meses (n=195). Objetivo: avaliar a troca de eculizumabe para ravulizumabe. O estudo demonstrou que a troca para ravulizumabe manteve controle da doença com eficácia pelo menos equivalente ao eculizumabe, associada a menor frequência de hemólise de escape., As principais vantagens do	5ª - Como o ravulizumabe tem maior meia vida e pode ser infundido a cada 8 semanas isto acarreta numa menor frequência de infusões (6–7 infusões ravulizumabe/ano versus 26 infusões/ano do eculizumabe).

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:
				ravulizumabe para pacientes com HPN são:, Mesma eficácia clínica do eculizumabe., Menor frequência de infusões (6–7 infusões/ano versus 26 infusões/ano)., Menor risco de hemólise de escape farmacocinética., Maior conveniência e potencial melhora da qualidade de vida., Facilidade para manutenção do tratamento em longo prazo., , O conjunto das evidências dos estudos CHAMPION-301 e CHAMPION-302 estabelece o ravulizumabe como uma terapia de primeira linha para HPN, com eficácia não inferior ao eculizumabe, bloqueio mais sustentado do complemento e expressiva redução da carga terapêutica devido ao intervalo de administração de 8 semanas.	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas não tem condições	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deveria fazer parte do Sus pela sua necessidade no bem estar de quem precisa	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que sim, o SUS deve apoiar sim	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iria ajudar muitas pessoas q não tem a condição ou a disponibilidade de conseguir essas tecnologias	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 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de grande importância proporcionar mais qualidade de vida para esses pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado pra ajudar as pessoas que não tem condições de comprar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quanto mais medicamentos distribuído pela população melhor...	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobínia paroxística noturna é uma doença grave potencialmente fatal que só consegue ser adequadamente controlada com o inibidor de complemento. O uso do ecuzimab melhorou a qualidade de vida dos pacientes com tal patologia. No entanto a frequência de crises de hiperhemólise e hemólise de escape ainda é muito frequente., O uso do ravulizumab tem melhorado de forma significativa a quantidade de vida dos portadores de Hemoglobínia paroxística noturna., A melhora da qualidade de vida com o uso do ravulizumab se deve a melhor controle da hemólise. Quanto mais controle de hemólise menor a morbidade e mortalidade da doença.	2ª - Sim, Qual: Ecuzimabe, Ravulizumabe, Iptacopana, Positivo e facilidades: Melhor controle de doença por menor risco de hemólise e hiperhemólise., Quanto maior a hemólise, maior o risco de mortalidade e maior a morbidade da doença., O ravulizumabe é administrado a cada 60 dias, melhorando a aderência ao tratamento e possibilitando as atividades laborativas e sociais do paciente., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Ecuzimabe, Positivo: O ecuzimabe melhorou a qualidade de vida e diminuiu a mortalidade dos pacientes com hemoglobínia paroxística noturna., Negativo: O ecuzimabe não controla tão bem a doença, com o uso da mesma temos alto índice de hemólise.	4ª - O ravulizumabe diminui o número de hemólise de escape e de hiperhemólise., , Characterization of breakthrough hemolysis events observed in the phase 3 randomized studies of ravulizumab versus ecuzimab in adults with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, Robert A Brodsky et al. Haematologica. 2021.	5ª - O custo anual com ecuzimabe é maior do que com ravulizumabe., , Cost-Utility Analysis of Ravulizumab Compared with Ecuzimab in Adult Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria, Thomas O'Connell et al. Pharmacoeconomics. 2020 Sep.
Pessoa com a condição de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todo tratamento que auxilie no controle ou cura de uma doença contribui nos indicadores longitudinais de saúde, atuando de forma preventiva e reduzindo custos em atenção terciária, emergências e urgências, além de contribuir para a melhora da vida do paciente, que junto com a doença, convive com comodidades e doenças associadas.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Vacina quadrivalente com recurso próprio, que não tem no SUS e o plano de saúde não cobre o tratamento., Positivo: Prevenção de uma segunda rodada de doença e aumento da imunidade relacionada ao vírus., Negativo: A vacina não atua no vírus específico que eu tenho.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero que os benefícios da medicação são muito favoráveis no contexto de saúde pública.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes de HPN precisam de segunda linha de tratamento e por isso o SUS precisa incorporar essa segunda linha, para tratar uma doença rara e que causa fadiga constante mesmo com o uso de ecuzimabe	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 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Primeiramente quero parabenizar o MS pela ampla revisão de todos os aspectos da doença HPN, mostrando que a morbi-mortalidade sem tratamento é extremamente alta. Na primeira linha, quando diagnóstico de HPN a indicação de tratamento depende da presença de alta atividade de doença que é mostrada pelo aumento do LDH e anemia hemolítica intensa, com risco altíssimo de trombose e risco de vida, com diminuição da mortalidade., Assim, a indicação do Eculizumab no meu entender é uma terapia eficaz. , Entretanto, a troca para um inibidor com melhor comodidade posológica como Ravilizumab (a cada 8 semanas e não a cada 2 semanas) teríamos uma melhora na qualidade de vida dos pacientes pela diminuição de idas aos hospitais, viagens longas e menos infusões, menos transfusões pois seu uso também está associado à diminuição da hemólise de escape que ocorre quando os pacientes tem alguma infecção que estimula o complemento. , Nesses casos o uso de Ravilizumab com ação contínua diminuiria a hemólise e morbimortalidade, sem aumentar custo em relação ao Eculizumab.	2ª - Sim, Qual: Trato pacientes com HPN desde 2015 no HC-UFPR e temos experiência com mais de 20 pacientes em uso de Eculizumab, uma paciente com convênio médico em uso de ravilizumab, um paciente que foi incluído em pesquisa clínica de crovalimab e uma paciente com pegcetacoplan judicializado por hemólise extra-vascular. , Positivo e facilidades: Para o Ravilizumab em relação ao Eculizumab teríamos infusões a cada 8 semanas, quando hoje é cada 15 dias, diminuindo e muito a pressão nos centros de infusão (menos enfermagem, menor uso de sala) e melhorando consideravelmente a qualidade de vida dos pacientes, Já nos casos de hemólise extra-vascular e anemia que precisam de segunda linha de tratamento, a sugestão é Pegcetacopana ou Ipitacopana. Tenho experiência com a pegcetacopana, de infusão subcutânea que trouxe uma resposta fenomenal na paciente que tratei, com aumento da hemoglobina de 7 para 13 em menos de uma semana de uso, melhora da qualidade de vida e da fadiga. Certamente o ipitacopan via oral também teria a mesma resposta nos pacientes que precisam de inibição mais alta do complemento, com comodidade posológica. , Nesses casos, que são cerca de 10 a 15% dos pacientes que usam inibidor de C5 (ou seja, muito poucos pacientes na prática dos 500 pacientes atendidos no Brasil menos que 30 provavelmente precisariam de inibidor proximal ipitacopan ou pegcetacoplan)., Porém, ao precisarem por hemólise extra-vascular teriam uma qualidade de vida extremamente impactada com melhora da hemoglobina e melhora da qualidade de vida (dado muito difícil de ser medido em estudos clínicos, mas que como médicos vemos o impacto muito claramente). , Negativo e dificuldades: Considerando comodidade posológica não vejo nenhuma desvantagem do ravilizumab em relação ao eculizumabe, pelo contrário. , Em relação a custo não consigo considerar que o uso de eculizumab genérico com menor custo possa ser melhor que uso de ravilizumab a cada 8 semanas, ou seja, com menor carga de infusões, melhora da hemólise de escape e evidente melhora na qualidade de vida dos pacientes. , , Quanto ao uso de inibidores proximais (pegcetacopana ou ipitacopan) a possível desvantagem do pegcetacoplan por ser subcutâneo é pouco explorada do ponto de vista do paciente, já que a paciente que tratamos em Curitiba se sente confortável com essa infusão. , Não tivemos neste caso nenhum episódio de hemólise de escape que seria de fato preocupante, mas que certamente seria tratada com uma dose extra da própria medicação pegcetacopana. , Ou seja, nos poucos e raros casos em que a inibição terminal do complemento (eculizumab ou ravilizumab) não forem suficientes, o uso de pegcetacoplan me parece bem viável.	3ª - Sim, Qual: Pacientes antigos realizavam transplante de medula “óssea, o que é curativo, porém tem um alto risco de mortalidade relacionada ao procedimento., Positivo: TMO pode ser usado porém em casos selecionados., Negativo: Risco de vida relacionado ao procedimento (infecção, mortalidade)	4ª - Quero reiterar que a disponibilização do ravulizumabe traria benefícios adicionais, pois além da administração a cada oito semanas, em comparação às infusões quinzenais do eculizumabe, com ganho em qualidade de vida pela redução dos deslocamentos e internações para infusão, o bloqueio mais sustentado do complemento pode reduzir episódios de hemólise de escape durante infecções, contribuindo para melhor controle da doença e menor morbidade., Temos ao menos 3 pacientes que se beneficiariam desta troca (de eculizumab para ravilizumab) simplesmente para diminuir a hemólise intra-vascular farmacodinâmica/farmacocinética e hemólise de escape.	5ª - Custo relativo a qualidade de vida é muito difícil de medir. , O custo do medicamento eculizumab genérico pode sim ser incorporado ao SUS se mantivermos a sua indicação em primeira linha, com troca para Ravilizumab apenas nos casos que tem hemólise de escape, anemia residual com uso de Eculizumab, a qual poderia ser bem definida no PCDT, diferenciando da hemólise extra-vascular que precisa sem dúvidas de inibidor do complemento proximal. Casos de pacientes que precisam deslocar mais de , Já na segunda linha de tratamento o estudo econômico deve incorporar a ideia de que menos de 10% dos pacientes diagnoscados com HPN e em uso de primeira linha realmente necessitariam de pegcetacoplan ou ipitacopan. , Se todos os medicamentos pudessem ser incorporados, com indicações precisas para segunda linha com comprovação de hemólise extra-vascular, certamente o custo global não seria tão grande.

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 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho um amigo muito próximo com a condição e vejo sua luta diária pela vida e o mínimo de bem estar, mais medicações incorporada ao SUS para esses pacientes pode significar a diferença entre viver e não viver. Foi angustiante ver a dificuldade do meu amigo em iniciar o tratamento correto por falta da medicação já disponível no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É uma doença muito rara, que com o tratamento disponível no SUS atualmente tem grande gnaho de sobrevida global, porém cerca de 20% dos paciente tem uma resposta ruim ao tratamento, mantendo anemia, fadiga importante, necessidade transfusional e uma qualidade de vida muito ruim., O tratamento vigente já é de alto custo e a incorporação de novas tecnologias terá um impacto pequeno no custo global considerando poucos pacientes, porém para aqueles pacientes beneficiados é um divisor de águas permitindo que eles voltem a ter qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Principalmente a posologia onde a aplicação é a cada 2 meses contra a cada 15 dias do eculizumabe (medicação atual no SUS), Muitos pacientes vivem em áreas remotas e longe do acesso aos centros que realizam a infusão da droga, sendo muitas vezes necessários vários dias entre deslocamento para ir e voltar, fora o custo. , Mesmo para quem vive próximo de um centro que realiza a infusão, o deslocamento e a abstenção de suas atividades por pelo menos meio período duas vezes no mês é um impacto relevante contra realizar apenas a cada dois meses., Ademais a droga se mostrou não inferior nos estudos clínicos com tendência a superioridade em todos aspectos estudados., Negativo e dificuldades: Não é possível adminstrar em gestantes, sendo necessária a troca para eculizumabe durante uma gestação	3ª - Não	4ª - Os estudos foram de fase 3 de não inferioridade contra o eculizumabe. Demonstrou não inferioridade em todos os aspectos estudados e com tendência a ser superior em todos os aspectos como evitar transfusões, normalização de LDH, melhora no escore de Fadiga e hemólise de escape., Ademais mantém os níveis de C5 estavelmente baixos durante seu uso e também não sofre interferência de fatores como infecções, vacinação etc como ocorre com o uso do eculizumabe., Referências: , 1 - Ravulizumab (ALXN1210) vs Eculizumab in Adult Patients With PNH Naive to Complement Inhibitors: The 301 Study., Blood. 2019. Lee JW, Sicre de Fontbrune F, Wong Lee Lee L, et al.RCT, 2 - Ravulizumab (ALXN1210) vs Eculizumab in C5-Inhibitor-Experienced Adult Patients With PNH: The 302 Study., Blood. 2019. Kulasekararaj AG, Hill A, Rottinghaus ST, et al	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 com a condição de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portador de hpn, atualmente fazendo tratamento com eculizumabe pelo SUS., Mas o medicamento não tem o efeito esperado de combate a doença., Por consequência tenho vários sintomas da doença como fadiga, sonolência, emolise, dor abdominal, anemia entre outros ., Esse tratamento não sendo eficiente eu preciso fazer transfusão de sangue a cada dois/três meses o que me trás mais riscos a saúde como por exemplo o ferro que está muito auto no meu corpo .,	2ª - Sim, Qual: Faço uso do eculizumabe mas preciso trocar pelo iptacobana , Positivo e facilidades: Melhora no controle da doença, menos sintomas e nesciedade de transfusão , Negativo e dificuldades: Não tem	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes portadores de HPN tem o direito de receber tratamento mesicamentoso para evitar problemas maiores de hemoglobínúria paroxística noturna, assim garantindo 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:
Gestores do SUS 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), doença hematológica rara, adquirida e potencialmente grave, caracterizada por hemólise crônica mediada pelo sistema complemento, podendo resultar em anemia persistente, necessidade transfusional, eventos tromboembólicos e comprometimento significativo da qualidade de vida., Apesar dos avanços proporcionados pelos inibidores de C5 incorporados ao Sistema Único de Saúde (SUS), observa-se que parcela dos pacientes permanece apresentando hemólise residual clinicamente relevante, com persistência de anemia, fadiga e dependência transfusional, evidenciando uma necessidade terapêutica ainda não plenamente atendida., Nesse contexto, a iptacopana apresenta mecanismo de ação distinto, atuando na via alternativa do complemento, com potencial para ampliar o controle da atividade da doença em pacientes que não obtêm resposta adequada com as terapias atualmente disponibilizadas., Sob a perspectiva da Avaliação de Tecnologias em Saúde, destaca-se que a ampliação das opções terapêuticas para doenças raras deve considerar não apenas os desfechos clínicos, mas também aspectos relacionados à organização do cuidado, eficiência assistencial e impacto sobre a utilização da rede de serviços de saúde., Considerando a existência de pacientes com HPN que permanecem apresentando anemia hemolítica residual apesar do tratamento com inibidores de C5, bem como os potenciais benefícios clínicos e assistenciais associados à iptacopana, entende-se que a tecnologia representa uma alternativa terapêutica relevante para um grupo específico de pacientes com necessidade não plenamente contemplada pelas opções atualmente disponíveis., Este Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde da Secretaria de Estado da Saúde de Goiás entende que a incorporação da iptacopana merece consideração favorável, especialmente em razão de seu potencial para ampliar o controle da doença, promover maior autonomia aos pacientes e contribuir para a qualificação da atenção.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: A administração oral da iptacopana constitui um diferencial relevante, permitindo tratamento em ambiente domiciliar e reduzindo a dependência de estruturas especializadas para administração medicamentosa. Tal característica possui especial relevância para estados com grande extensão territorial, como Goiás, onde pacientes frequentemente necessitam realizar deslocamentos intermunicipais para acompanhamento em centros de referência., , A utilização de terapias de administração domiciliar pode contribuir para: , * Ampliação do acesso ao tratamento especializado, , * Redução das barreiras geográficas enfrentadas pelos pacientes, , * Fortalecimento da adesão terapêutica, , * Redução da demanda por estruturas assistenciais destinadas à administração de medicamentos, , * Otimização da capacidade operacional dos serviços especializados., , Adicionalmente, a redução da necessidade de procedimentos relacionados à administração hospitalar pode representar impacto favorável sobre a utilização dos recursos assistenciais, especialmente em cenários de crescente demanda por serviços especializados de alta complexidade., , Do ponto de vista da política pública, a disponibilização de alternativas terapêuticas para pacientes com necessidade clínica não atendida está alinhada aos princípios da integralidade do cuidado, da equidade no acesso e da incorporação racional de tecnologias capazes de agregar valor assistencial ao SUS., Negativo e dificuldades: Não aplica	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A inclusão no SUS facilitaria muito a vida dos pacientes que fazem uso desses medicamentos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Sou mãe de um paciente que faz uso ECULIZUMABE/SOLIRIS., Positivo: O paciente consegue levar uma vida bem perto do normal. Antes do uso do medicamento, ele não tinha condições de estudar ou trabalhar devido à fraqueza que a doença provoca., Negativo: Nenhum aspecto negativo	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incluído no SUS para que mais pessoas tenham acesso ao tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, iptacopana deve ser incorporado como segunda linha para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna pelas seguintes justificativas:, - uso oral, - melhora da anemia crônica que estes pacientes apresentam, - melhora da fadiga	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa resposta clínica e laboratorial, Negativo: Uso endovenoso a cada 14 dias.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Incluir tratamentos além do eculizumabe no SUS dará mais opções aos pacientes cuja doença progrediu ou apresenta sintomas além do que o eculizumabe (que é o tratamento de primeira linha) consegue tratar, além de modernizar o sistema com novas tecnologias e opções de tratamento aos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os custos com o medicamento e com a logística de infusão, bem como todos os insumos, precisam ser avaliados de forma bem pormenorizada. O Ravulizumabe, por exemplo, possui meia vida mais longa que o eculizumabe proporcionando maiores intervalos de infusões com maior qualidade de vida ao paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe. , Positivo: Controle de hemólise na maioria dos casos. , Negativo: Infusões quinzenais, centralização dos polos de infusão com distâncias enormes do sul de Minas. Os pacientes precisam viajar longas distâncias chegando até a 350km.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamentos importantes para o tratamento de pacientes com HPN	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Iptacopana, Positivo e facilidades: Boa eficácia, facilidade de administração, melhora na qualidade de vida dos pacientes com HPN, Negativo e dificuldades: '-	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 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Ravulizumabe é uma droga melhor no mecanismo de ação que o ecolizumabe causando menos hemólise extra vascular além da meia vida mais longa que permite administração a cada 58 dias. Todos esses pontos tem importante impacto clínico e na qualidade de vida dos pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Ecilizumabe droga disponível no Sus, um ganho fantástico pra os pacientes de HPN mas com o problema da hemólise extra e do uso a cada 15 dias , Positivo: Menos hemólise extra vascular e maior meia vida , Negativo: Acesso mais difícil	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , Seguem razões para aprovação:, , Benefícios do remédio via oral:, , - redução dos gastos com hospitais e clínicas e materiais de infusão, , - ?maior praticidade, agilidade e facilidade no tratamento, pois evita deslocamentos até unidades de saúde, - ?maior eficacia 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, ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Exulizumabe: a infusão é feita quinzenalmente e precisa ser infundida em hospital. , Positivo: O aspecto positivo é que controla minha síndrome, mas o negativo é que precisa ser infundido quinzenalmente e dentro de hospital, o que toma tempo e gastos. , Negativo: Precisa ser infundido em hospital e o tratamento é quinzenal.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Incluir tratamentos além do ecilizumabe no SUS dará mais opções aos pacientes cuja doença progrediu ou apresenta sintomas além do que o ecilizumabe (que é o tratamento de primeira linha) consegue tratar, além de modernizar o sistema com novas tecnologias e opções de tratamento aos pacientes.	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 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os novos medicamentos, principalmente o ravulizumabe trarão maior qualidade de vida para os pacientes como por exemplo a menor necessidade de idas ao hospital para infusão da medicação que passaria a ser a cada 8 semanas ao invés de quinzenalmente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes em uso de Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana tem tido uma resposta efetiva para o tratamento da hemoglobínúria paroxística noturna.	2ª - Sim, Qual: hemoglobínúria paroxística noturna, Positivo e facilidades: Sim, mas somente para pacientes que conseguiram despacho judicial garantindo a cobertura por plano de saúde. Pacientes apresentaram melhora em seu quadro clínico, apresentando estabilidade do quadro de anemia., Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso ao medicamento em pacientes hipossuficientes monetariamente e culturalmente.	3ª - Sim, Qual: Transplante de Medula Óssea, Positivo: Alguns pacientes apresentaram remissão da doença. , Negativo: Dificuldade de acesso pelo SUS a pacientes de baixa renda, e dificuldade de autorização pelos planos de saúde na rede privada.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que ao incorporar essa medicação para tratamento de uma condição que causa sofrimento as pessoas, seja de grande valia para quem precisa dessa medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Hpv causa sofrimento e grande risco à saúde, as pessoas portadoras merecem um Tratamento adequado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de interesse da população que a abrangência de estudos e atendimentos intrínsecos ao SUS se mantenham em contínua expansão.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A cada 15 dias vou ao centro de infusão tomar eculisomabe, a dor, a distância, is custos e a ausência do trabalho me prejudicam, desenhar minha vida, passeios ou ausências devido a aplicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O acesso à saúde é um direito básico e todos devem ter esse mesmo direito. Nem todo mundo com a condição tem capacidade de arcar com o alto custo do tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É preciso trazer e incorporar ao SUS essas tecnologias. Pessoas com a condição precisam de cuidado, acolhimento e tratamento para ter 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:
Interessado no tema 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A favor de tratamento que melhore as condições clínicas dos portadores da doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por ser uma doença rara, mais opções de tratamento devem ser oferecidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 20/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como parente de quem convive com a doença, entendo da importância da disponibilização de novos tratamentos, especialmente aqueles que permitem um aumento na qualidade de vida, evitando a fadiga excessiva.	2ª - Sim, Qual: iptacopana, Positivo e facilidades: Ter de volta uma rotina de vida normal livre do cansaço e da fadiga extrema , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: A possibilidade de sobrevida, Negativo: Pouco impacto na 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 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento com iC5 não é suficiente para os pacientes, deixando necessidades não atendidas: 82% permanecem anêmicos, 39% precisam de transfusão de sangue e 89% relatam fadiga. Ainda, o tratamento infusional traz diversos impactos econômicos e de qualidade de vida: ocupação de leitos, longos e frequentes deslocamentos para realizar o tratamento (média de 87,5 Km a nível nacional), impactando a produtividade no trabalho dos pacientes. Muitos pacientes relatam já terem sido demitidos por conta das ausências vinculadas ao tratamento. Por isso, é extremamente importante que iptacopana seja incorporada por apresentar um mecanismo de ação diferente (inibidor do fator B) e ser um medicamento oral, trazendo maior qualidade de vida e comodidade posológica.	2ª - Sim, Qual: Sim, com iptacopana. , Positivo e facilidades: Por ser um inibidor proximal do complemento, iptacopana consegue controlar tanto a hemólise intra como a extra vascular, proporcionando maior segurança ao paciente. Ainda, nos estudos clínicos, não houve descontinuação por eventos adversos, nenhuma infecção grave, nenhum óbito e nenhum evento grave de hemólise de escape. A taxa de hemólise de escape com iptacopana foi 10 vezes menor do que com iC5. Com isso, observa-se que iptacopana é um fármaco mais seguro. Ainda, já acompanhei pacientes que tiveram hemólise de escape com ravulizumabe e eculizumabe antes da próxima dose das medicações, ou seja, o esquema posológico não foi adequado o suficiente para manter os pacientes em segurança, o que não acontece com iptacopana. Iptacopana é uma medicação oral e não refrigerada, trazendo maior praticidade e qualidade de vida ao paciente, que não precisa mais se deslocar e ocupar leitos de hospital para receber o tratamento. Ainda, por ser oral, se diferencia de todas as outras medicações em avaliação por ser a única que não traz nenhum tipo de desconforto ou complicações associadas a aplicações ou infusões. Os pacientes em uso de iptacopana contam o quanto essa medicação oral mudou suas vidas, trazendo maior qualidade, menos eventos adversos, menos complicações e a possibilidade de realizar o tratamento a qualquer momento, em qualquer lugar. , Negativo e dificuldades: Ravulizumabe e crovalimabe são inibidores terminais do complemento e, por isso, não conseguem impedir a hemólise extra vascular., Pegcetacopana, apesar de ser um inibidor proximal, apresentou diversos casos graves de hemólise de escape em seu estudo. Ainda,, Ravulizumane, pegcetacopana e crovalimabe não são orais, trazendo maiores impactos para o sistema de saúde e para o paciente.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Eculizumabe controla os níveis de LDH, Negativo: Eculizumabe não impede a hemólise extra vascular. Pacientes permanecem anêmicos, com fadiga e necessidade de transfusão de sangue. Ainda, é infusional, com administração a cada 15 dias, o que é péssimo para os pacientes, que precisam se deslocar, se ausentar do trabalho e ocupam leitos de hospitais para realizar o tratamento a cada duas semana. Por isso, é extratamento necessário que iptacopana seja incorporada como segunda linha de tratamento para acabar com todos estes impactos negativos de eculizumabe, que já está disponível.	4ª - Vide questões 12, 15 e 16. Referências: estudos APPLY, APPOINT e APPULSE de iptacopana e bulas dos medicamentos.	5ª - Não
Interessado no tema 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Precisamos dessa tecnologia	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Geralmente as pessoas com HPN vivem mendigando à Justiça para garantirem seus tratamentos junto aos planos de saúde. Por isso, a nova droga disponibilizada diretamente pelo SUS, traria mais tranquilidade e segurança a esses pacientes.	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 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhore da qualidade de vida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana deve ser incorporada.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana., Positivo e facilidades: A iptacopana atua de forma proximal na cascata do complemento, permitindo o controle tanto da hemólise intravascular quanto da extravascular. Os estudos clínicos de iptacopana demonstraram perfil de segurança favorável, sem registros de óbitos relacionados ao tratamento, infecções graves ou eventos graves de hemólise de escape. Outro ponto relevante é a menor ocorrência de hemólise de escape em comparação aos inibidores de C5 (cerca de 10 vezes menor). Por ser um medicamento oral e sem necessidade de refrigeração, reduz a dependência de hospitais e melhora significativamente a autonomia do paciente. Acompanho 15 pacientes em uso de iptacopana que relatam melhora da qualidade de vida, maior praticidade e menor impacto no trabalho, pois não precisam mais se ausentar para fazer o tratamento, o que acontecia quando usavam eculizumabe. Uma das pacientes foi inclusive demitida por conta disso, quando estava em uso de eculizumabe. Ainda, a iptacopana promove a tripla normalização da HPN: hemoglobina acima de 12g/dL, DHL < 1,5x LSN e FACIT-F > 43 (questionário de avaliação de fadiga com níveis iguais ao da população sem HPN)., Negativo e dificuldades: Ravulizumabe e crovalimabe atuam apenas na porção terminal da cascata do complemento, não controlando a hemólise extravascular. Já a pegcetacopana, embora seja um inibidor proximal, apresentou episódios graves de hemólise de escape em estudos clínicos. Além disso, todas essas alternativas dependem de administração injetável ou infusional, o que gera desconforto ao paciente e demanda recursos adicionais do sistema de saúde.,	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: O eculizumabe contribui para o controle da hemólise intravascular e promove redução dos níveis de LDH, tendo representado um importante avanço no tratamento da HPN no passado, mas não é mais suficiente hoje e deixa os pacientes com necessidades não atendidas., Negativo: O eculizumabe não controla a hemólise extravascular. A terapia baseada apenas em inibidores de C5 ainda não consegue atender plenamente as necessidades dos pacientes com HPN. Uma parcela importante (82%) continua apresentando anemia, fadiga persistente (89%) e necessidade de transfusões sanguíneas (39%). Além disso, os tratamentos administrados por infusão exigem deslocamentos frequentes até centros especializados (média de deslocamento a nível nacional: 87,5 Km a cada infusão), gerando impacto na rotina, no trabalho e na qualidade de vida. A iptacopana representa um avanço por atuar por meio da inibição do fator B e por ser administrada por via oral, oferecendo maior comodidade e melhora nos resultados clínicos dos pacientes.	4ª - Os estudos APPLY, APPOINT e APPULSE demonstraram benefícios consistentes da iptacopana em parâmetros hematológicos, controle da hemólise e qualidade de vida. Os resultados indicam melhora clínica relevante e sustentada, além de perfil de segurança favorável, como comentado nas questões anteriores.	5ª - Não
Interessado no tema 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhorar a vida de quem tem esta doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda nova tecnologia é uma oportunidade de melhora para quem convive com a doença.	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 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se temos tratamento para darmos qualidade de vida ao paciente e cura, porque negar, porque ter que entrar com processos judiciais, pois quem entende da necessidade do paciente é o seu médico profissional da saúde e não um juiz que entende de leis.	2ª - Sim, Qual: Há muitos anos com medicação para endometriose participei de um estudo clínico. E tenho um conhecido sendo tratado fora do país Leucemia Linfóide crônica, pois aqui já foi dito que convênio e nem o SUS, vão subsidiar o tratamento dele, pois não tem comprovação e além do mais tem que passar por várias etapas até morrer, tratamento esse aprovado pelo FDA e com excelentes resultados. , Positivo e facilidades: Produto DIMETROSE na época laboratório Sarsa, o resultado foi poder ser mãe., Negativo e dificuldades: Nenhuma pois tive um excelente médico qye me encaminhou para o estudo, não precisei de ajuda do SUS ou convênio médico. Principal não precisei entrar com processo judicial	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que todas as pessoas têm direito aos tratamentos mais eficazes para suas doenças, independente de sua condição economica/financeira. O estado tem sim que dar os tratamentos para aqueles que o buscam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença ultrarrara, crônica, grave e progressiva, que resulta em complicações imprevisíveis e potencialmente fatais, como a trombose, que é a maior causa de mortalidade na HPN. Sem tratamento adequado, ou quando manejada apenas com cuidados de suporte, a HPN pode impactar consideravelmente a qualidade de vida do paciente. Além disso, a doença pode ter desfecho fatal, com taxas de mortalidade que podem chegar a 35%, em 5 anos., Faz-se necessário a disponibilidade de novas tecnologias para pacientes do SUS a fim de melhora de tratamento e desfechos., A adição de Ravilizumabe traria melhor posologia, comodidade e economia no tratamento dos pacientes., Já a adição de crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana permitiria que pacientes que não respondem à terapia que bloqueiam complemento terminal., Seria um grande ganho de qualidade de vida para os pacientes com redução da morbi-mortalidade associada à doença.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Melhor posologia e comodidade para tratamento dos pacientes que muitas vezes moram longe dos centros de tratamento., Negativo e dificuldades: Não há.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é de extrema importância para nós pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Solires., Positivo: Uma melhora significa de vida., Negativo: Mesmo tomando o solires eu hemoliso.	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 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento propiciará melhoria na qualidade de vida dos portadores da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 21/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, ""Tratamento: Pode incluir acompanhamento simples, medicamentos inibidores do sistema complemento (como eculizumabe ou ravulizumabe) para bloquear a destruição das células, ou, em casos específicos, o transplante de medula óssea.""	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Doenças menos populares deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda vida importa,deve ser incorporado urgente	2ª - Sim, Qual: Crovalimab , Positivo e facilidades: Mudança total na minha vida , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: No momento me ajudou muito , Negativo: Chegou um momento que já não está solucionando	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana melhora substancialmente a qualidade de vida dos pacientes com HPN, ajudando não apenas no seu tratamento, mas no seu dia a dia.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado ao Sus pois se trata de um direito constitucional a saúde, e a pessoa que possui HPN, na maioria dos casos não tera condições financeiras de pagar por um medicamento que custa de 1 a 2 milhões por ano, nem mesmo terá condições de se deslocar da Amazônia mato grossense ate grandes centros para tomar algum remédio de 15 em 15 dias, podendo vir a óbito por esse motivo logístico.	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:
Gestores do SUS 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que essa medicação deve ser incorporada ao SUS, pois pode proporcionar mais acesso ao tratamento para as pessoas que necessitam dela, especialmente aquelas que não têm condições financeiras de arcar com os custos. Sua disponibilização pela rede pública pode contribuir para a melhoria da qualidade de vida dos pacientes e para um atendimento mais justo e igualitário.”	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As medicações permitem uma melhora dos níveis de hemoglobina, reduzindo a anemia e a fadiga, bem como a qualidade de vida dos pacientes com HPN	2ª - Sim, Qual: Pegcetacoplane, , Positivo e facilidades: Controle da hemólise intra e extravascular, Melhora nos níveis de hemoglobina (HPN), Melhora da anemia e consequente redução da fadiga e demais sintomas da HPN, Administração domiciliar, evitando ambiente hospitalar , Importantes opções, principalmente o Ravulizumabe, para pacientes que não obtiveram resposta ideal com outros tratamentos, a exemplo do Eculizumabe , , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso, uma vez que não estão disponíveis no SUS. Necessidade de judicialização para ter acesso às medicações , Aplicação domiciliar duas vezes por semana	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe e , Positivo: Auxiliou na estabilização inicial da doença, mas não inibiu a hemólise., Negativo: Eculizumabe não bloqueou a proteína C3, permitindo a continuidade da hemólise intra e extravascular, e consequentemente anemia, fadiga e baixa 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 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O ACESSO A TERAPIA DE TRATAMENTO PARA HPN É DEMORADO E BUROCRÁTICO. DEVEM EXISTIR DOSES DE ESTOQUE ESTRATÉGICO NAS SECRETARIAS ESTADUAIS DE SAÚDE OU NOS CENTROS DE REFERÊNCIA PARA INICIO IMEDIATO E TROCA DE TERAPIA EM CASO DE GESTAÇÃO. DITO ISSO AINDA É NECESSÁRIO A INCORPORAÇÃO DAS TECNOLOGIAS JÁ APROVAS ANTERIORMENTE, COMO O RAVULIZUMABE ((PORTARIA SECTICS/MS Nº 10, DE 5 DE MARÇO DE 2024 Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o ravulizumabe para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.) , AINDA É NECESSÁRIO A INCORPORAÇÃO DA VACINAÇA MENINGO B PARA ESSES PACIENTES NO CRIE O QUE FUNDAMENTAL PARA SEGURANÇA DO PACIENTE, E HOJE SÓ COM RECEITA MÉDICA DE UM PRODUTO QUE É FOMENTADO PELA INDÚSTRIA. As infusões devem ocorrer nos centros mais próximo da residência do paciente. O treinamento dos locais pode ser feito pelos centros de referência. Hemonúcleos que realizam transfusões de hemocomponentes , tratamentos de reposição de fator para hemofílicos ou tratamento de reposição enzimática para Doença de Gaucher tem expertise para realizar também as infusões dos medicamentos para tratamento de HPN, pois tem médicos capazes de atender intercorrências infusionais.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE deve fazer parte das drogas com estoque estratégico nos centros de referências e nas farmácias de alto custo dos estados , para inicio imediato,, da mesma maneira que acontece hoje com a imunoglobulina. Assim o acesso seria imediato para os pacientes que apresentarem critérios de inclusão de acordo com a PORTARIA CONJUNTA Nº 18, DE 20 DE NOVEMBRO DE 2019. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. E a inclusão na programação do Ministério da Saúde seguiria o fluxo de aprovação normal , o que geralmente demora até 3 meses para o inicio de fato do tratamento pelo PCDT. Seria importante também para o inicio ou troca de terapia para pacientes Gestantes, que também não teriam tempo de aguardar 3 meses até a chegada do eculizumabe., Positivo: MELHORA DA HEMÓLISE, DA ANEMIA E DOS SINTOMAS GERAIS INCAPACITANTES ALÉM DA REDUÇÃO DE EVENTOS TROMBÓTICOS., Negativo: DEMORA NO ACESSO PARA O PRIMEIRO TRATAMENTO, EVENTUAIS DESABASTECIMENTOS, ALGUNS PACIENTE AINDA APRESENTAM BOA RESPOSTA OU RESPOSTA PARCIAL, COM NECESSIDADE TRANSFUSIONAL. AS INFUSÕES A CADA 14 DIAS TEM UM CUSTO SOCIAL GRANDE, POIS OS PACIENTES NÃO CONSEGUEM VÍNCULO EMPREGATÍCIO POIS O ABSENTEISMO É GRANDE (26 VEZES AO ANO)	4ª - Para os pacientes que estão em uso de eculizumabe de longa data com boa resposta ou e sem eventos de hemólise de escape (por C3) o ravulizumabe deve ser a opção de tratamento por ter maior potência (PORTARIA SECTICS/MS Nº 10, DE 5 DE MARÇO DE 2024 Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o ravulizumabe para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde., , Para os pacientes com diagnóstico de HPN subclínico que evoluem com critérios de HPN clínico e tem dificuldades de locomoção (distância) até um centro de infusão e tem algum acesso a médicos generalistas próximo da sua residência o uso de crovalizumabe subcutâneo mensal , com uso domiciliar é uma opção a ser considerada para controle dos sintomas de anemia e hemólise, Ann Med Surg (Lond). 2025 Jan 9, 87(1):27–29. doi: 10.1097/MS9.00000000000002848 FDA approval of crovalimab: a milestone in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria treatmentDiya Anwar a, Asim Ali Khan a, Hooriya Ahmed b, Syeda Rashmeen c, Solay Farhat d,*, Syeda Shahnoor e, Abdul Moiz Khan a Aqueles pacientes que apresentam anemia com necessidade transfusional, com hemólise extravasular ou ainda intravascular de escape por depósitos de C3 o Pegcetaloipan deve estar disponível com opção	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:
				terapêutica (J Manag Care Spec Pharm. 2020 Dez, 26(12-b Supl):10.18553/jmcp.2020.26.12-b.s14. doi: 10.18553/jmcp.2020.26.12-b.s14 Hemoglobinúria paroxística noturna: tratamentos atuais e necessidades não atendidas Meryem Bektas 1, *, Catherine Copley-Merriman 1, Shahnaz Khan 1, Sujata P Sarda 2, Jamile M Shammo 3, O ipatacopan deve ser utilizado em pacientes com BOM perfil de adesão UM VEZ PODE SER UTILIZADO TAMBÉM EM PRIMEIRA LINHA EM MONOTERAPIA COM ÓTIMAS RESPOSTAS.	
Pessoa com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento muito iptacopana, me ajuda a ter uma vida normal.	2ª - Sim, Qual: Sou participante da pesquisa do medicamento, iptacopana., Positivo e facilidades: Qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Até o momento nem uma.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "A incorporação de um inibidor de C5 em primeira linha, sendo crovalimabe ou ravalizumabe pode melhorar muito a qualidade de vida dos pacientes pois irá facilitar a administração do medicamento, com menor necessidade de comparecer aos centros de infusão o que também ""desafoga"" os centros de infusão., , Para segunda linha, a apresentação oral de iptacopan facilita a administração por parte do paciente, impactando também em qualidade de vida. Além de mostrar menos E.A. frente ao pegcetacoplan (além deste necessitar de utilizar a bomba de infusão). É importante termos uma opção de segunda linha para tratar pacientes que não estão com resposta favorável ao tratamento de primeira linha."	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Melhora expressiva de qualidade de vida (fadiga, independência transfusional) e melhora de exames laboratoriais ., Negativo: A Aplicação endovenosa 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 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto-me favoravelmente à incorporação de ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) no SUS., , A HPN é uma doença rara, grave e potencialmente fatal, associada a anemia hemolítica, trombose, necessidade transfusional recorrente e importante comprometimento da qualidade de vida. Apesar dos avanços obtidos com o bloqueio do complemento, ainda existem necessidades não atendidas, especialmente em pacientes com anemia persistente, hemólise residual e dependência de transfusões., , As novas terapias oferecem benefícios clínicos relevantes, incluindo melhor controle da hemólise, aumento dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade transfusional e maior comodidade para os pacientes, seja pela menor frequência de infusões, administração subcutânea ou tratamento oral., , A disponibilização dessas opções terapêuticas permitirá individualizar o tratamento conforme as características de cada paciente, ampliando a efetividade do cuidado e melhorando a qualidade de vida de pessoas que convivem com uma doença rara e de alto impacto clínico., , Por esses motivos, considero que a incorporação dessas tecnologias representa um avanço importante para a assistência aos pacientes com HPN no Sistema Único de Saúde.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - As evidências clínicas disponíveis demonstram que ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana são terapias eficazes para o tratamento da HPN, com benefícios relevantes no controle da hemólise, redução de transfusões e melhora de parâmetros hematológicos., , O ravulizumabe, inibidor de C5 de ação prolongada, demonstrou não inferioridade em relação ao eculizumabe em estudos fase 3, mantendo controle da hemólise intravascular, prevenção de hemólise breakthrough e independência transfusional, com menor frequência de infusão., , O crovalimabe, também inibidor de C5, apresentou eficácia comparável ao eculizumabe nos estudos fase 3 COMMODORE, com manutenção do controle da doença e perfil de segurança semelhante, oferecendo a vantagem da administração subcutânea mensal., , A pegcetacopana, inibidor de C3, demonstrou superioridade em relação ao eculizumabe em pacientes com resposta subótima a inibidores de C5, especialmente na melhora da hemoglobina e redução da necessidade transfusional, por atuar também sobre a hemólise extravascular., , A iptacopana, inibidor oral do fator B da via alternativa do complemento, mostrou benefício clínico em estudos fase 3, com melhora significativa da hemoglobina e alta taxa de independência transfusional em pacientes previamente tratados ou não com inibidores do	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:
				complemento., , Assim, as evidências sustentam que essas terapias ampliam as opções de tratamento da HPN, permitindo individualização terapêutica conforme perfil clínico, resposta prévia, presença de anemia residual, necessidade transfusional e barreiras logísticas ao tratamento intravenoso frequente.,	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se existe um produto ou procedimento para auxiliar uma pessoa melhora da saúde, deve ser oferecido pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Alguns pacientes possuem hemólise de escapa com eculizumabe, , Além disso, a pegcetacoplana possui comodidade posológica.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Medicamento muito bom e efetivo, Positivo: Eficácia no controle dos sintomas e da hemólise, Negativo: Alguns pacientes permanecia com hemólise	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Creio que tais tecnologias devem sempre ser priorizadas de forma a garantir qualidade de vida para todos, atendendo o princípio da universalidade. A vida deve ser sempre priorizada, não apenas no sentido de existência no mundo material/físico, ela vai muito além disso. Ela deve ser cultivada e desfrutada ao máximo e isso passa pelo campo da saúde e, mais especificamente, pela incorporação de medicamentos, produtos e procedimentos que asseguram a dignidade do indivíduo aqui na Terra.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda e qualquer enfermidade deve ser incorporada ao SUS.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser direito dos cidadãos que possuem a doença acesso a tratamento,principalmente por ser um medicamento de difícil acesso.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A importância de colocar medicamentos modernos no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que o tratamento deve ser incorporado ao SUS para proporcionar uma melhor qualidade de vida aos portadores de hemoglobinúria paroxística noturna.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito como crucial para agilizar e promover a expansão na capacidade de atendimento do corpo de saúde pública do país	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 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médica Hematologista do SUS, no Hemocentro de Goiás há mais de 15 anos, venho participar desta consulta pública defendendo a incorporação do medicamento RAVALIZUMABE. Trata-se de um medicamento da classe dos inibidores de C5, já com experiência de vida real de eficácia. Em comparação ao Eculizumabe, já incorporado no PCDT, apresenta superioridade farmacodinâmica, com melhora na qualidade de vida dos pacientes por espaçar as infusões. Maior estabilidade farmacocinética com menores taxas de hemólise de escape, e portanto melhor controle da doença na prática clínica e menores taxas de trombose, maior causa de mortalidade associada á doença.	2ª - Sim, Qual: No momento tenho 3 pacientes em uso do PCDT de Eculizumabe no âmbito do SUS e mais pacientes na prática privada. , Positivo e facilidades: Em uso de Eculizumabe os pacientes apresentaram melhoras clínicas, redução de hemotransfusões e menores taxas de hemólise significativas, porém nem todos apresentaram controle completo da doença. , Negativo e dificuldades: Trata-se de uma medicação de uso contínuo, endovenosa a cada 15 dias, e tal posologia dificulta em muito a vida de pacientes que residem longe do centro tratador. Goiás é um estado essencialmente rural, e alguns pacientes moram há vários quilômetros (alguns até 600Km) do hemocentro e precisam fazer esta viagem no mínimo a cada 30 dias (a medicação é dispensada mensalmente). A posologia curta faz com que pequenos atrasos levem com frequência a descompePonsações da doença.	3ª - Sim, Qual: Possuo pacientes em uso de Ravalizumabe, que fizeram a troca após falha no tratamento com Eculizumabe com hemólise de escape e dependência transfusional., Positivo: Com Ravalizumabe os pacientes rapidamente atingiram independência transfusional, controle quase completo da hemólise e significativa melhora na qualidade de vida pela melhora nos sintomas de fadiga e anemia e pela posologia a cada dois meses de infusão., Negativo: Não houve até o momento pontos negativos na terapia com Ravalizumabe quando comparada ao Eculizumabe, trata-se de uma evolução na molécula.	4ª - Lee JW et al. Blood. 2019., Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in adult patients with PNH naive to complement inhibitors. PMID: 30510080., Estudo com 246 pacientes virgens de tratamento comparando eculizumabe x Ravalizumabe (estudo de não inferioridade), mostrou inibição mais sustentada do C5 com Ravalizumabe e com isto, melhora nos sintomas de fadiga, qualidade de vida, menor número de transfusões, melhor controle do DHL., , Kulasekararaj AG et al. Blood. 2019., Ravulizumab vs eculizumab in C5-inhibitor-experienced adult patients with PNH: the 302 study., Estudo com 195 pacientes já tratados com Eculizumabe que trocaram para Ravalizumabe, e não houveram casos de hemólise de escape! Melhora na qualidade de vida, transfusões e controle geral da doença,	5ª - . O'Hagan et al., 2021, , O'Hagan J, Tracewell W, et al., Cost-minimization analysis of ravulizumab versus eculizumab for the treatment of adult patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria in the United States., Houve redução de custos do Ravalizumabe em relação ao eculizumabe a longo prazo., Coyle et al., 2022, , Coyle D, et al., Cost-effectiveness of ravulizumab compared with eculizumab for paroxysmal nocturnal hemoglobinuria., , Considerando eficácia clínica equivalente demonstrada nos estudos CHAMPION 301 e 302, o ravulizumab mostrou perfil econômico favorável devido à redução de custos indiretos e de administração.
Pessoa com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com longas viagens , eu mesmo viajo 400 km de 15 em 15 dias , aqui tem quem viaje mais de 800 km de 15 em 15 dias, todas viagens de ônibus., Diminuindo a qualidade de vida , aumentando o risco de trombose ou exposição a outro tipo de doença quando viaja em ônibus com pacientes para outros tratamentos, dificuldade de ter um trabalho ou estudar pois geralmente cai alguma coisa importante da faculdade no dia que tem que viajar para infusão , e se perde dois dias um dia pra ir e um dia para voltar .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab , Positivo: Melhora da hemólise , Negativo: Quinzenal a infusão e o deslocamento pro polo de atendimentos fica cansativo .	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha vida depende dessa medicações. Melhor qualidade de vida. Tanto física como mental e financeira	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Melhor qualidade de vida, , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Não foi possível na época devido outra patologia , Positivo: Mas conhecimentos e aprendizado como lidar com a patologia , Negativo: Nenhum	4ª - Preciso de mais informações	5ª - Se for pra melhorar a qualidade de vida

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 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Múltiplas evidências mostrando superioridade e comodidade posológica com impacto em qualidade de vida dos pacientes e redução de mortalidade dessas tecnologias	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe e iptacopana, Positivo e facilidades: Múltiplas evidências mostrando superioridade e comodidade posológica com impacto em qualidade de vida dos pacientes e redução de mortalidade dessas tecnologias , Negativo e dificuldades: Nenhuma até o momento	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boa resposta terapêutica, Negativo: Posologia ruim e aumento de hemólise de escape	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Terapia fantástica , Deveria ser adotada pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os portadores dessa doença rara podem não conseguir fazer o tratamento necessário devido aos custos. O SUS precisa assumir esse tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana representa uma ótima alternativa para o tratamento na HPN., Normalização sustentada da hemoglobina e DHL., Tratamento oral sem efeitos colaterais., ,	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Normalização da hemoglobina, bilirrubinas e DHL., Melhora da qualidade de vida, já que o tratamento é via oral., Não há dependência de centros infusionais e punções venosas recorrentes., Resposta sustentada., , Negativo e dificuldades: Não percebi aspectos negativos., Apenas o fato de não estar disponível para todos os pacientes.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Resposta na função renal e hemoglobina nos limites da normalidade., Negativo: Medicação endovenosa, paciente dependente de centros infusionais. , , Episódios de escapes de hemólise, com aumento da desidrogenase láctica e queda da hemoglobina.,	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Possibilidade de qualidade de vida para pacientes com a doença para não ficarem reféns dos centros de infusão.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existe um impacto real tanto na melhoria do controle da doença, aumento de sobrevida e redução das complicações, como há também impacto direto na qualidade de vida dos portadores da condição	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: O soliris, atualmente utilizado. E alguns pacientes ainda tem escape de hemólise, mesmo com a dose máxima permitida, Positivo: Melhor controle da doença. Melhora na qualidade de vida, Negativo: .	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos os tratamentos para HPN deveriam ser incorporados pelo SUS	2ª - Sim, Qual: Nucala, mepolizuma e., Positivo e facilidades: Resolveu completamente o problema a de saúde, hipereosinofilia., Negativo e dificuldades: Não há.	3ª - Sim, Qual: Anticoagulante xarelto , Positivo: Não funciona, mas é auto administração e barato , Negativo: Não evita as crises de hemólise	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 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes de baixa renda necessitam do tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Levar o tratamento para quem precisa e não tem condições de custear.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Adalimumabe, Tocilizumabe, Orencina, Rinvoq, Positivo: Meus sintomas acabaram., Negativo: Não teve	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eh de suma importância a incorporação de novas medicações , em diversas razões a saber:, - opção de tratamento por eventual eficácia da. Educação atual Soliris , -alguns casos como no problema extra vascular as opções podem ser fundamentais para manter o paciente em vida, - concorrência dd preços , - menor custo para susténs de saúde na administração ao paciente pois reduz-se a qtd de vezes necessárias , - menor custo para transporte do paciente pois reduz-se a quantidade de vezes na administração do medicamento, principalmente para os pacientes que têm sua moradia distante do Centro Médico,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: Fundamentais para sobrevivência , Negativo: Não houve	4ª - Comparativo médico	5ª - Por experiência própria percebo que alguns pacientes vêm de locais bastante distantes para administrar o medicamento. O medicamento que tem maior ciclo de sobrevida contribui para economia
Interessado no tema 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante que doenças raras também façam parte do SUS para que pessoas possam sair do quadro de abandono e sofrimento. A saúde tem que ser um bem.para todos e nao só para alguns cujos casos são mais fáceis.	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 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Contribuição apresentada em caráter individual. Sou médico, com atuação técnico-científica em Medical Affairs, Saúde Pública e doenças raras. As opiniões aqui apresentadas refletem minha análise individual., , Sou favorável à incorporação das tecnologias em avaliação no SUS de forma criteriosa, por subgrupos clínicos bem definidos e com monitoramento adequado. A HPN é uma doença rara, adquirida, clonal, grave e heterogênea, e os pacientes podem apresentar necessidades diferentes conforme histórico terapêutico, resposta clínica, carga de sintomas e mecanismo predominante de hemólise., , Entendo que inibidores de C5 seguem tendo papel importante para o controle da hemólise intravascular e para pacientes adequadamente controlados com essa estratégia. No entanto, parte dos pacientes previamente tratados pode permanecer com anemia, fadiga clinicamente relevante, necessidade transfusional ou sinais compatíveis com hemólise extravascular. Para esse subgrupo, terapias proximais do complemento podem representar alternativa relevante., , Assim, minha posição favorável não significa incorporação ampla e indiscriminada para todos os pacientes com HPN, mas sim acesso estruturado conforme perfil clínico, evidência disponível, critérios objetivos de elegibilidade e avaliação periódica de resposta., , Também considero essencial que a decisão incorpore a perspectiva de sustentabilidade do SUS, incluindo custo total de cuidado, administração, transfusões, complicações, logística, monitoramento e geração de dados de vida real. A incorporação deve estar associada à atualização do PCDT, segurança infecciosa, acompanhamento por especialistas e critérios claros de continuidade., , Dessa forma, considero que a incorporação criteriosa das tecnologias avaliadas pode ampliar a capacidade de resposta do SUS para diferentes perfis de pacientes com HPN, mantendo responsabilidade clínica, econômica e assistencial.,	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência técnico-científica/profissional com a análise do cenário terapêutico da HPN e das tecnologias em avaliação na CP nº 49, incluindo ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopane. Minha experiência não é como paciente ou usuário da tecnologia, mas como médico com atuação em Medical Affairs, Saúde Pública, doenças raras, análise de evidências, posicionamento terapêutico, farmacoeconomia e avaliação de tecnologias em saúde, Positivo e facilidades: A avaliação de múltiplas tecnologias para HPN é positiva porque reconhece que a doença é rara, grave e heterogênea, e que diferentes perfis de pacientes podem ter necessidades distintas. Inibidores de C5, como ravulizumabe e crovalimabe, podem ampliar opções para controle da hemólise intravascular e reduzir barreiras logísticas em comparação a esquemas mais frequentes, dependendo do perfil e da organização do serviço. Terapias proximais, como pegcetacoplane e iptacopane, têm racional relevante para pacientes previamente tratados com inibidores de C5 que permanecem com anemia, fadiga, necessidade transfusional ou sinais de hemólise extravascular. A existência de alternativas pode favorecer individualização terapêutica, desde que com critérios clínicos claros, acompanhamento especializado e uso racional dos recursos do SUS., Negativo e dificuldades: Os principais pontos negativos ou de atenção estão relacionados à incerteza comparativa, custo e implementação. Não há estudos head-to-head entre todas as tecnologias avaliadas, especialmente entre pegcetacoplane e iptacopane, o que limita inferências diretas. Diferenças de desenho, população, tempo de seguimento e desfechos devem ser consideradas. Também há desafios de sustentabilidade, especialmente em um cenário de alto custo e possível entrada de biossimilares de eculizumabe. Além disso, cada tecnologia tem requisitos próprios de segurança, adesão e logística: terapias intravenosas exigem estrutura de infusão, terapias subcutâneas exigem treinamento, terapias orais exigem adesão rigorosa. Recomendo incorporação criteriosa, por subgrupos, com monitoramento de resposta, segurança e dados de vida real.	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: Minha experiência com outras tecnologias para HPN é técnico-científica/profissional, especialmente com eculizumabe e suporte assistencial relacionado à doença. O eculizumabe representou um avanço histórico no manejo da HPN, principalmente pelo controle da hemólise intravascular mediada pelo complemento, redução de complicações associadas à doença e melhora de desfechos clínicos em muitos pacientes. Sua incorporação também ajudou a estruturar uma linha de cuidado para HPN no SUS, permitindo que pacientes com doença rara e grave tivessem acesso a uma terapia modificadora da história natural da doença. Além disso, transfusões, monitoramento hematológico e cuidado especializado continuam sendo componentes importantes da jornada assistencial, especialmente em pacientes com anemia, complicações ou resposta incompleta., Negativo: Apesar dos avanços, nem todos os pacientes alcançam controle clínico adequado com o bloqueio terminal de C5. Parte dos pacientes pode permanecer com anemia residual, fadiga clinicamente relevante, necessidade transfusional ou sinais compatíveis com hemólise extravascular, mesmo com controle da hemólise intravascular. Outro ponto relevante é a logística de administração intravenosa, que pode exigir deslocamentos frequentes, estrutura de infusão, disponibilidade de centros especializados e organização contínua do cuidado. Isso pode impactar pacientes que vivem longe de centros de referência. Também há custos elevados e necessidade de uso racional, com critérios claros de elegibilidade, monitoramento de resposta e acompanhamento especializado.	4ª - A CP nº 49 deve considerar que a HPN é uma doença rara, adquirida, clonal, grave e heterogênea. As necessidades clínicas variam conforme histórico de tratamento, resposta terapêutica, carga de sintomas e mecanismo predominante de hemólise., , Inibidores de C5 são fundamentais para controle da hemólise intravascular e devem seguir como opção relevante para pacientes adequadamente controlados. No entanto, parte dos pacientes previamente tratados pode manter anemia, fadiga, necessidade transfusional ou sinais de hemólise extravascular. Para esse subgrupo, terapias proximais do complemento podem ter papel clínico importante., , Em relação à pegcetacoplane, o estudo PEGASUS demonstrou benefício versus eculizumabe em hemoglobina, independência transfusional, reticulócitos e fadiga na semana 16, com dados de seguimento sugerindo manutenção dos benefícios. A comparação entre pegcetacoplane e iptacopane deve ser interpretada com cautela, pois não há estudo head-to-head, diferenças de desenho, população, seguimento e desfechos limitam inferências indiretas., , Fontes: Hillmen et al. N Engl J Med. 2021, 384:1028-1037, Peffault de Latour et al. Lancet Haematol. 2022, 9, Hill et al. Nat Rev Dis Primers. 2017, 3:17028, Relatório Conitec 2026 sobre tecnologias para HPN.	5ª - Os estudos econômicos da CP nº 49 devem ser analisados considerando diferenças de escopo, população, comparadores e pressupostos operacionais entre as tecnologias avaliadas. A sustentabilidade no SUS depende não apenas do preço unitário, mas do custo total de cuidado, incluindo administração, transfusões, complicações, monitoramento, logística assistencial e resposta clínica., , A comparação econômica entre tecnologias deve ser interpretada com cautela, sobretudo quando envolve terapias com mecanismos e formas de administração diferentes. No caso de pegcetacoplane, os custos associados ao sistema de infusão/dispositivo devem refletir os pressupostos reais de implementação, pois cenários que incluem ou excluem esses custos podem alterar a interpretação do impacto econômico comparativo. lembrar que disponibilização do dispositivo é sem custo adicional ao SUS, esse ponto deve ser formalmente considerado nos modelos., , Recomendo análise por subgrupos, incorporação restrita quando aplicável, critérios claros de continuidade, monitoramento de efetividade e coleta de dados de vida real para

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:
					reduzir incertezas econômicas e assistenciais., , Fontes: Relatório Conitec 2026 sobre ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana em HPN, Relatório preliminar Conitec CP nº 44/2026, Bula profissional de Empaveli®, Instruções de Uso do dispositivo enFuse®.
Interessado no tema 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A tecnologia facilita os usuários mais jovens a participarem dos processos e estarem atualizados, porém, é importante manter as informações acessíveis aos que não tem domínio das inovações tecnológicas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento essencial	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a iptacopana deve ser incorporada ao SUS porque os tratamentos baseados em inibidores de C5 ainda deixam importantes necessidades sem atendimento. Mesmo recebendo essas terapias, cerca de 82% dos pacientes permanecem anêmicos, 39% continuam necessitando de transfusões sanguíneas e 89% relatam fadiga. Além disso, os tratamentos infusionais exigem deslocamentos frequentes, que chegam a uma média nacional de 87,5 km, impactando a qualidade de vida e a produtividade profissional. A iptacopana oferece uma alternativa diferenciada por atuar como inibidor do fator B e por ser administrada por via oral.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: A iptacopana atua de forma proximal na cascata do complemento, permitindo controlar tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular. Os estudos clínicos demonstraram ausência de descontinuação por eventos adversos, ausência de infecções graves, ausência de óbitos e ausência de eventos graves de hemólise de escape. Além disso, a taxa de hemólise de escape foi aproximadamente dez vezes menor em comparação com os inibidores de C5. Também já observei situações em que pacientes tratados com eculizumabe ou ravulizumabe apresentaram hemólise antes da dose seguinte, situação que não ocorre com a mesma frequência na iptacopana. O fato de ser uma medicação oral e não refrigerada proporciona maior autonomia e comodidade., Negativo e dificuldades: Ravulizumabe e crovalimabe atuam na etapa terminal do complemento e não conseguem impedir adequadamente a hemólise extravascular. A pegcetacoplane, embora seja um inibidor proximal, apresentou casos graves de hemólise de escape em estudos clínicos. Além disso, nenhuma dessas opções é administrada por via oral, exigindo aplicações ou infusões.	3ª - Não	4ª - Os estudos APPLY, APPOINT e APPULSE demonstraram benefícios clínicos importantes da iptacopana, incluindo melhora hematológica, controle da hemólise e perfil de segurança favorável. As bulas dos medicamentos complementam essas evidências.	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 com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Será muito importante	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Qualidade de vida , Negativo: Não há	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Entendo que a iptacopana merece ser incorporada ao SUS porque ainda existem necessidades relevantes não atendidas pelos inibidores de C5. Dados disponíveis indicam que 82% dos pacientes continuam anêmicos, 39% permanecem dependentes de transfusões e 89% convivem com fadiga. Somam-se a isso os impactos dos tratamentos infusionais, que exigem deslocamentos médios de 87,5 km e podem comprometer a vida profissional dos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Por atuar no fator B da via alternativa do complemento, a iptacopana oferece controle mais abrangente da doença. Nos estudos clínicos, não ocorreram descontinuações por eventos adversos, infecções graves, óbitos ou episódios graves de hemólise de escape. Outro aspecto relevante foi a ocorrência de hemólise de escape aproximadamente dez vezes menor quando comparada aos inibidores de C5. A administração oral elimina a necessidade de infusões e proporciona maior liberdade aos pacientes., Negativo e dificuldades: Os inibidores terminais do complemento apresentam limitações importantes por não controlarem adequadamente a hemólise extravascular. Já a pegcetacopana apresentou episódios graves de hemólise de escape. Além disso, todas essas terapias dependem de administração não oral.	3ª - Não	4ª - Os estudos APPLY, APPOINT e APPULSE demonstraram resultados favoráveis para a iptacopana em termos de eficácia, segurança e qualidade de vida.	5ª - Não
Profissional de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A disponibilização da iptacopana no SUS é importante porque muitos pacientes continuam apresentando manifestações significativas da HPN apesar do tratamento atual. Aproximadamente 82% permanecem anêmicos, 39% necessitam de transfusão e 89% relatam fadiga. Além disso, os deslocamentos para centros de infusão alcançam uma média nacional de 87,5 km, gerando impacto social e econômico.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: A iptacopana controla tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular por meio da inibição do fator B. Os estudos demonstraram ausência de descontinuações por eventos adversos, ausência de infecções graves, ausência de óbitos e ausência de eventos graves de hemólise de escape. A frequência de hemólise de escape foi cerca de dez vezes menor do que a observada com os inibidores de C5. Além disso, trata-se de uma terapia oral que reduz significativamente a dependência de serviços hospitalares., Negativo e dificuldades: Ravulizumabe e crovalimabe não impedem adequadamente a hemólise extravascular devido ao seu mecanismo de ação terminal. A pegcetacopana apresentou episódios relevantes de hemólise de escape. Todas as opções comparadoras exigem formas de administração menos convenientes do que a via oral.	3ª - Não	4ª - Os estudos APPLY, APPOINT e APPULSE demonstraram eficácia consistente da iptacopana no tratamento da HPN, com benefícios clínicos e perfil de segurança favorável.	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho muito importante para essas pessoas	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essas medicações salvam vidas e preservam a qualidade de vida dos pacientes. É fundamental q o SUS as incorpore.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessário para tratamento e qualidade de vida do paciente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Doença rara precisa de apoio governamental.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento apresenta bom resultado com os pacientes em tratamento, além de ter um tempo de intervalo que favorece a qualidade de vida do paciente.	2ª - Sim, Qual: Tenho pacientes em tratamento com o medicamento., Positivo e facilidades: Intervalo de 56 dias., Negativo e dificuldades: N/D	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O intervalo e a segurança do tratamento com ravulizumabe beneficia muito o paciente com HPN	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Intervalo entre as infusões , Diminuição de hemólise de escape, Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A disponibilização dessas terapias no SUS amplia o acesso a agentes que promovem inibição sustentada do complemento, com potencial pra melhorar o controle da hemólise residual, reduzir a anemia persistente e melhorar qualidade de vida, minimizar ou eliminar a dependência transfusional e melhorar os desfechos clínicos de pacientes com hpn	2ª - Sim, Qual: Ravulizumab, Positivo e facilidades: melhora da hemólise de escape, melhor aderência, Negativo e dificuldades: preço	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A saúde é um direito do cidadão e se existe um tratamento deve ser oferecido ao cidadão com certeza	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A ampliação da medicação vai beneficiar enormemente os pacientes!!	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 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que o Ravulizumab deveria ser incorporado porque é o que tem maior aceitação, mais tecnologia e de simples aplicação. Além disso, já ouve uma negociação com o governo que não foi cumprida e, creio que por motivos de lobby de outras empresas, o medicamento está atrasado 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:
Profissional de saúde 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Ambulatório de Falências Medulares do CHC-UFRPR, referência terciária em Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) no Paraná, acompanha cerca de 80 pacientes, dos quais 24 utilizam terapias anticomplemento. A incorporação do eculizumabe ao SUS transformou significativamente o prognóstico desses pacientes. Entretanto, persistem necessidades não atendidas, como anemia residual, fadiga, hemólise de escape, impacto na qualidade de vida e elevada carga assistencial decorrente das infusões frequentes. Em nossa experiência, episódios de hemólise de escape permanecem clinicamente relevantes, frequentemente resultando em transfusões, hospitalizações e dificuldades de acesso ao tratamento para pacientes do interior do estado., Reconhecemos a qualidade técnica do relatório da CONITEC e suas limitações metodológicas. As evidências disponíveis demonstram que ravulizumabe e crovalimabe mantêm eficácia semelhante ao eculizumabe, porém com menor frequência de administração e menor incidência de hemólise de escape farmacocinética. O ravulizumabe, em especial, destaca-se por reunir o maior tempo de seguimento clínico entre os inibidores de C5, com eficácia, segurança e controle sustentado da hemólise ao longo de mais de seis anos., Os inibidores proximais representam importante avanço para pacientes com anemia persistente apesar do bloqueio de C5. A iptacopana destaca-se por proporcionar melhora consistente da hemoglobina, elevada independência transfusional, administração oral e menor incidência estimada de hemólise de escape nas análises indiretas disponíveis. A pegcetacopana também representa alternativa terapêutica relevante nessa população. À luz das evidências e da experiência do nosso centro, entendemos que a recomendação da CONITEC merece reavaliação, priorizando ravulizumabe como primeira linha e reservando os inibidores proximais para pacientes com resposta	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Crovalimabe, Pegcetacopana e Iptacopana, Positivo e facilidades: Em nossa experiência no Ambulatório de Falências Medulares do HC-UFRPR, referência terciária para HPN no Paraná, a hemólise de escape permanece uma das principais limitações do tratamento com eculizumabe, frequentemente resultando em transfusões, hospitalizações e piora da qualidade de vida. A elevada frequência de infusões também representa importante carga assistencial para pacientes do interior e para o SUS., Ravulizumabe e crovalimabe representam uma evolução do bloqueio terminal do complemento, mantendo eficácia semelhante ao eculizumabe com administração muito menos frequente. Além da maior conveniência, reduzem deslocamentos, uso de salas de infusão, transporte sanitário e absenteísmo. Em nossa avaliação, esses benefícios recebem peso insuficiente na análise da CONITEC. Entre os anti-C5, o ravulizumabe apresenta a evidência mais robusta, com mais de seis anos de seguimento demonstrando controle sustentado da hemólise, baixa incidência de hemólise de escape e segurança consolidada. O crovalimabe também demonstrou não inferioridade ao eculizumabe e amplia as opções terapêuticas., Nossa experiência confirma ainda o importante papel dos inibidores proximais em pacientes com anemia persistente apesar do bloqueio de C5. Tanto a iptacopana quanto a pegcetacopana promovem melhora da hemoglobina, independência transfusional e controle da hemólise intra e extravascular. Entretanto, não devem ser consideradas equivalentes. A pegcetacopana possui maior tempo de seguimento, enquanto a iptacopana apresentou, na análise indireta da própria CONITEC, menor necessidade transfusional e menor incidência estimada de hemólise de escape. Em nosso ambulatório, esse desfecho é fundamental, pois reduz internações e preserva os benefícios do controle duradouro da hemólise. Assim, ravulizumabe e crovalimabe devem ampliar o bloqueio terminal, enquanto a iptacopana deve ser priorizada para anemia residual após anti-C5, mantendo a pegcetacopana como alternativa válida., Negativo e dificuldades: O aspecto negativo principal em relação as tecnologias foi a dificuldade de acesso a esses medicamentos pelos pacientes. Não encontramos aspectos negativos em relação a eficácia ou segurança das medicações.	3ª - Sim, Qual: Danicopana, Positivo: A danicopana representa uma estratégia inovadora para pacientes com HPN que apresentam anemia residual e hemólise extravascular persistente apesar do bloqueio de C5. , Nossa paciente que fez uso da medicação demonstrou melhora adicional da hemoglobina, redução da necessidade transfusional e melhora da fadiga e da qualidade de vida., Negativo: Apesar do perfil de segurança bom, a nossa paciente apresentou um evento adverso possivelmente relacionado ao medicamento (colecistite calculosa).	4ª - As evidências clínicas atualmente disponíveis demonstram benefícios consistentes das novas terapias para Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), reforçados por publicações posteriores à revisão sistemática utilizada pela CONITEC. Destacam-se os resultados de 48 semanas dos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH, que confirmaram que a iptacopana manteve aumento sustentado da hemoglobina, elevada independência transfusional, controle persistente da hemólise (LDH) e perfil de segurança favorável, tanto em pacientes previamente tratados com inibidores de C5 quanto em pacientes virgens de tratamento. Esses resultados reduzem a incerteza quanto à durabilidade da resposta clínica. Revisões recentes também demonstram que os inibidores proximais do complemento representam um avanço terapêutico ao controlar simultaneamente a hemólise intravascular e grande parte da hemólise extravascular, reduzindo anemia residual, necessidade transfusional e episódios de hemólise de escape observados em parte dos pacientes tratados exclusivamente com inibidores de C5. As publicações ressaltam ainda que a escolha da terapia deve ser individualizada, reservando os inibidores proximais principalmente para pacientes com resposta hematológica inadequada ao bloqueio terminal do complemento. Dados de seguimento prolongado de	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:
				iptacopana e pegcetacoplane apresentados recentemente demonstram manutenção da eficácia por até 2–3 anos, sem novos sinais relevantes de segurança e com benefício sustentado sobre hemoglobina, fadiga e independência transfusional. Embora essas evidências não estivessem disponíveis no momento da elaboração do relatório, elas fortalecem a robustez científica das tecnologias avaliadas e devem ser consideradas na recomendação final., Referências: Risitano AM et al. Lancet Haematol. 2025, Dingli D. Ann Blood 2026, Versino F et al. Expert Opin Biol Ther. 2025, EHA Congress 2025 (APPLY-PNH/APPOINT-PNH – 2-year follow-up).	
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação vai ajudar no tratamento de uma doença tão grave com melhora na qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo com inclusão tendo em vista que além de aumentar o elenco terapêutico, otimiza o tratamento quanto as vias de administração e aprazamentos entre doses agregando uma melhor autonomia do paciente na gestão de sua condição de saúde.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Pacientes em uso de Eculizumab., Positivo: Melhora do quadro clínico dos pacientes., Negativo: Fatores relacionados a administração por sessões: deslocamento, ida a hospital.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O que for oferecido de benefício que alivie dores de quem sofre, serei a favor. Nosso dinheiro como pagadores de impostos deve ser revertido aos cidadãos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, acho que deve ser incorporada, Porque vai diminuir as filas nos hospitais, Vai diminuir as minhas infusões, Se diminuí as infusões, Diminuí os riscos de hemorragia, , ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: com Eculizumabe, Positivo: Sentia muitas dores, Dificuldade de mastigar, Depois do Eculizumabe, Estou bem melhor, Negativo: Aspecto negativo é ter que fazer infusões a cada 14 dias, Atrapalha muito a minha rotina, Por conta disso ter que ser furado a cada 14 dias, Tem o risco de hemorragia porque as minhas plaquetas são muito baixas.,	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 com a condição de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essas tecnologias são necessárias e são muito importantes no tratamento devido a qualidade de vida gerada ao paciente e resposta ao medicamento., Em estudos econômicos foi viável a longo prazo e torna a vida do paciente mais confortável e trás mais resultados segundo os estudos técnicos.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, foi um excelente medicamento mas preciso estar em hospital constantemente por causa da infusão e consultas periódicas. Isso trás e gera problemas e atrapalha a vida de estudante e laboral., Positivo e facilidades: Foi bom funcionou, bom medicamento , Negativo e dificuldades: Frequência ao hospital e dores nas articulações	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que o uso da tecnologia no atendimento de saúde no SUS é muitíssimo importante, dinamiza, agiliza, promove economia de despesas de translados, atende pessoas com mobilidade reduzida, favorece a sensação de segurança. Em tudo, por tudo, essa é a forma ideal de atendimento SUS. Hospital, Posto de Saúde, são também importante, todavia a triagem e o atendimento inicial, de e ser via digital. Eis a minha opinião.	2ª - Sim, Qual: Consulta on LINE. Foi excelente. Moro em Maceió, e o Médico que me atendeu, Dr. Leonardo falou comigo de Salvador BA. Muito atencioso e prescreveu os medicamentos corretos e que fizeram cessar o problema. Fiquei curada. Nora 10 para o atendimento onLine. , Positivo e facilidades: Atendimento com máximo de atenção. Médico focado no paciente e no relato deste. Gostei muito da forma profissional e humanizada em que fui atendida. , Negativo e dificuldades: Sinceramente? Nenhum aspecto negativo. So positivos. Talvez, em localidades sem energia elétrica e esem sinal.de internet, dificultem um pouco o cidadão, mas, para estes, a tecnologia da energia solar e o sinal de internet via satélite resolve.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas nesse citam deste tratamento e é de autocusto, muitos não dispõe disto e necessitam melhorar sua 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 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Tratamento de Primeira Linha da Hemoglobínúria Paroxística Noturna, •Ravulizumabe, , O equívoco dos biossimilares como justificativa de retrocesso., Discussões recentes ventiladas no âmbito da Conitec sugerem a substituição ou a precarização do acesso ao ravulizumabe, sob a promessa de futuros biossimilares de ecolizumabe, previstos a partir de 2027. No entanto, médicos e associações de pacientes reforçam que os biossimilares previstos são cópias do ecolizumabe, e não do ravulizumabe., Adotar uma tecnologia inferior apenas por conta do custo do biossimilar significa retroceder gravemente o padrão de cuidado da HPN. , , Tratamento de Segunda Linha da Hemoglobínúria Paroxística Noturna, •Iptacopana, , , "	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe., Positivo e facilidades: "Benefícios do Ravulizumabe no tratamento de primeira linha da HPN, 1. Manutenção da rápida, completa, sustentada e prolongada da via terminal do complemento, 2. Baixa taxa de hemólise de escape (farmacocinética), 3. Melhora a qualidade de vida, 4. Comodidade posológica - infusão endovenosa a cada 8 semanas., , ", Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo com o ravulizumabe. Nenhum evento adverso grave, sobretudo infecção.	3ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo: "Benefícios da Iptacopana no tratamento de segunda linha da HPN, 1. Manutenção da rápida, completa, sustentada e prolongada da via terminal do complemento, 2. Normalização da hemoglobina de forma rápida e sustentada, 2. Baixa taxa de hemólise de escape (farmacocinética), 3. Melhora a qualidade de vida, 4. Comodidade posológica - oral 2x/dia", Negativo: Nenhum aspecto negativo com a iptacopana (3 pacientes com acompanhamento médio de 2,5 anos). Nenhum evento adverso grave, sobretudo infecção.	4ª - "•O ravulizumabe não se limita a ser uma alternativa terapêutica de conveniência, consolida-se como a evolução científica comprovada em relação ao legado do ecolizumabe., •Para o tratamento de primeira linha da HPN, ravulizumabe oferece vantagens clínicas importantes: inibição completa e sustentada do C5 desde a primeira dose, redução significativa da hemólise de escape (4,0% vs 10,7% com ecolizumab e 10,4% com crovalimab), taxas superiores de independência transfusional e normalização de LDH, além de um intervalo de dosagem mais conveniente (8 semanas), com alta preferência dos pacientes. Essas características posicionam ravulizumab como uma opção superior para o tratamento inicial da HPN., •O garantir maior estabilidade clínica de longo prazo, a eliminação dos escapes hemolíticos, a redução drástica do número de infusões e a comprovada economia para os cofres públicos, o ravulizumabe estabeleceu-se como a primeira opção incontornável para assegurar não apenas o conforto, mas também a real sobrevivência dos pacientes com HPN., , Para o tratamento de segunda linha em pacientes com HPN e resposta inadequada aos inibidores de C5, iptacopana oferece vantagens clínicas importantes em relação à pegcetacopana: administração oral conveniente (em comparação à administração subcutânea, duas vezes por semana). , •Indicância	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:
				significativamente menor de hemólise de escape (2/62 pacientes em comparação a 4 pacientes no PEGASUS, com 3 descontinuações), , • Ausência de descontinuações relacionadas ao tratamento e eficácia hematológica comparável, com normalização da hemoglobina em aproximadamente dois terços dos pacientes. , Embora a comparação indireta ancorada não tenha demonstrado diferenças significativas nos desfechos de eficácia, o perfil de segurança superior e a conveniência da via oral posicionam iptacopan como uma opção preferencial para pacientes que necessitam de inibição proximal do complemento., Referências no texto anexado., "	
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha opinião pela vivência vai ajudar muito nossos pacientes em melhor deslocamento e pensando na saúde e bem estar deles em relação a ficar em casa com mas comodidade dando uma qualidade de vida melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Tenho interesse em contribuir na interpretação de evidências clínicas, revisão de literatura científica, apoio à implementação de protocolos e disseminação do conhecimento baseado em evidências, visando segurança e melhores desfechos para os pacientes."	5ª - Tenho interesse em contribuir tecnicamente com estudos econômicos em saúde, especialmente na análise de custo-efetividade, impacto orçamentário e avaliação de desfechos clínicos e econômicos para apoiar decisões baseadas em evidências. Busco utilizar metodologias reconhecidas e dados científicos para gerar informações que apoiem sustentabilidade e eficiência no cuidado em 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:
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha opiniao é que Ravulizumab e Crovalimab devem ser aprovados em primeira linha e que Iptacopana deve ser aprovada em segunda linha, como unico inibidor de C3. Sou favorável à incorporação no SUS, porém com posicionamento por linha de tratamento e não como simples inclusão indiferenciada de todas as tecnologias., Para primeira linha, considero que o SUS deve disponibilizar ravulizumabe e crovalimabe como opções anti-C5. A própria avaliação da CONITEC reconhece que, em pacientes sem tratamento prévio e em pacientes estáveis previamente tratados com inibidor de C5, eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe apresentam benefícios semelhantes em independência transfusional, manutenção da hemoglobina, fadiga, controle da hemólise, qualidade de vida, eventos adversos, mortalidade e descontinuação. Nessa situação, a decisão clínica deve considerar custo, via de administração, risco de hemólise de escape, adesão, logística e preferência do paciente., Idealmente, a decisão entre ravulizumabe e crovalimabe deve ser individualizada. O crovalimabe tem grande atrativo logístico por ser subcutâneo mensal, com possibilidade de aplicação pelo próprio paciente ou treinado. O ravulizumabe, por outro lado, tem vantagens operacionais importantes no SUS: administração intravenosa em ambiente de saúde, garantia de recebimento integral da dose, menor dependência de autoadministração, menor vulnerabilidade a problemas de adesão, armazenamento ou técnica de aplicação, e intervalo prolongado geralmente a cada 8 semanas. Em estudos de fase 3, o ravulizumabe apresentou menos hemólise de escape que o eculizumabe, com 4,0% vs 10,7% em pacientes naive 0% vs 5,1% em pacientes previamente estáveis com eculizumabe, além de eliminar eventos associados à inibição subótima de C5., Caso seja possível apenas uma droga, a maior garantia de aderência e adequada administração do Ravulizumab e evidências mais maduras me levam a preferência pelo Ravulizumab.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana - estou entre os autores do estudo APPLY, Ravulizumab - tenho pacientes, Eculizumab - tenho varios pacientes, Pegcatacopana - acompanhei paciente, Crovalimab - sou sub investigador dos estudos COMODORE I e COMODORE II, Informo que essas participacoes geram conflito de interesse formal, ainda que eu nao receba nada da industria ou qualquer fomento no momento, tenha titulos ou interesse financeiro, nem meus familiares, com qualquer parte que diga respeito a essas medicacoes. Que isso seja considerado ao se avaliar essa contribuicao, Positivo e facilidades: A autoadministração fácil do crovalimab e iptacopana é um grande atrativo e permite uso fácil das medicações e redução das idas ao hospital, sendo de grande valia., O melhor controle de hemólise do Ravulizumab e do Crovalimab, em particular hemólises de escape pré-dose, é redutor indireto de custo e uma vantagem importante em relação ao eculizumab. , No campo do C3, o controle de breakthroughs da iptacopana é equivalente ao da danicopana, com dados já no mundo real, e bastante superior à pegcetacopana, além da mais fácil administração e armazenamento, o que permite ser uma tecnologia muito mais facilmente utilizável em locais isolados, sem energia elétrica, entre outros, facilitando a descentralização do cuidado fora de grandes centros. , Esse melhor controle também reduz sensivelmente os custos com medicação de resgate, internações, idas ao pronto-socorro e transfusões., Negativo e dificuldades: A infusão da pegcetacopana é difícil. Embora tenha sido aprimorada, ainda nao compete com o sistema do crovalimab ou administacao oral., Embora dados de mundo real parecam reduzir essa preocupacao, toda medicacao via oral precisa ser vista frente a polifarmacia e interacoes medicamentosas, mas em minha limitada coorte bem como estudos de mundo real isso parece ser um problema menor que o esperado com a iptacopana, com resultados de mundo real sendo bastante similares ao estudo clinico., O crovalibab necessita conhecimento das reacoes especificas mas elas sao altamente manejaveis e controlaveis e nao sao um problema significativo., Com a pegcetacopana as hemolises de escape sao relativamente frequentes (frequencia similar ao observado com eculizumab) e frequentemente mais graves. Isso nao ocorre com os outros inibidores de C3	3ª - Sim, Qual: Atualmente atuando em estudos clinicos com medicacoes aqui nao listadas, Danicopana - acompanhei pacientes, Positivo: Embora interessante no papel, na pratica a danicopana gera custo incremental sem grandes beneficios claros em relacao à iptacopana e sendo mais nova, carece dados de mundo real, Negativo: Embora interessante no papel, na pratica a danicopana gera custo incremental sem grandes beneficios claros em relacao à iptacopana e sendo mais nova, carece dados de mundo real	4ª - Em comparacao de mundo real entre as duas drogas C3 a serem consideradas, na base de dados por Griffin/Kelly/Peffault de Latour para a Peg e Holt/Kelly/Griffin/Peffault de Latour para iptacopana, foram 48 pacientes com peg e 146 com iptacopana. Com 32 eventos de hemólise de escape na peg (0,396 BTH/paciente-ano) e 9 eventos em 9/146 pacientes da ipta (0,096 BTH/paciente-ano). Na peg, o manejo foi Pegcetacopana diária por 3 dias ou dose única de eculizumabe e 3 receberam doses adicionais de eculizumabe, 2 precisaram transfusão, 3 trocaram definitivamente de inibidor. Com isso, se observa o quão mais raros são os eventos com iptacopana, o que tem impacto importante nas decisões de custo a serem vistas depois. Os dados do manejo em ambos os casos estão amadurecendo, mas discussão de 3 linhas não cabe a essa participação. De qualquer forma, é raro ser necessário., Esses custos adicionais do tratamento devem ser considerados e me fazem recomendar unicamente a iptacopana para incorporacao como C3, sendo mais acessvel, de acesso mais equitativo, mais pratica, logisticamente superior e mais segura.	5ª - A análise econômica é fundamental porque, na primeira linha, a própria CONITEC parte do pressuposto de eficácia e segurança semelhantes entre eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe, conduzindo análise de custo-minimização. No cenário de preços atual do eculizumabe, o crovalimabe apresentou menor custo de tratamento, com economia de até R\$ 65.742,14 no primeiro ano e de R\$ 203.088,60 no segundo. Porém, em cenários de redução do preço do eculizumabe por biossimilares ou por negociação, o eculizumabe passa a ter menor custo, com economia estimada de até R\$ 724.577,06 no primeiro ano e de R\$ 500.651,47 no segundo. Mas, novamente, as vantagens clínicas, organizacionais e a redução de custos indiretos com as novas drogas não são insignificantes e acredito que a incorporação se justifica. , Em relação à segunda linha, a decisão é mais simples. O ponto crítico é a hemólise de escape. Pegcetacopana é eficaz para EVH, mas dados do mundo real do Reino Unido e da França, em 48 pacientes, registraram 32 eventos de hemólise de escape, em 13 pacientes, por vezes com necessidade de intervenção rápida e de gasto adicional. Na

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:
					iptacopana, esse índice não ultrapassa 5%. A CONITEC estimou custo maior para iptacopana em comparação à pegcetacoplana no modelo de pacientes com resposta inadequada ao anti-C5: R\$ 25.698.590,07 vs R\$ 23.142.867,17, com custo incremental de R\$ 2.555.722,90 e razão de custo-efetividade incremental elevada, mas a economia com tratamento de eventos de escape e a facilidade, se considerarmos o tratamento da hemólise de escape com dose de inibidor de C5, mesmo eculizumab. Usando as estimativas da CONITEC e a base de dados do grupo inglês/francês que publicou mundo real com ambas as drogas (Kelly–Griffin–Kulasekaran et al), incluindo o custo do tratamento do escape na análise original da CONITEC, no meu cálculo, a diferença anual entre as drogas fica de R\$ 15.865,04/ano favorecendo a pegcetacoplana, valor que julgo não justifica a perda das vantagens mencionadas.
Interessado no tema	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
23/06/2026					

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 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Primeiramente, o Ravulizumabe foi aprovado pela Conitec, já deveria está se sendo distribuído pelo SUS . Porque uma nova análise, é triste essa situação .Esse medicamento vai melhorar muito as condições dos pacientes portadores de HPN, os que na sua maioria tem andar muitos quilômetros para fazer o tratamento com o Soliris que é a cada 15 dias. Sendo que com o Ravulizumabe será a cada 8 semanas. , Todos os medicamentos em análise são importantes para a implementação. , Todo paciente é único e responde de forma diferente ao tratamento, não tendo uma mesma resposta com um mesmo medicamento. Por isso, a importância de ter opções diferenciadas para melhor tratar os sintomas e fornecer uma qualidade de vida e longevidade aos pacientes, considerando que HPN é uma doença rara, incurável, grave e de risco de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: '- Menos hemólise , - Diminuição da fadiga , - Desde o início do tratamento não tive mais trombose , Negativo: '- O curto período entre uma infusão e outra, mais furadas, mais tempo no centro de infusão, mais riscos de contaminação, mais distâncias percorridas (desconforto, cansaço, riscos de acidentes de trânsito) e limitação no ir e vir, viajar é uma dificuldade. , - Ainda tenho hemólise de escape e ainda sinto fadiga, desânimo, cansaço.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação deve ser incorporada para melhorar a qualidade de vida das pessoas que têm a doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante medicamento no tratamento adequado	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Menos hemólise extravasculares, Negativo: .	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quanto mais opções para o tratamento incorporado no sus, melhor a qualidade de vida do paciente, utilizando a qual o corpo se adapta melhor.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo e facilidades: Zerou as transfusões de sangue. Diminuiu as infecções de urina, e as trombozes., Negativo e dificuldades: Dor de cabeça dor no corpo e sonolência nas primeiras 48h após a infusão	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O SUS necessita da incorporação de outras opções terapêuticas para HPN	2ª - Sim, Qual: ravulizumabe, Positivo e facilidades: posologia e eficácia, Negativo e dificuldades: nada digno de nota	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Eficácia, Negativo: Pior posologia	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 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ampliar a assistência farmacêutica referente a quem tem o diagnóstico de HPN é dar acessibilidade ao tratamento, humanizar, diminuir as barreiras e propiciar menores impactos sociais negativos a qualidade de vida do paciente e sua família. Isso diz sobre de fato garantir a universalidade, integralidade, equidade, bem como, contribuir para a descentralização do acesso ao tratamento, diminuindo os deslocamentos dos usuários, contribuindo também para melhor adesão ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para tratamento de HPN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 23/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse tratamento é fundamental para dar qualidade de vida aos pacientes que convivem com essa doença rara e que tem um tratamento tão dificultoso.	2ª - Sim, Qual: A infusão., Positivo e facilidades: Melhoria na hemoglobina., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento revolucionário da HPN não só salvando mas dando qualidade de vida ao paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: TMO e Eculizumabe, Positivo: A excelente resposta e a qualidade de vida., , Negativo: TMO alta morbimortalidade e o Eculizumabe deve ser infundido no paciente há cada 15dias, .	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante que seja incorporado ao SUS essa alternativa de tratamento para apoiar portadores da doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente que descobri a HPN há poucos dias e ainda não realizei nenhum tipo de tratamento, mas ter opções de medicamentos para uma doença rara e que não tem cura é excelente. Cada paciente reage de uma forma diferente ao eculizumabe e muitos não conseguem voltar a vida normal de trabalho e atividades físicas. Por isso a importância de outras opções de medicamentos. Eu moro no Mato Grosso e estou a 800km da capital. Viajar a cada 14 dias, mais de 12 horas de ônibus para fazer as infusões impactará diretamente na minha qualidade de vida, por isso sou a favor do ravulizumabe.	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 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se existe uma possibilidade de tratamento para a população então acredito ser válido incorporar essa nova tecnologia	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do Fabhalsa (iptacopana), pois ele representa uma inovação terapêutica importante para pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). Além de apresentar eficácia no controle da hemólise e na melhora dos níveis de hemoglobina, oferece a vantagem de administração oral, o que pode reduzir a carga de tratamento, melhorar a adesão e contribuir para a qualidade de vida dos pacientes. A ampliação das opções terapêuticas é fundamental para atender pacientes com necessidades não plenamente contempladas pelas alternativas atualmente disponíveis no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sem, Opinião	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Paciente com melhora clinica, Negativo: Comparecimento frequente dos pacientes ao servico de saude	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos devem ter o direito de acessar as melhores tecnologias, tratamentos e medicamentos para sua condição médica	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 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN (Hemoglobinúria paroxística noturna) é uma doença muito rara, porém está associada a um grande risco de danos orgânicos e até a morte. É uma doença adquirida, através de mutações que geram um clone doente de células na medula óssea. Este clone determina a produção de células sanguíneas que são sensíveis ao sistema complemento. O sistema complemento passa a ser hiperativado e gera hemólise (a quebra das hemácias clonais) o que determina anemia hemolítica crônica, porém como a hemólise é intravascular, a liberação de hemoglobina livre na circulação acarreta em uma série de complicações potencialmente graves, como: trombose, espasmos musculares, hipertensão pulmonar. Um grande desafio é fazer o diagnóstico da doença antes de manifestações graves. Hoje, com o advento da imunofenotipagem em sangue periférico, temos um importante ferramenta para o diagnóstico correto. Após o diagnóstico estabelecido, o tratamento adequado é de extrema importância para evitar as complicações graves da doença. O tratamento se baseia no bloqueio do sistema complemento, através da inibição da proteína C5 do complemento. Hoje, temos uma medicação, chamada eculizumabe, que está disponível para o tratamento da HPN e bloqueia a proteína C5 do complemento. Porém, o que observamos na prática clínica e no cotidiano dos pacientes com HPN, é que o tratamento com eculizumabe demonstra falhas mais frequentes no bloqueio do sistema complemento, traduzidas por maiores episódios de hemólise de escape durante o tratamento. Além disso, devido a uma vida mais curta, o calendário de tratamento torna as aplicações de eculizumabe mais frequentes 2/2 semanas). A medicação RAVULIZUMABE demonstrou, em 2 estudos clínicos grandes, não inferioridade ao eculizumabe. Os estudos mostram maior inibição da C5, menores taxas de hemólise de escape (o que reduz risco de complicações) e de transfusões. Além disso, o calendário de tratamento é com doses a cada 8 semanas, sendo também mais confortável aos pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Já tive e tenho pacientes em uso de eculizumabe. , Positivo: Nesses casos de pacientes em uso de eculizumabe, observa-se que a hemólise de escape é frequente, o que acarreta em risco persistente de trombose aos pacientes. , Negativo: Nesses casos de pacientes em uso de eculizumabe, percebe-se que o DHL (desidrogenase lática) não fica normalizada durante todo o tempo de tratamento, mostrando maior taxa de hemólise de escape e/ou hemólise extravascular. O DHL alto é um marcador de atividade de doença. Outro ponto desfavorável ao eculizumabe é a necessidade de aplicação a cada 2 semanas, não sendo rara a necessidade de encurtar ainda mais estas aplicações, na tentativa de controlar os episódios de hemólise de escape.	4ª - Os estudos 301 e 302, que avaliaram o tratamento com ravulizumabe em pacientes sem exposição prévia ao eculizumabe (estudo 301) e em pacientes que já haviam sido tratados com eculizumabe (estudo 302). São mais de 400 pacientes tratados e com acompanhamento já longo (> 4 anos). O tratamento com ravulizumabe mostrou: maior potência na inibição do C5 (com menores taxas de C5 livre nos pacientes tratados com ravulizumabe versus eculizumabe), menores taxas de pacientes que apresentam elevação de DHL durante o tratamento, menores taxas de episódios documentados de hemólise de escape e maiores taxas de transfusões evitadas (melhor controle de anemia e consequentemente, menor necessidade do paciente receber transfusões de sangue). A taxa de sobrevivência global em 4 anos foi de 98%, mostrando uma grande redução do risco de mortalidade nos pacientes tratados com ravulizumabe.	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 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN apesar de ser uma doença rara, ela tem grande morbi mortalidade, o uso do HPN tirou estes pacientes do risco de mortalidade, na sua maioria, mas hoje temos um grande problema de qualidade de vida e também de hemólise extra vascular. É extremamente difícil para uma pessoa ter que parar sua vida porque precisa fazer uma medicação a cada 15 dias, hoje temos medicações mais estáveis que o Eculizumab e que podem trazer qualidade de vida para estes pacientes	2ª - Sim, Qual: Ravulizumab- tenho 3 pacientes em uso da medicação, com bom controle de hemólise, que mesmo durante quadros infecciosos não observamos piora da anemia. Essa medicação é aplicada a cada 56 dias o que faz com que o indivíduo tenha qualidade de vida, possa trabalhar, viajar e tentar ter uma vida próxima ao normal , Positivo e facilidades: Ravulizumab Estabilidade da droga , Baixo índice de hemólise, Qualidade de vida, uma vez que é aplicada a cada 56 dias , Menor deslocamento dos pacientes , Qualidade de vida , , Iptacopana os estudos mostram que também é uma droga estável, baixo índice de breakthrough , melhora da fadiga, atua em pacientes com hemólise extra vascular e acredito ser a melhor opção para segunda linha , , Crovalumab é um bom inibidor de C5, mas acho que se tiver que escolher entre ele e o Ravulizumab, prefiro o Ravu porque alguns pacientes não vão conseguir fazer a aplicação subcutânea (que é a grande vantagem em relação ao Ravulizumab) e se for para ir ao centro realizar a infusão ficamos com o mesmo problema de deslocamento da droga atual , , Pegcitacplan é inibidor de C3, como ele faz um bloqueio grande, às vezes a hemólise é muito intensa. O fato de ser subcutânea 2 x semana, eu acho desconfortável , Negativo e dificuldades: Principalmente no Pegcitacoplan pelo risco de hemólise mais importante	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Preenche necessidades não atendidas com as medicações de primeira linha como anemia não controlada e melhora da fadiga.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: , Pacientes melhoram a qualidade de vida porque a medicação é de uso VO e não depende de centro de infusão , Negativo e dificuldades: Não tive	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O transplante de medula óssea ainda é a principal cura da doença. Esses medicamentos servem para dar uma qualidade de vida melhor as pessoas portadoras, visto que o transplante não consegue ser realizado indiscriminadamente. Portanto é de fundamental importância a liberação desses medicamentos pelo SUS, para as pessoas que convivem com essa doença, que já limita e aumenta o custo de vida desse portador (a).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento com estudos robustos a respeito da resposta ao tratamento	2ª - Sim, Qual: Pesquisas mostram eficácia e segurança , Positivo e facilidades: Boa resposta ao tratamento com efeitos adversos toleráveis , Atende demanda não atendida., Negativo e dificuldades: Nenhuma	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:
Pessoa com a condição de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As novas medicações tem melhorado significativamente a qualidade de vida dos portadores de HPN, além da redução expressiva dos custos com o tratamento, Participei como paciente da pesquisa de comparação dos efeitos do Eculizumabe e do Crovalimabe e houve um redução expressiva do clone da HPN. Além disso, passei a ter uma vida normal, com o uso do eculizumabe era necessário a realização de infusões intravenais a cada 15 dias, o que demandava o deslocamento de 150km do meu município de residência (Santo Antônio da Alegria) até o Hospital das Clínicas de Ribeirão Preto (hospital mais próximo que era possível realizar as infusões), dificultando uma rotina normal de trabalho e estudos., Com o início do crovalimabe, a aplicação da medicação é a cada 3 meses, além dos efeitos da medicação que se mostraram iguais e em alguns pontos até superior, eu mesma posso fazer a aplicação em casa, realizando apenas o acompanhamento das consultas junto ao hospital, com o uso do crovalimabe hoje eu sinto como se tivesse uma vida normal, e não como se tivesse sido marcada por uma doenças que demanda tratamento pelo resto da vida. Espero que outras pessoas possam ter acesso a essa medicação que transformou a minha vida, não apenas o quadro clínico, mas de poder viver de uma forma normal novamente.	2ª - Sim, Qual: Com o eculizumabe e com o crovalizumabe, Positivo e facilidades: Conforme indicado acima, o eculizumabe me deu uma esperança de viver, o crovalimabe me fez ter uma vida normal novamente., Participei como paciente da pesquisa de comparação dos efeitos do Eculizumabe e do Crovalimabe e houve um redução expressiva do clone da HPN. Além disso, passei a ter uma vida normal, com o uso do eculizumabe era necessário a realização de infusões intravenais a cada 15 dias, o que demandava o deslocamento de 150km do meu município de residência (Santo Antônio da Alegria) até o Hospital das Clínicas de Ribeirão Preto (hospital mais próximo que era possível realizar as infusões), dificultando uma rotina normal de trabalho e estudos., Com o início do crovalimabe, a aplicação da medicação é a cada 3 meses, além dos efeitos da medicação que se mostraram iguais e em alguns pontos até superior, eu mesma posso fazer a aplicação em casa, realizando apenas o acompanhamento das consultas junto ao hospital, com o uso do crovalimabe hoje eu sinto como se tivesse uma vida normal, e não como se tivesse sido marcada por uma doenças que demanda tratamento pelo resto da vida. Espero que outras pessoas possam ter acesso a essa medicação que transformou a minha vida, não apenas o quadro clínico, mas de poder viver de uma forma normal novamente., Negativo e dificuldades: Não tive experiências negativas com o crovalimabe, na troca de medicações não tive nenhum efeito colateral, e o clone do HPN diminuiu.	3ª - Sim, Qual: Utilizei o eculizumabe, Positivo: Como indicado acima, o eculizumabe me deu esperança de viver, mas o tratamento em si é mais dispendioso, demanda a aplicação de 15 em 15 dias de forma intravenosa, eu resido no interior de São Paulo, o que em cada aplicação me demandava pelo menos 1 dia perdido de trabalho, o que dificultava ter uma vida normal, mas em relação aos aspectos clínicos, eu me mantive bem durante o uso., Negativo: O tratamento em si é mais dispendioso, demanda a aplicação de 15 em 15 dias de forma intravenosa, eu resido no interior de São Paulo, o que em cada aplicação me demandava pelo menos 1 dia perdido de trabalho, o que dificultava ter uma vida normal.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara, mas que tem consequências catastróficas para os pacientes acometidos. As drogas em questão são comprovadamente eficazes e seguras e podem beneficiar diferentes perfis de pacientes, sendo útil termos todas as opções disponíveis	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: É eficaz para a maioria dos pacientes, Negativo: A posologia, EV a cada 2 semanas, desfavorece pacientes que moram longe dos centros de referência	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 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com relação à primeira linha, o ravulizumabe apresenta superioridade e vantagens em termos comodidade de aplicação em relação ao eculizumabe. O ravulizumabe tem não-inferioridade comprovada vs o eculizumabe, e é o inibidor de C5 com mais de dados de longo prazo analisados em pacientes com HPN. Quanto a farmacocinética, o ravulizumabe tem meia vida cerca de 5x maior do que o eculizumabe, com inibição mais consistente e sustentada de C5 livre e permite infusões a cada 8 semanas (cerca de 6 infusões/ano, comparado a 26 infusões/ano com eculizumabe). No estudo fase III (301), que analisou o ravulizumabe em primeira linha de tratamento, nenhum paciente apresentou elevação de C5, a taxa de hemólise de escape foi cerca de 1/3 daquela observada com o eculizumabe (a hemólise de escape é um evento que eleva consideravelmente o risco trombótico do paciente e o seu controle é um dos pilares do tratamento desta doença), além de controlar melhor o DHL e reduzir a necessidade transfusional em relação ao eculizumabe. O ravulizumabe promove 98% de sobrevida em 4 anos, redução de 5x na mortalidade (em relação a pacientes não tratados) e inibição completa e sustentada do C5 livre por pelo menos 4 anos. Por estas razões, sou favorável a incorporação do ravulizumabe em primeira linha. , Com relação à segunda linha, vale ressaltar que dentre os pacientes em uso de inibidor de C5, até 89% apresentam fadiga e até 39% permanecem dependentes de transfusão. O estudo APPLY demonstrou normalização da anemia na maioria e da reticulocitose na maioria dos pacientes tratados com iptacopana (controle abrangente da hemólise intra e extra-vascular), e a independência transfusional foi observada em mais de 90% dos pacientes. A taxa de hemólise de escape neste estudo foi 6 vezes menor do que com o anti-C5. Além disso, a iptacopana é administrada por via oral, evitando deslocamentos frequentes ao centro de infusão. Assim, sou favorável a incorporação da iptacopana como opção de segunda linha.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Tive oportunidade de usar o ravulizumabe em paciente com falha ao eculizumabe. Os aspectos positivos foram a estabilização da hemoglobina (sem necessidade transfusional) e a normalização do DHL após as duas primeiras infusões. O questionário de fadiga demonstrou melhora substancial (saindo de fadiga severa para leve após o início do tratamento. Outro aspecto positivo é o maior espaçamento entre as infusões., Negativo e dificuldades: Não houve.	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 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É SUPERIMPORTANTE QUE O PACIENTE DO SUS TENHA ACESSO A ESTES MEDICAMENTOS PARA SEU TRATAMENTO, TENDO EM VISTA A RELEVÂNCIA DOS MEDICAMENTOS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tudo que facilite a vida dos pacientes é valido.	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 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobúria paroxística noturna (HPN) é uma doença grave, com severas complicações de trombozes, insuficiência renal e cardíaca, politransfusões. Os medicamentos inibidores de complemento vieram revolucionar o tratamento da HPN. Hoje temos disponibilizado no SUS apenas o ECULIZUMABE que necessita infusões endo venosas a cada 2 semanas, uso contínuo. Gostaria de relatar o Caso da Sra Teresa Colaço Miguel Diniz, 77 anos, moradora de Santos que recebe o Eculizumabe há cerca de 20 anos com melhora dos exames e da qualidade de vida, porém ultimamente esta ficando difícil pegar uma veia para infundir o medicamento e a paciente relata que quer abandonar o tratamento porque não aguenta mais as injeções a cada 2 semanas. Outro caso trata-se da Sra Lucelia França, 47 anos, moradora de Pedro de Toledo, litoral sul de São Paulo, a 140 Km (2 a 3 horas de viagem) de Santos que é onde passa com hematologista (não há esse especialista na sua região) e é onde faz as infusões do Eculizumabe a cada 2 semanas. Essa paciente teve trombozes associadas a HPN com risco de recidiva. Apesar de comparecer aos tratamentos relata dificuldades de locomoção, perda de dias de trabalho (exames, consultas e infusões) e interferência na sua qualidade de vida. A Sra Raquel Soares 53 anos diagnosticada aos 34 anos, moradora de Santos, também reclama de falta de acesso venoso 9 infusões a cada 2 semanas) e de múltiplas vindas ao hospital. Diante do exposto recomendo fortemente a aprovação tanto dos medicamentos para HPN que a infusão ENDOVENOSA CADA 8 (oito) SEMANAS (RAVULIZUMABE) ou SUB CUTANEOS (CROMALIMABE) e o PEGCETACOPLANA) e o VIA ORAL (IPTACOPANA). A incorporação desses medicamentos além de melhorar o quadro clínico dos pacientes certamente trarão menos sofrimento, melhor qualidade de vida e economia para os pacientes de HPN.	2ª - Sim, Qual: não tive experiência pois não estão disponíveis no SUS, Positivo e facilidades: Os aspectos positivos que eu vejo é a facilidade de administração RAVULIZUMABE endo venoso a cada 8 semanas, CROMALIMABE e PEGCETACOPLANA sub cutaneos e IPTACOPANA via oral em relação ao disponibilizado pelo SUS atualmente ECULIZUMABE endo venoso a cada 2 semanas, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE endo venoso a cada 2 semanas, Positivo: melhora da clínica e laboratório, Negativo: infusões endovenosas a cada 2 semanas, difícil acesso venoso depois de algum tempo pois o tratamento é contínuo, as veias ficam esclerosadas e inflamadas	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento melhora muito a qualidade de vida dos pacientes.	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:
Pessoa com a condição de saúde 24/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu como tenho essa patologia seria melhor a incorporação dessas medicações pois moro longe do hospital de referência e mesmo recebendo o eculizumabe tive um evento trombotico e tenho sentido muito cansaço e fadiga ,também atrapalha minhas atividades de vida diária.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: A manutenção da minha vida, Negativo: Cansaço, intervalo pequeno de infusão, tive trombose mesmo usando a medicação, as viagens são muito desgastante do meu município para o hospital de referência.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada para melhorar a qualidade de vida desses pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de extrema importância novas drogas com melhores resultados para pacientes que possuem a condição de saúde!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ravalizumabe já estava incorporado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Estudos demonstram farmacoeconomia com o uso de ravulizumabe.
Profissional de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara que necessita de tratamento pois causa grande morbimortalidade como trombozes em sítios não comuns e citopenias com hemólise com risco de mortalidade se não tratada .Dessa forma, é necessária formas de tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana ao SUS representa uma medida baseada em evidências científicas claras de que são capazes de reduzir mortalidade, eventos trombóticos, necessidade transfusional e hospitalizações em pacientes com HPN. O que leva a promover maior qualidade de vida e sobrevida, para uma doença rara, grave e altamente incapacitante, contribuindo para a equidade no acesso à saúde e para o uso mais eficiente dos recursos assistenciais a longo prazo	2ª - Sim, Qual: Ravalizumabe, iptacopana, Positivo e facilidades: Ravalizumabe: alem da melhora clinica no controle dos sintomas do HPN, de forma similar ao eculzumabe o principal ponto positivo vem na frequencia de administração possibilitando redução no numero de idas a unidade para aplicação da medicação, com isso alto impacto na qualidade de vida, menos faltas ao trabalho e com isso possibilidade de melhor inserção destes pacientes no mercado de trabalho, mantendo-se ativo economicamente., , iptacopana -> boa resposta nos casos de hemolise de escape com eculizumabe, sem eventos adversos significativos , Negativo e dificuldades: o acesso a droga	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: boa medicação para controle do sinais e sintomas de HPN, Negativo: frequencia de administração tem alto impacto na qualidade de vida e na inserção no ,ercado de trabalho	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 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , A incorporação do ravulizumabe ao Sistema Único de Saúde (SUS) representa uma estratégia de alto valor para pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), proporcionando benefícios clínicos relevantes aliados à otimização da utilização de recursos públicos., , Em comparação ao eculizumabe, o ravulizumabe mantém inibição sustentada do complemento C5, reduzindo significativamente episódios de hemólise de escape, especialmente aqueles relacionados ao intervalo entre as infusões. Essa estabilidade farmacológica traduz-se em maior controle da doença, menor necessidade de transfusões, redução de internações e menor utilização de recursos hospitalares., , Além disso, a menor ocorrência de hemólise de escape contribui para a redução do risco de eventos trombóticos, principal causa de morbidade e mortalidade na HPN, com potencial impacto na diminuição de custos relacionados ao tratamento de complicações agudas e sequelas de longo prazo., , Outro diferencial importante é o intervalo de administração a cada oito semanas, em contraste com as infusões quinzenais do eculizumabe. Esse esquema reduz o número de infusões em aproximadamente 75%, diminuindo custos indiretos relacionados à infraestrutura hospitalar, equipe assistencial, deslocamento dos pacientes e absenteísmo laboral, além de proporcionar expressiva melhora na qualidade de vida., , Sob a perspectiva farmacoeconômica, o ravulizumabe reúne eficácia clínica sustentada, maior conveniência terapêutica, redução da utilização de serviços de saúde e potencial economia decorrente da prevenção de complicações, configurando uma alternativa custo-efetiva e alinhada aos princípios de eficiência e sustentabilidade do SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tenho uma paciência em, Uso de eculizumabe- Trata-se de paciente jovem (idade <30anos) economicamente ativa, em uso de eculizumabe, com adequado controle da HPN, porém submetido ao regime de infusões quinzenais, o que acarreta impacto significativo em sua rotina pessoal, profissional e social, com prejuízo importante da qualidade de vida., , A possibilidade de substituição pelo ravulizumabe, administrado a cada oito semanas, reduziria substancialmente a carga do tratamento, permitindo maior autonomia, menor necessidade de deslocamentos aos serviços de saúde e menor perda de dias de trabalho, sem comprometimento da eficácia clínica., , Além do benefício relacionado à conveniência terapêutica, o ravulizumabe proporciona inibição mais sustentada da fração C5 do complemento, reduzindo a ocorrência de hemólise de escape, especialmente nos períodos próximos à infusão, quando comparado ao eculizumabe. Esse controle mais estável da doença está associado à menor necessidade de suporte transfusional, menor risco de complicações e potencial redução do risco de eventos trombóticos., , Sob a perspectiva do SUS, a incorporação do ravulizumabe representa uma estratégia de alto valor, combinando eficácia clínica, redução da utilização de recursos assistenciais, menor frequência de infusões, maior adesão ao tratamento e melhora significativa da qualidade de vida dos pacientes com HPN, especialmente daqueles jovens, ativos e com expectativa de tratamento por décadas., Positivo: Paciente em uso das medicações disponíveis pelo sus hoje com adequado controle da HPN, porém submetido ao regime de infusões quinzenais, o que acarreta impacto significativo em sua rotina pessoal, profissional e social, com prejuízo importante da qualidade de vida/ e alguns pacientes com hemólise de escape , Negativo: O eculizumabe mudou a história natural da HPN e permanece uma terapia altamente eficaz. Entretanto, sua curta meia-vida impõe infusões quinzenais e pode favorecer episódios de hemólise de escape em alguns pacientes. O ravulizumabe mantém a mesma eficácia clínica, proporcionando bloqueio mais sustentado do complemento, menor carga terapêutica, melhor qualidade de vida e maior eficiência para o sistema de saúde	4ª - 1. Lee JW et al. Blood. 2019 – Estudo 301 (CHAMPION-301), , Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in adult patients with PNH naïve to complement inhibitors: the 301 study., , * Revista: Blood. 2019, 133(6):530-539., * DOI: 10.1182/blood-2018-09-876806, * Principais achados:, * Não inferioridade em relação ao eculizumabe., * Controle sustentado do LDH., * Maior estabilidade da inibição do C5., * Tendência a menor hemólise de escape., * Administração a cada 8 semanas. , , ?, , 2. Kulasekararaj AG et al. Blood. 2019 – Estudo 302 (CHAMPION-302), , Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in C5 inhibitor–experienced adult patients with PNH., , * Revista: Blood. 2019, 133(6):540-549., * DOI: 10.1182/blood-2018-09-876805, * Importância:, * Pacientes previamente estáveis em eculizumabe., * Demonstrou que a troca para ravulizumabe mantém a eficácia., * Mesmo controle hematológico., * Melhor conveniência terapêutica., * Menor ocorrência de hemólise de escape., * Melhora da qualidade de vida (FACIT-Fatigue). , , ?, , 3. Peffault de Latour et al. Haematologica. 2021, , Characterization of breakthrough hemolysis events observed in the phase 3 randomized studies of ravulizumab versus eculizumab in adults with PNH., , * Revista: Haematologica. 2021., * DOI: 10.3324/haematol.2019.2368	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:
				77, , É um dos artigos mais importantes para defender o ravulizumabe., , Mostrou que:, , * 11–27% dos pacientes tratados com eculizumabe podem apresentar hemólise de escape., * O ravulizumabe elimina praticamente a hemólise de escape causada por bloqueio insuficiente do C5., * No Estudo 302, nenhum paciente em ravulizumabe apresentou hemólise de escape relacionada à perda do bloqueio farmacológico. , , ?, , 4. Kulasekararaj et al. Annals of Hematology. 2025, , Ravulizumab demonstrates long-term efficacy, safety and favorable patient survival in patients with PNH., ,	
Profissional de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devido aos estudos clínicos com resultados promissores e o uso internacional já estabelecido, concordo com a incorporação ao SUS. De acordo com dados em palestra de congresso em hematologia sobre a condição.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Controle eficaz da condição, apesar de altas quantidades de infusões., Negativo: Alta quantidade de infusões.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Doença grave que precisa de um tratamento efetivo para quem sofre com esse mal. O cidadão brasileiro precisa de uma resposta firme e convincente de seus governantes com relação à saúde de seu povo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma doença rara, que precisa de novos fármacos para alcançar qualidade de vida. Ciência comprovada, o direito ao melhor tratamento, para os pacientes é difícil entender os custos como prioridade para a negativa da incorporação ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O alto custo destes medicamentos., O paciente não tem acesso, a não ser através do SUS., Fundamental para a sobrevivência do portador desta doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizomabe , Positivo: O doente passou a ter uma vida normal, em todos os aspectos, inclusive voltando a trabalhar., , Negativo: O uso de corticóide de 15/15 dias., Acredito que seja um tanto agressivo.	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 com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Porque moro longe, viajo 2h e meia para ir e voltar, 15/15 dias, para tomar o soliris, não tem direito a comida, venho com minha esposa, tenho anemia , passo mal. Precisa ter medicação moderna para durar mais o efeito e me sentir melhor. No público, não tem outra opção que soliris.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Precisando tomar uma dose maior , 4 fr, pq o remédio não dura o bastante e preciso de transfusão ., , Antes da medicação tinha dor na barriga e passou com o soliris. A dor na barriga volta quando está perto ou atrasa o soliris. , , Melhorei do mal estar e dores nas pernas tambem., Negativo: Viajar 15/15 dias e ser na veia. Estar respondendo pouco e precisar de um remédio iptacopan por causa de um coombs positivo e ainda ter anemia.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que devi incorporar porque mesmo eu fazendo o ravu pelo convênio foi difícil conseguir e tive que começar urgente o soliris pelo SUS, caso eu perca meu plano de saúde eu não teria como continuar o ravulizumabe. Os outros remédios eu posso vir a precisar em outro momento e gostaria que tivesse no SUS.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumane , Positivo e facilidades: Com a ravulizumabe só precisaria faltar ao trabalho em dois em dois meses, em comparação ao eculizumabe que teria que faltar a cada quinze dias, no caso me dar um tempo maior de manutenção com segurança de não ter hemólise pela baixa medicação no sangue , Negativo e dificuldades: Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe que usei por dois meses antes de iniciar o ravulizumabe, Positivo: Melhoria das dores, cansaço, anemia e da disfunção erétil, Negativo: Por se quinzenal, tem que tomar a cada duas semanas.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhoria na qualidade de vida uma vida mas ativa , Doença mas controlada menos gasto de vida menos vinda em hospital menos gasto em ida ao hospital e uma melhor	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhoras na minha vida e menos gasto , Negativo: Muita furadas e muitas injeção e exames	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Qualidades de vida, doença vai ficar mais controlada, menos agressiva, e mais segurança no tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: Menos ida ao hospital, e segurança no tratamento., Negativo: Muitas furadas nas veias e intervalos muito próximo.	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 com a condição de saúde 25/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente com HPN e sou favorável à incorporação destas medicações no SUS. Na minha opinião, essa medicação representa um avanço importante no tratamento da doença, especialmente para pacientes que já utilizaram outras terapias e ainda convivem com limitações que afetam sua qualidade de vida., , A HPN é uma doença rara e grave, que exige tratamento contínuo e acompanhamento constante. Além dos sintomas da própria doença, muitas vezes também precisamos lidar com os desafios impostos pelo tratamento, como deslocamentos frequentes para receber a medicação e a necessidade de adaptar toda a rotina em função das infusões., , Acredito que as medicações pode oferecer uma opção terapêutica importante, com potencial para proporcionar um controle mais amplo da hemólise e melhores resultados para pacientes que ainda apresentam sintomas ou dificuldades com os tratamentos atualmente disponíveis. Ter acesso a mais opções terapêuticas é fundamental, pois cada paciente tem necessidades e respostas diferentes ao tratamento., , Espero que essa medicação seja incorporada ao SUS para que mais pacientes possam ter acesso a uma alternativa que pode melhorar não apenas os resultados clínicos, mas também a autonomia, a qualidade de vida e a esperança de viver com menos limitações causadas pela HPN.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris , Positivo: A partir da minha experiência com outras tecnologias utilizadas no tratamento da HPN, percebo como principais aspectos positivos a melhora no controle da hemólise intravascular, refletida pela redução dos níveis de LDH e diminuição da necessidade de transfusões sanguíneas. Outro ponto relevante é a redução de eventos trombóticos, que impacta diretamente na sobrevida e qualidade de vida dos pacientes., , Além disso, destaco a melhora clínica geral, com redução da fadiga e maior capacidade funcional, permitindo que os pacientes retomem suas atividades diárias com mais autonomia. A previsibilidade do tratamento e o acompanhamento laboratorial também contribuem para maior segurança no manejo da doença., , Por fim, a disponibilidade dessas terapias representa um avanço significativo no tratamento da HPN, proporcionando melhores desfechos clínicos quando comparadas às abordagens anteriores., Negativo: A partir da experiência com outras tecnologias utilizadas no tratamento da HPN, alguns aspectos negativos podem ser destacados., , Um dos principais pontos é a necessidade de deslocamentos frequentes ao hemocentro ou centro de infusão, o que pode ser um fator limitante para muitos pacientes, especialmente aqueles que residem em regiões distantes ou com dificuldade de acesso aos serviços de saúde. Essa logística impacta diretamente na adesão ao tratamento e na qualidade de vida., , Outro aspecto relevante é a curta meia-vida de algumas dessas medicações, o que exige administrações frequentes para manutenção do efeito terapêutico. Isso pode gerar maior sobrecarga para o paciente e para o sistema de saúde., , Além disso, no caso de terapias como o Soliris, observa-se que, apesar de sua eficácia, ainda pode haver hemólise residual em alguns pacientes, necessidade contínua de tratamento por tempo indeterminado e risco aumentado de infecções, especialmente por bactérias encapsuladas, exigindo vacinação e monitoramento rigoroso., , Por fim, o impacto na rotina do paciente, associado à dependência de infusões regulares e acompanhamento constante, pode comprometer aspectos sociais, profissionais e emocionais, reforçando a necessidade de terapias mais duradouras e convenientes.	4ª - Não	5ª - Não

[illegible]

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 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Iptacopan representa um avanço importante no tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna por atuar de forma seletiva na via alternativa do sistema complemento, por meio da inibição do fator B. Diferentemente dos inibidores de C5, seu mecanismo de ação bloqueia a amplificação da cascata do complemento em um ponto mais proximal, proporcionando controle simultâneo da hemólise intravascular e da hemólise extravascular., Os inibidores de C5, como Eculizumab e Ravulizumab, revolucionaram o tratamento da HPN ao reduzirem significativamente a hemólise intravascular, a necessidade transfusional e o risco de trombose. Entretanto, parte dos pacientes permanece anêmica devido à hemólise extravascular, decorrente da deposição de C3 na superfície das hemácias, processo que não é prevenido pelo bloqueio em C5., Ao inibir o fator B, o iptacopan reduz a formação da C3-convertase da via alternativa, limitando tanto a opsonização por C3 quanto a ativação terminal do complemento. Na prática clínica, isso resulta em maior normalização da hemoglobina, redução da necessidade de transfusões e melhora dos marcadores laboratoriais de hemólise, incluindo diminuição da lactato desidrogenase (LDH) e aumento da contagem de reticulócitos e da sobrevida eritrocitária., Outro diferencial relevante é a administração por via oral. Enquanto eculizumabe e ravulizumabe são administrados por infusão intravenosa em intervalos de duas e oito semanas, respectivamente, o iptacopan é administrado por via oral na dose de 200 mg duas vezes ao dia, oferecendo maior conveniência e potencial melhora da qualidade de vida para muitos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Risitano et al., Lancet Haematology 2025 — resultados finais de 48 semanas de APPLY-PNH e APPOINT-PNH , Na atualização de 48 semanas, os resultados do iptacopan se mantiveram. No APPLY-PNH, entre os pacientes em iptacopan, 51/59 (86%) tiveram aumento de Hb ≥2 g/dL e 40/59 (68%) atingiram Hb ≥12 g/dL na semana 48. No APPOINT-PNH, 38/39 (97%) tiveram aumento de Hb ≥2 g/dL e 31/39 (79%) atingiram Hb ≥12 g/dL. O estudo também informa que não houve descontinuações por eventos adversos e que os episódios de breakthrough hemolysis foram geralmente leves ou moderados, sem descontinuação de iptacopan., 2. Blood Advances 2025 — patient-reported improvements with iptacopan, Essa análise de PROs mostrou que, nos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH, pacientes tratados com iptacopan tiveram melhora clinicamente significativa em fadiga e qualidade de vida. No APPLY-PNH, 51% dos pacientes em iptacopan atingiram mudança clinicamente relevante em FACIT-Fatigue, versus 11% no grupo que permaneceu em C5i. O artigo também relata correlação entre aumento de Hb e melhora de fadiga nos pacientes com experiência prévia em iC5, 3. Röth et al., EHA 2025 — preferência por modalidades terapêuticas (poster) HEALTH-RELATED QUALITY OF LIFE AND PREFERENCE FOR TREATMENT... - Röth A - EHA-5697 - Jun 14 2025, Esse estudo de vida real avaliou	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:
				sintomas, qualidade de vida e preferência por modalidades de tratamento em pacientes com HPN. O resumo descreve que os pacientes ainda apresentavam carga sintomática importante e que os achados sugeriam necessidade não atendida, um material do congresso associado a esse abstract destaca que os pacientes preferiram tratamentos convenientes, como medicação oral, e que, em geral, a administração em casa foi preferida ao ambiente hospitalar,	
Profissional de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existe uma necessidade na qual muitos não conseguem pagar essa medicação indo para o sus ajudaria todos aqueles que não podem pagar um advogado ou não podem pagar essa medicação por ser muito cara, traria uma condição de vida melhor para todos aqueles que precisam dessa medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Saúde é essencial	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, De grande importância, pois muitas pessoas dependem de novas tecnologias para serem tratadas e curadas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Sus precisa desse procedimento inserido	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma doença que tem que ser inserida no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
26/06/2026					

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 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável a incorporação do Ravulizumabe por se tratar de infusão a cada 8 semanas, sem efeito colateral relevante e com amplo uso em outros países como primeira opção terapêutica ao paciente recém-diagnosticado com HPN. A incorporação do Ravulizumabe seria de grande relevância para o SUS, pois reduz a frequência de deslocamentos e melhora a logística dos pacientes e perda de produtividade. Além disso, os estudos mostram menor frequência de hemólise de escape em comparação ao eculizumabe, coerente com seu bloqueio terminal mais sustentado (melhora da farmacocinética da droga). , Para os inibidores proximais reforço a EXTREMA necessidade de termos disponível alguma medicação para o cenário de refratariedade clínica aos inibidores de C5 . Em pacientes que mantem anemia e necessidade transfusional, o uso de inibidores proximais permite controlar tanto a hemólise intravascular quanto a hemólise extravascular, uma limitação conhecida dos inibidores de C5 e que é a principal causa da refratariedade clínica. , Entre as drogas inibidoras da via proximal, sou favorável a incorporação do Iptacopan. Trata-se de medicação via oral, com bons resultados no controle da anemia e da fadiga nos estudos pivotais. Mas, além disso, os dados de vida real corroboram com os dados apresentados nestes estudos e não demonstram quadros de hemólise de escape catastróficos ou preocupantes. , Já o pegcitacopan, além de ter infusão subcutânea 2-3 x por semana com duração de 1 hora e necessidade de bomba de infusão de manejo domiciliar, apresentou em estudos de vida real casos de hemólise de escape preocupantes com incidência maior do que a evidenciada nos estudos pivotais, com queda acentuada de hemoglobina e, em muitas situações clínicas, com necessidade de hospitalização e associação de inibidores de C5 ou aumento das doses semanais. Há preocupação crescente da comunidade científica com este cenário clínico, especialmente, em países com dificuldade de acesso ao serviço médico especializado.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Sou médica hematologista coordenadora do ambulatório de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) do Hemocentro de São Jose do Rio Preto. Temos, atualmente, 12 pacientes com HPN clássica e em uso de Eculizumabe. , Positivo: O eculizumabe mudou a história natural da HPN. Ele impactou a sobrevida global ao controlar a hemólise intravascular, tornando-a muito semelhante à população geral pareada por gênero e idade. Além disso, ao manter o DHL controlado (controle da hemólise intravascular) reduziu eventos trombóticos (principal causa de morte), reduziu a necessidade transfusional e , portanto, melhorou significativamente a vida dos pacientes portadores desta condição rara. , Negativo: Embora o Eculizumabe seja a medicação que mudou a história natural da HPN, ainda cerca de 30% dos pacientes permanecem com alta necessidade transfusional pela persistência da hemólise extravascular (não inibida pelos inibidores de C5) . Além disso, a infusão endovenosa quinzenal é um desafio logístico para nosso país. , Entre os 12 pacientes portadores de HPN do Hemocentro de Sao Jose do Rio Preto, 3 pacientes permanecem com anemia sintomática e com necessidade transfusional eventual, apesar do uso regular do eculizumabe. São pacientes jovens que, invariavelmente, evoluem para sobrecarga de ferro sistêmico e outros impactos negativos das múltiplas transfusões e, portanto, possuem menor expectativa de vida frente aos outros pacientes portadores da mesma condição mas com resposta adequada à medicação. No momento, não há opção terapêutica disponível para manejo adequado deste cenário clinico no SUS.	4ª - Entendo que temos, hoje, três principais desafios no cenário de HPN no SUS: grandes e frequentes deslocamentos dos pacientes, persistência da necessidade transfusional moderada em cerca de 30% dos pacientes em uso de inibidores de C5 e persistência dos sintomas de fadiga que contribuem para o não-retorno destes pacientes à vida laboral. , Sobre as drogas sugeridas para análise nesta consulta publica, na minha opinião, devem ser divididas em dois grupos para melhor entendimento: drogas inibidores de C5 (eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe) e drogas inibidoras da via proximal do sistema complemento (pegcitacopan e iptacopan). , Entre as drogas inibidoras de C5, de maneira direta e sucinta, elas não possuem diferença do ponto de vista de eficácia. Tanto ravulizumabe quanto crovalimabe foram aprovados em estudos de não inferioridade comparados ao eculizumabe. Portanto, a meu ver, a comodidade posológica e eventos adversos deveriam guiar a escolha terapêutica. , Entre as drogas inibidoras proximais do sistema complemento reforço a extrema necessidade de incorporação por tratar-se de cenário clinico ainda sem nenhuma opção terapeutica no SUS. Para esta decisão entendo que os dados de vida real publicados após os estudos pivotais possa ajudar na decisão e evidencio a preocupação da comunidade científica com os efeitos adversos de hemólise de escape com pegcitacopan. ,	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:
				Griffin M, Kelly R, Brindel I, et al. Real-world experience of pegcetacoplan in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. AJH. 2024, 99:816–823. - hemólise de escape, com 32 eventos em 13/48 pacientes,, Fattizzo B, et al. Characterization of Breakthrough Hemolysis in Patients With Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: An International Multicenter Experience. AJH. 2025 : Foram 198 pacientes e 271 eventos de hemólise de escape, a incidência ajustada por exposição foi 0,43 evento/paciente-ano com pegcetacoplan, maior que eculizumabe/outros anti-C5, ambos em torno de 0,18evento/paciente-ano	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhorar a qualidade de vida dos pacientes com HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É necessário o tratamento para todos os pacientes de hpn no SUS	2ª - Sim, Qual: Fui diagnosticada com hpn em julho de 2022, com indicação de realizar tratamento com RAVULIZUMABE por tromboembolismo pulmonar e trombose de veia esplênica em setembro de 2024, além de piora de anemia com cansaço, aumento do reticulócitos e DLH, sinais incontestável de atividade hemolítica presente., Iniciei tratamento em fevereiro de 2025., Minha anemia e cansaço melhoraram, dlh e reticulócitos diminuíram., , Positivo e facilidades: Com o início do ravulizumabe em 14.2.25, em uso desde então, com doses em fevereiro, maio, setembro de 2025 e Janeiro de 2026, Meu cansaço e anemia melhoraram muito,DHL e reticulócitos diminuíram. , Negativo e dificuldades: Como tenho plano Bradesco Globo sou dependente do meu marido, às importações demoram a chegar, e como todo trabalho é instável, quando não possuir o plano de saúde, precisarei a recorrer ao SUS	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 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um direito do cidadão e dever do Estado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor de que toda e qualquer medicação ou tratamento de saúde seja incorporado ao SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, com o tratamento pelo sus mais pessoas da sociedade terem acesso	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se faz necessário a implementação de novas abordagens terapêuticas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 26/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de uma medicação de ótima ação, excelentes benefícios para o controle da doença e qualidade de vida do paciente, visto a possibilidade de realizar infusões a cada 2 meses. A longo prazo é custo efetiva, pois precisa de menos infusões anuais para manter benefício.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe , Positivo e facilidades: Bom controle clínico laboratorial do paciente, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Alguns pacientes tiveram controle clínico laboratorial, Negativo: Curt período entre as infusões , Perda de reposta ao longo do tempo	4ª - Se mostrou efetivo em pacientes não tratados e já tratados, Menos hemólise de escape, , Referências com dados mais robustos:, Lee et al., Blood 2019 (Estudo 301) - Estudo pivotal fase 3 em HPN, pacientes virgens de tratamento ?, Kulasekararaj et al., Blood 2019 (Estudo 302) - Estudo pivotal fase 3 em HPN, troca de eculizumabe ?, Rondeau et al., Kidney International 2020 - Estudo fase 3 em SHUa, pacientes virgens de tratamento ?, Pittcock et al., Annals of Neurology 2023 (CHAMPION-NMOSD) - Estudo fase 3 em NMOSD AQP4+ ?, Brodsky et al., Haematologica 2021 - Análise de hemólise de escape nos estudos fase 3 ?	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 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, E muito importante porque beneficia de forma indescritível os pacientes que precisam da medicação para que possam ter uma melhor qualidade de vida , bem como suas respectivas famílias que convivem constantemente com as incertezas que a doença traz.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto apoio à ampliação das opções terapêuticas para pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), considerando a heterogeneidade clínica da doença e a existência de necessidades ainda não totalmente atendidas com as terapias atualmente disponíveis. Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana apresentam mecanismos de ação e perfis terapêuticos distintos, podendo beneficiar diferentes perfis de pacientes, especialmente aqueles com resposta subótima, anemia persistente, hemólise residual ou limitações relacionadas ao tratamento em uso., A incorporação dessas alternativas pode contribuir para maior individualização terapêutica, melhor controle da doença, redução da necessidade transfusional, melhora da qualidade de vida e ampliação do acesso a estratégias mais adequadas às necessidades específicas dos pacientes. A disponibilização de múltiplas opções terapêuticas fortalece o princípio da equidade e amplia a capacidade do SUS de ofertar tratamento mais efetivo e centrado no paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Mudou a história natural da doença., Negativo: Ainda mantém hemólise extravascular e anemia persistente em alguns pacientes.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/06/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Sem opinião sobre o assunto	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho muito importante para ajudar novas pessoas que não tem a condição de pagar um convênio médico.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho muito importante para ajudar as pessoas que não tem condição para pagar um plano	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais opção de medicamentos para o tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para que mais pessoas tenham qualidade de vida	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ravulizumabe deveria ser incorporado ao SUS pois impacta significativamente na qualidade de vida do paciente, diminuindo muito a periodicidade que o paciente precisa comparecer a serviços de infusões para seu tratamento, além de ter impacto objetivo positivo sobre melhor controle da hemólise de escape. , Pegicitacoplan deveria ser incorporado ao SUS pois existe uma parcela dos pacientes tratados com inibidor de C5 que persistem apresentando grau relevante de anemia, e consequente sintomas clínicos, em especial a fadiga, com impacto na qualidade de vida e produtividade do paciente. Por se tratar de um inibidor de C3 com melhor controle da anemia, isto resultaria em melhor controle em relação aos inibidores de C5 (Eculizumabe e Ravulizumabe) , Iptacoplana deveria ser incorporado ao SUS inicialmente por motivo semelhante ao citado acima, pois existe uma parcela dos pacientes tratados com inibidor de C5 que persistem apresentando grau relevante de anemia, e consequente sintomas clínicos, em especial a fadiga, com impacto na qualidade de vida e produtividade do paciente. Por se tratar de um inibidor de C3 com melhor controle da anemia, isto resultaria em melhor controle em relação aos inibidores de C5 (Eculizumabe e Ravulizumabe). Mas além disso, a comodidade da utilização via oral facilita muito a adesão ao tratamento e também melhora a qualidade de vida do paciente.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Em relação às outras tecnologias em avaliação de incorporação, não há ponto positivo para o Eculizumabe. Todas as demais são superiores., Negativo: O Eculizumabe demanda aplicação endovenosa, a cada 14 dias, o que limita o paciente tanto a ter que se deslocar até um centro de infusão, quanto a ter que estar frequentemente comparecendo às consultas de infusão e para realização de exames para ajustes de medicação, se necessário., Há ainda um problema latente que é o não controle ideal dos níveis de hemoglobina de boa parte dos pacientes, fazendo com que os mesmos persistam apresentando sintomas, especialmente relacionados a fadiga, impactando na qualidade de vida. , E por fim parte dos pacientes persiste apresentando hemólise de escape, dificultando o controle global da patologia.	4ª - O estudo clínico de fase 3 denominado Apply - PNH demonstrou que o Iptacopan demonstrou um melhor controle da hemólise e dos níveis de Hemoglobina em relação ao Eculizumabe. , O estudo clínico de vida real Reaction demonstrou um melhor controle da hemólise de escape com o Ravulizumabe, em relação ao Eculizumabe.	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 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os que tem a doença, não tem condições de pagar tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Valor inacessível aos contribuintes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Opções de drogas que fazem diferença no tratamento dos pacientes do SUS portadores de HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN pode se manifestar com anemia grave, trombose, citopenias que causam sangramentos e infecções. Causam morte e diminuem a qualidade de vida do paciente. Como existem medicações eficazes para o tratamento, isso não deve ser ignorado pelo poder público. Trata-se de doença rara, e se medicações bem indicadas e planejadas, não causará um prejuízo econômico financeiro para cofres públicos	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Resolução de anemia e trombozesZ , Negativo: A posologia semanal do eculizumabe é um desafio para pacientes que moram longe do centro de infusão. E mais trabalhoso para os centros de saúde.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os medicamentos em questão são importantes para melhoria da qualidade de vida dos pacientes e aumento da adesão ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhoria dos sintomas da doença. , Negativo: Frequência na administração do medicamento, dificultando adesão ao tratamento.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Uma doença tão rara e com um prognóstico ruim precisa de esclarecimento multiprofissional para que o tratamento seja iniciado o quanto antes! O medicamento é o único recurso para controle da doença o que já esclarece toda a necessidade de incorporação.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle dos sinais e sintomas, Negativo: Dificuldade de acesso	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 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importantíssimo que o novo medicamento em cápsulas seja incorporado ao SUS, pois assim diminuiria os custos monetários e humanos da versão com seringa consideradamente. Os pacientes precisam só tomar a pílula menos vezes por mês, podem tomar por conta própria, não precisam se dirigir aos postos/hospitais para tomar o remédio na veia, o que ocasionaria menos acidentes e traumas nos corpos dos pacientes. As enfermeiras também não precisariam aplicar mais o medicamento, podendo usar esse tempo para atender outros pacientes.	2ª - Sim, Qual: Com o medicamento em questão, acompanhando paciente., Positivo e facilidades: Mais facilidade, rapidez, tranquilidade e qualidade de vida para o paciente. Poder continuar o tratamento em casa não apenas aproxima o paciente do seu círculo de apoio emocional familiar (fator vital na recuperação), mas também o afasta do risco de erros e de adquirir Infecções Relacionadas à Assistência à Saúde (IRAS), comuns em ambientes hospitalares prolongados., Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Com o medicamento administrado na veia., Positivo: Trata a condição do paciente., Negativo: Na veia, às vezes o profissional erra ou não consegue achar a veia, deixando hematomas na pele do paciente. O paciente por vezes precisa aguardar para ser atendido, muitas vezes se tratando de um idoso. É necessário usar outras partes dos braços ou na parte superior da mão do paciente para aplicar o medicamento. O procedimento é extremamente demorado e custoso para o paciente, acompanhantes e equipe médica quando comparado à administração por comprimido.	4ª - A administração de medicamentos em comprimidos (via oral - VO) em detrimento da administração na veia (via intravenosa - IV) é um dos pilares modernos das boas práticas de prescrição, especialmente dentro de programas de Antimicrobial Stewardship (Gestão de Antimicrobianos). Do ponto de vista técnico e clínico, quando o paciente se encontra estável, essa transição garante a mesma eficácia e melhora drasticamente a sua qualidade de vida. A continuidade prolongada de cateteres venosos expõe o paciente a riscos desnecessários, como flebite, tromboflebite, hematomas e infecções primárias da corrente sanguínea (bacteremias). A transição para a via oral zera a ocorrência desses eventos adversos locais e sistêmicos associados ao acesso. A permanência de um acesso venoso e de bombas de infusão tem um custo físico e psicológico. Diversas publicações científicas atestam que a transição transforma o panorama de recuperação do paciente. Revisões sistemáticas e estudos publicados no JAC-Antimicrobial Resistance (Universidade de Oxford) indicam que o protocolo estruturado de mudança para a via oral reduz o tempo médio de internação hospitalar.	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 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou farmacêutico e atuo no acompanhamento farmacoterapêutico de pessoas com HPN. A incorporação das novas tecnologias, como o ravulizumabe e crovalimabe que apresentam eficácia e segurança comparáveis ao eculizumabe, mas que oferecem vantagens importantes de conveniência posológica e redução da carga assistencial, sem perda de efetividade é de grande importância para a melhoria da jornada do paciente assim como no aumento da qualidade de vida. A iptacopana e pegcetacopana também representam um avanço terapêutico para pacientes com resposta inadequada aos inibidores de C5, ao atuarem sobre a hemólise extravascular residual e promoverem melhora da anemia e da independência transfusional. , Desta maneira, manifesto-me favorável a incorporação dessas novas tecnologias no SUS.,	2ª - Sim, Qual: ravulizumabe e iptacopana, Positivo e facilidades: Redução de internações por hemólise, menor necessidade transfusional, redução da utilização de hemocomponentes, menor consumo de materiais de infusão, redução da carga assistencial das equipes, maior adesão ao tratamento, melhor qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Não houve.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhoria no tratamento e qualidade de vida do paciente, com redução da fadiga intensa, dispneia, dor abdominal, disfagia, hemoglobínúria, limitação para atividades diárias., Negativo: Alta frequência de infusões, Aumento do tempo disponível para o tratamento, Aumento do custo de transporte,	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada no SUS por serem medicamentos de alto custo e fundamental para a sobrevivência das pessoas que vivem com as doenças.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Após os dados apresentados em aula técnica, acredito que o medicamento deve ser incorporado no sus	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acredito que pelo menos uma das opções deve estar presente no SUS. Principalmente para auxiliar os pacientes portadores de HPN. Terapias que reduzam a Hemólise e melhores a qualidade de vida dos mesmos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É relevante para muitos brasileiros	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 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de inibidores de C3 e C5 pela Conitec transforma profundamente a realidade dos pacientes, principalmente dos jovens, que representam grande parte dos diagnosticados com doenças raras como a Hemobinúria Paroxística Noturna (HPN). Para este público, o acesso a esses medicamentos no SUS significa a retomada da qualidade de vida. Antes da terapia avançada, a rotina desses jovens era ditada por crises hemolíticas, dores crônicas, fadiga extrema e transfusões de sangue frequentes. O tratamento estabiliza a doença e devolve a autonomia, permite a volta regular às aulas, conclusão da faculdade e inserção no mercado de trabalho. Viabiliza a prática de atividades físicas, viagens e o convívio social sem o medo constante de crises de urgência. Reduz drasticamente a ansiedade e a depressão ligadas à incerteza de uma condição que ameaça a vida. Evidências clínicas avaliadas pela Conitec confirmam que os inibidores de C5 reduzem drasticamente o risco associado à falta de tratamento, como trombozes e óbito. O maior ganho da terapia está na redução de eventos trombóticos graves, equiparando a expectativa de vida dos pacientes à de indivíduos saudáveis. Por outro lado, a interrupção brusca desse tratamento representa um risco iminente à vida: sem o bloqueio do sistema complemento, o organismo sofre uma hemólise massiva de rebote. Esse efeito cascata pode desencadear crises vasculares agudas, infartos e coágulos letais em poucas horas. Para os jovens que mantêm anemia ou fadiga mesmo usando inibidores de C5 (hemólise residual), a chegada dos inibidores de C3 é um divisor de águas. Essa evolução terapêutica controla a destruição celular de forma mais precoce na cascata do complemento, eliminando os sintomas que ainda limitavam a energia e os projetos dessa população ativa.	2ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE E RAVULIZUMABE. , Positivo e facilidades: REDUÇÃO DA HEMÓLISE COM MELHORA DA ANEMIA, DIMINUIÇÃO DO RISCO DE TROMBOSE, MELHORA DA FADIGA NÃO ASSOCIADA DIRETAMENTE À ANEMIA, RETOMADA DA QUALIDADE DE VIDA. , Negativo e dificuldades: NÃO HOUVE.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que deve ser incorporada.	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 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A disponibilidade de diferentes tecnologias no SUS permitiria uma abordagem mais individualizada, considerando o perfil clínico, manutenção da hemólise, dependencia transfusional, adesão, acesso ao centro de infusão, segurança, qualidade de vida, comorbidades e reposta ao tratamento. Hoje temos somente o ecolizumabe que tem necessidades não atendidas, entre elas a obrigação do paciente ir ao centro de infusão 15/15 dias durante toda a sua vida, interferindo na qualidade de vida e em suas atividades laborativas., Como médica com experiencia em pacientes com HPN , considero fundamental que o SUS disponha de alternativas terapêuticas que contemple diferentes cenários clínicos. A incorporação de novas tecnologias representa equidade, permitindo que o paciente com uma doença grave e rara tenha acesso a tratamentos capazes de modificar a sua evolução clínica e sua qualidade de vida.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe (participei do estudo clinico 301 , no Hemorio, como investigadora principal e hoje, no pós estudo, tenho 10 pacientes utilizando)., Iptacopan (uso compassivo em pacientes que apresentavam baixa hemoglobina com necessidade transfusional), , Positivo e facilidades: Na minha experiência como responsável pelo acompanhamento de pacientes com HPN no Hemorio considero que a substituição do Eculizumabe pelo Ravulizumabe, também um inibidor de C5, representa um grande avanço devido a redução do intervalo de infusão de 2 semanas para 8 semanas. A ida do paciente ao centro de infusão com maior intervalo de tempo proporciona redução nos deslocamentos, refletindo na qualidade de vida e também na produtividade no trabalho, já que as infusões a cada 15 dias significa ausencia do trabalho 1 vez a cada 15 dias. Outro fator positivo diz respeito aos serviços de saúde que terão mais cadeiras liberadas para outras infusões, menor gasto de material e de pessoal. Devido a redução do numero de vezes de transporte de outros municipios, isso representará também um menor gasto pelas prefeituras., Os estudos 301 e 302 mostraram além da não inferioridade em segurança e eficácia do Ravulizumabe comparado ao ecolizumabe, um melhor controle do bloqueio de C5 pelo ravulizumabe. Durante todo o estudo os níveis de C5 se mantiveram zerados, enquanto picos de C5 ocorreram durante o uso do ecolizumabe, mostrando que o ravulizumabe permite uma proteção mais eficaz., Durante o tratamento com inibidores de C5, alguns pacientes permanecem com anemia persistente, necessidade transfusional, fadiga com impacto na qualidade de vida. Esse cenário não ocorre devido a doença, mas trata-se de um evento relacionado aos bloqueadores de C5. Para esses pacientes é necessário utilizar um outro tipo de bloqueador, com ação proximal no sistema complemento. A minha experiência com Iptacopan, bloqueador do fator B na via alternativa da cascata do complemento foi excelente. Os pacientes que mantinham anemia com necessidade transfusional em uso do bloqueador de C5, apresentaram elevação da hemoglobina, queda do reticulócitos e melhora importante na qualidade de vida dos pacientes., , Negativo e dificuldades: Na minha experiencia como pesquisadora principal do estudo clínico 301 do Ravulizumabe no Hemorio, posso afirmar que trata-se de um medicamento com alta eficácia no controle da hemólise intravascular, controlando bem a doença, porém apresenta como aspecto negativo a permanência da anemia devido ocorrência de hemólise extra-vascular em alguns pacientes. Nesses casos é necessária a troca para um inibidor proximal do complemento., Ambos os medicamentos (ravulizumabe e iptacopan) apresentam como aspecto negativo o risco de infecção para	3ª - Não	4ª - O crovalimabe demonstrou, em estudo fase 3, eficácia não inferior ao ecolizumabe no controle da hemólise e na evitação de transfusões, com a vantagem adicional de administração subcutânea mensal, o que pode reduzir carga assistencial, deslocamentos e impacto na rotina do paciente. Esse é um fator importante quando se pensa em qualidade de vida., , O pegcetacoplan atua em C3 e pode controlar tanto a hemólise intravascular quanto a hemólise extravascular mediada por C3. Nos estudos clínicos, demonstrou superioridade em relação ao ecolizumabe na melhora da hemoglobina em pacientes que permaneciam anêmicos apesar do bloqueio de C5., , Essas terapias atendem perfis clínicos diferentes: o crovalimabe amplia a comodidade e a sustentabilidade do bloqueio terminal do complemento, o pegcetacoplan responde a uma necessidade específica de pacientes com anemia residual e hemólise extravascular. A incorporação de diferentes mecanismos permite tratamento mais individualizado, com potencial redução de transfusões, melhora da qualidade de vida e melhor controle da doença. , , Röth A, et al. Phase 3 randomized COMMODORE 2 trial: Crovalimab versus ecolizumab in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria naive to complement inhibition. American Journal of Hematology. 2024., Scheinberg P, et al. Phase 3 randomized COMMODORE 1	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:
		meningococo, tornando obrigatória a vacinação antes do início do tratamento., Eu não tenho outros aspectos negativos para ressaltar em relação ao Iptacopan, exceto pelo fato que poderá ter problemas de esquecimento do uso da medicação por alguns pacientes por tratar-se de droga oral.,		trial: Crovalimab versus eculizumab in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria previously treated with C5 inhibitors. American Journal of Hematology. 2024., Hillmen P, Szer J, Weitz I, et al. Pegcetacoplan versus Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. New England Journal of Medicine. 2021, 384:1028-1037, Wong RSM, et al. Pegcetacoplan controls hemolysis in complement inhibitor-naïve patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood Advances. 2023.	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença que vai muito além dos sintomas físicos. Ela pode trazer insegurança, cansaço e muitas limitações para a rotina, afetando o trabalho, a vida social e até os planos para o futuro. Na minha opinião, é uma condição que merece mais visibilidade, porque muitas pessoas nunca ouviram falar dela e quem convive com a doença enfrenta desafios que nem sempre são percebidos pelos outros.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: Menos anemia, menos transfusões, mais qualidade de vida., Negativo: Mesmo com ele a doença não fica controlada por completo	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do ravulizumabe no tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna trará benefício para os pacientes do sistema único de saúde principalmente pelo benefício de proteção de hemólise de escape e pelo espaçamento entre as doses, que é maior do que com eculizumabe, além de terem eficácia equivalente. Com eculizumabe, as aplicações ocorrem a cada 2 semanas. Já com o ravulizumabe, após dose inicial, é a cada 8 semanas. Isso propicia redução de custos indiretos como transporte do paciente e reduz tempo de uso de centros de infusão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Bastante eficaz no controle da doença e efeitos colaterais manejáveis. , Negativo: Eculizumabe necessita de aplicações frequentes endovenosas, a cada 2 semanas e de maneira contínua.	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 29/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos serão beneficiados, especialmente os pacientes que moram distante de seus centros de tratamentos. A incorporação desses tratamentos por si só já traz um ganho na qualidade de vida de todos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Fui dignosticada há 1 ano com HPN. Pude usufruir do tratamento com imunossupressores fornecidos pelo plano de saúde. No entanto, sei que fui privilegiada e muitos dependem do fornecimento das medicações pelo SUS para continuarem vivos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Usei ciclosporina e eltrombopague, Positivo: Alcancei resultado completo. Não precisei do transplante e pude retomar minhas atividades., Negativo: A demora para liberação da medicação aumentou em 30 dias o tempo de internação em decorrência de contaminação hospitalar. Peguei um fungo no pulmão e fui submetida a um tratamento longo e bastante tóxico, com muitos efeitos colaterais.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importante a incorporação de medicações que ajudem os pacientes a viverem com mais qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como o SUS segue o princípio da universalidade e da equidade, o tratamento deve ser acessível a todos os indivíduos que necessitem. E mais, se for implementado pelo SUS pode coibir cobranças erradas e charlatanismo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Reposição de ferro, endovenoso (nuripurum) e xarelto (anticoagulante), Positivo: Auxilia diminuindo a fadiga, o cansaço e a palidez do paciente , Negativo: Auto custo, tratamento paliativo, precisa sempre refazer	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As pessoas precisam do tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devemos disponibilizar toda e qualquer tecnologia que melhore a qualidade de vida dos pacientes, inclusive os com doenças raras.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante toda possibilidade de ampliar o tratamento com novas drogas aos pacientes do sus	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considero um tratamento importante que deve ser levado a todos	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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos tem que ter cuidados e o SUS precisa disso	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante a incorporação das tecnologias propostas, pois cada uma acaba sendo uma oportunidade de melhora na qualidade de vida dos pacientes. No caso do Ravulizumab e do Crovalimab, que são inibidores de C5, possuem um tempo maior de aplicação em relação ao Eculizumab, o que aumenta autonomia do paciente, que precisa se deslocar menos vezes aos Centros, no caso do Ravulizumab, ou pode se autoaplicar como o Crovalimab. Muitos pacientes percorrem longas distâncias para realizar o tratamento, interferindo em seus empregos e suas rotinas, tornando suas vidas mais complicadas. No caso dos outros inibidores Iptacopana e Pegcitacopana, são inibidores essenciais para os pacientes que não respondem tão bem aos inibidores de C5, acabando por terem hemólise de escape, que prejudica e muito em suas vidas, pois os sintomas retornam, principalmente a anemia, dores musculares diversas, dificuldade para engolir e até mesmo trombozes importantes. Esses inibidores são muito importantes para a evolução do tratamento da doença, sendo uma oportunidade para que os pacientes tenham uma melhor e segura qualidade de vida. Eu mesmo sou um paciente que possui hemólise de escape e vi minha vida se tornar muito difícil pela forte anemia, tendo que voltar, inclusive a receber suporte transfusional e estou a espera da incorporação das novas tecnologias para voltar a ter uma maior autonomia sobre a minha vida e mais segurança.	2ª - Sim, Qual: Crovalimab, Positivo e facilidades: Maior autonomia na aplicação, pois não precisa de Centros de Aplicação por ser realizada pelo próprio paciente, Procedimento minimamente invasivo, Maior tempo entre uma aplicação e outra em relação ao Eculizumab, Negativo e dificuldades: sem aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Inibe, até certo ponto, o complemento C5, proporcionando uma melhor qualidade de vida ao paciente, , Negativo: Eculizumab, tempo menor entre uma aplicação e outra (14 dias), em ambos, pode ocorrer hemólise de escape. Necessidade de centro especializado para aplicação	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos precisam do tratamento, pois é um direito 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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As medicações são alternativas a medicação Eculizumabe já existente, mas para pacientes com resposta parcial ou não resposta. As medicações são opções para tratamento de vias alternativas da complemento ou de atuação com complemento inicial da cascata ou de escape. Medicamentos como opções de tratamento endovenoso com maior intervalo de aplicação, ou tratamento alternativo como via oral diário ou subcutâneo reduzem a necessidade de realização da aplicação em hospital dia ou em locais mais específicos exigindo assistência médica e de enfermagem.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, aplicação a cada 2 meses com resultados excelentes. , Positivo e facilidades: Intervalo de tempo para aplicação de medicação ravulizumabe, a cada 2 meses. Tranquilidade, oportunidade de agendar as suas atividades diárias, diminuição da carga de trabalho e da agenda para os hospitais dias onde faz a aplicação dessa medicações. , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acompanho paciente que faz tratamento para HPN. A grande dificuldade do mesmo é o deslocamento do município de origem para realizar administração do medicamento (eculizumabe) a cada 15 dias no nosso Hemocentro, que depende do transporte do município de origem, e quando não disponível, o proprio paciete precisa arcar com os custos (transporte e alimentação). Isso por vezes atrasa as infusões, com piora clínica dos sintomas da doença, o que pode inclusive culminar com necessidade de internamentos e tratamento de suporte, aumentando os custos para a saúde pública e a superlotação hospitalar, que bem conhecemos. Com o surgimento de novas terapias, com melhor comodidade posológica (seja endovenosa com infusões a cada 8 semanas, como oral com comprimidos diários), isso facilida a adesão dos pacientes ao tratamento, com melhor controle da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle parcial dos sintomas de fraqueza, decorrentes da doença. Diminuição importante da necessidade transfusional. , Negativo: Posologia com intervalo pequeno (cada 15 dias), e devido a distância de moradia do paciente do Hemocentro, frequentes atrasos de infusão.	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem que liberar os medicamentos sim, para melhor qualidade de vida dos portadores dessa doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Qualidade de vida aos portadores das doenças!	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:
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, De suma importância pois teremos uma segunda opção de tratamento e não precisar passar pelas crises dos sintomas da doença antes das datas das dosagens pois além de passar por isso temos que nos deslocar de onde moramos por vários km de distância para fazer as infusões, fora os gastos com transportes	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab (soliris), Positivo: Atua impedindo a hemólise mas por um curto período de tempo, ajuda a aliviar os sintomas e impedir perigos maiores de riscos de morte como trombose , Negativo: A complicação de idas e vindas em um curto período de tempo para os hospitais prejudicando nossos planos de saúde pois ficamos mais cansados e além de o medicamento segurar no corpo por apenas 15 dias	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamentos de novas tecnologias para nós como pacientes portadores de Hemoglobinúria Paroxística Noturna, faz com que temos mais esperanças para qualidade de vida elevado.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe (SOLIRIS)., Positivo: Sem necessidade de transfusão sanguínea., Negativo: Ainda com sintomas persistente do HPN.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TODOS QUE PRECISAM DEVERIAM TER ACESSO AOS TRATAMENTOS VIA SUS, QUE É REFERÊNCIA MUNDIAL E MOTIVO DE ORGULHO PARA NÓS BRASILEIROS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: A PESSOA COM QUEM CONVIVO USA SOLIRIS (ECULIZUMABE), Positivo: SENTE MENOS ANEMIA, MENOS TRANSFUSÕES, MAIS QUALIDADE DE VIDA. SEGURA O LDH E A MANTEVE SEM TROMBOSE. PERCEBE QUE O EFEITO ESTÁ PASSANDO PERTO DA PRÓXIMA TRANSFUSÃO., Negativo: MESMO COM SOLIRIS, A DOENÇA NÃO É CONTROLADA POR COMPLETO. ESCAPE DE HEMÓLISE, SINTOMAS NO DIA A DIA. PIORA COM INFECÇÕES. DEPENDÊNCIA DE INFUSÕES FREQUENTES (DESLOCAMENTO, TEMPO, CUSTO). POR ISSO A IMPORTÂNCIA DDE MAIS OPÇÕES NO SUS.	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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença rara, grave e que pode ser fatal se não tratada adequadamente. Todos os medicamentos em avaliação são de extrema importância para manutenção das vidas dos pacientes e controle da doença, cada um dos medicamentos tem suas particularidades, e atendem as diferentes demandas e especificidade que cada paciente necessita, o medicamento hoje disponibilizado pelo SUS, não controla por completo a ação da doença em alguns pacientes, além do fato da necessidade de transfusão a cada 15 dias, o que gera custos altos com deslocamentos, disponibilidade de leitos nos hospitais, fragilidade venosa do paciente devido ao grande número de infusões. Muitos pacientes não conseguem emprego, porque precisam se ausentar a cada 15 dias para realização de infusão, visto que os centros de referências são na maioria apenas nas grandes capitais. As novas propostas de inclusão do SUS, trariam redução de custos de forma geral, uma melhora significativa na qualidade de vida, segurança (melhor controle da doença) e independência dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação desses medicamentos poderá garantir maior qualidade de vida para pacientes que moram distantes dos centros de atendimentos hospitalares dos quais fazem tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tecnologia no atendimento, na enfermagem, em aparelhos de exames, tratamento de doenças, tudo melhora na qualidade e rapidez ao detectar doenças para um melhor tratamento ou a cura dessas doenças.	2ª - Sim, Qual: com produtos e medicamento para pele. Fiz em laboratórios credenciados onde não falam quais produtos foram testados., Positivo e facilidades: uma regeneração da pele. Maciez, cicatrização mais rápida., Negativo e dificuldades: aspereza na pele.	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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médica hematologista de um centro de referencia no qual atendemos 28 pacientes com HPN, em breve mais 6 casos novos., , Acompnhamos a saga diagnóstica de uma doença rara, a regulação de fluxo de atendimento no SUS, o inicio do tratamento, com grandes melhorias em sobrevida mas que impoe uma carga de tempo grande dos paciente e dos serviços de saude para a manutenção do seu tratamento, alem do mais 1/5 dos paciente necessitam de uma segunda linha de tratamento, ainda sem recursos.	2ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo e facilidades: Redução da mortalidade e trombose dos paciente, Negativo e dificuldades: Carga de infusão, paciente que fazem deslocamentos quilometricos, perdem empregos, jovens com dificuldade de retornar a atividade laborativa e educacional	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portador de HPN desde de 2016.. Os medicamentos que estão em avaliação trarão enormes benefícios para os pacientes, uma vez que o medicamento disponível hoje , não consegue controlar a doença de forma eficaz em alguns pacientes. As novas opções nos dará mais qualidade de vida, pois diminuirá o tempo de infusão, no caso do oral então, não haverá nem a necessidade de infusão. Diminuirá os gastos com transportes, leitos de hospitais e conseguirá atender os pacientes que não tiveram resposta com o Eculizumabe e sofrem com os sintomas da doença, que além de rara, é uma doença grave e pode ser fatal. O fato da infusão a cada 15 dias limita muito a vida do paciente, muitas vezes não conseguem emprego fixo, por terem que se ausentar do trabalho a cada 15 dias para realização de infusão, fora a questão do acesso venoso do paciente, que por fim já se tornam impossíveis devido as repetidas infusões ao longo do tratamento. , Portando as novas opções mudariam completamente as vidas dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Na época era o único medicamento disponivel para o tratamento e controle da HPN. Hoje temos novas opções que trazem mais beneficios para os pacientes., Negativo: A necessidade de transfusão a cada 15 dias. E por não ser um medicamento de controle total da doença, alguns pacientes necessitam de ação especificas em outras celulas, que o Eculizumabe não faz. E os novos medicamentos em analise, principalmente o Iptacopana (Fabhulta) atuam de forma mais eficaz e completa.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, São, na maioria das vezes medicações caras que os pacientes que utilizam o SUS não têm a menor condição de comprar para tratamento e melhorar sua qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Os novos medicamentos ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana apresentam evidências científicas robustas de eficácia e segurança para hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), com vantagens sobre o eculizumabe (disponível no SUS), como intervalos de administração mais longos, via subcutânea e melhor controle da hemólise extravascular. Ravulizumabe e crovalimabe oferecem conveniência e custo-efetividade, pegcetacopana e iptacopana apresentam eficácia superior ao eculizumabe, especialmente em hemólise extravascular e anemia persistente. Esses fármacos representam avanços significativos e justificam discussão sobre incorporação futura ao SUS. , Ref. Bibliográficas: Jalal L, Ahmed M, Khalid A. Health Sci Rep. 2025, 8:e70986. de Castro C, Kelly RJ, Griffin M, et al. Adv Ther. 2025, 42(9):4641–4658. doi:10.1007/s12325-025-03310-8. Röth A, et al. N Engl J Med. 2022, 387:1028–1038. doi:10.1056/NEJMoa2204519.	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que todo avanço científico para melhoria da qualidade de vida de pacientes e familiares que convivem com a doença é um avanço para o SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação ajudará muitas pessoas com a condição e salvará muitas vidas	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessário atender as pessoas com essa necessidade dando maior qualidade de vida a quem precisa do tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a inclusão da medicação seria um grande avanço na qualidade de vida das pessoas que sofrem com a doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tipo de doença que as pessoas de pouco recurso, não podem comprar os medicamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação desses medicamentos ao SUS, trará ainda mais conforto, esperança e qualidade de vida aos pacientes que precisam realizar os tratamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, '- 2ª - Não	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Entendo que a incorporação garantirá uma maior qualidade de vida aos pacientes, pois observo que a pessoa com quem convivo tem que fazer procedimento quinzenal para manter uma qualidade de vida adequada e isso tem impacto significativo nas demais esferas da vida dele. Assim, com as novas tecnologias este tempo será maio, garantindo ao mesmo mais autonomia e liberdade.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Defendo que as tecnologias devem ser incorporadas ao SUS. Convivo com uma pessoa que possui a doença, HPN, e hoje ela vive dependente de medicamento que precisa ser aplicado a cada 15 dias. , , Resta impossibilitado de realizar atividades pessoais e profissionais que demandem ausentar-se por período maior que este. , , A incorporação das tecnologias permitirá que utilize o medicamento em intervalos de dois meses, o que garantirá maior qualidade de vida e possibilidade de execução de tarefas que hoje resta impedido. , , É incontroverso que a incorporação das tecnologias garantirá avanços muito significativos no tratamento de inúmeros brasileiros que sofrem com essa condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento com inibidores do complemento é essencial para a vida do paciente com HPN hemolítico, sendo imperativo que haja opção disponível no SUS para o tratamento da doença. Como profissional do SUS, Tive experiência de acompanhar pacientes que ficaram sem a medicação no passado e tiveram complicações gravíssimas e vejo o impacto na qualidade de vida do paciente que realiza regularmente seu tratamento com eculizumab., Acredito também que alguma opção de inibição de complemento proximal (C3) seja importante para os casos de hemólise extravascular com repercussão clínica.,	2ª - Sim, Qual: eculizumab (disponível no SUS), Positivo e facilidades: Permitiu que a paciente sobrevivesse e também vivesse com qualidade de vida., Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pessoas precisam deste tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Fornece opções terapêuticas para pacientes com necessidades específicas, seja por acesso venoso ruim, limitações geográficas, falta de resposta à terapia prévia, permitindo individualização do tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumab, Positivo: Melhora da qualidade de vida, da anemia e dos sintomas da doença, porém com necessidade de infusão venosa quinzenal., Negativo: Falha de resposta em alguns pacientes. dificuldade posológica.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação desta tecnologia ao SUS por entender que ela representa uma oportunidade de ampliar o acesso equitativo a um tratamento de eficácia reconhecida para pacientes que, muitas vezes, não possuem condições financeiras de custeá-lo. A incorporação pode reduzir desigualdades no acesso à saúde, evitar a judicialização e proporcionar melhores desfechos clínicos, com impacto positivo na qualidade de vida dos pacientes e de suas famílias. Além disso, decisões de incorporação devem considerar não apenas o custo imediato, mas também os benefícios em longo prazo, como redução de complicações, internações e outros custos assistenciais. O SUS deve priorizar tecnologias que ofereçam efetividade, segurança e promovam um cuidado mais digno, oportuno e baseado em evidências científicas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa doença suga todas a energias da minha amiga, com frequência ela tem que ficar isolada em casa caso estejamos com alguma virose por medo de contamina-la e depois ela ter que ficar internada com a imunidade super baixa. São muito altos e baixos, os remédios são difíceis, qualquer mudança para melhor vai ajudar muito não só minha amiga mas todos que convivem com essa doença que exige muito do corpo físico e também da conta bancária.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos devem ser cuidados pelo SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Diversas pessoas não têm acesso a medicação e são poucos os centros de tratamento no país: o que obrigada viagens que trazem risco às pessoas (em função da trombose)	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe por infusão/Soliris, Positivo: Menos anemia,, menos transfusões, mais qualidade de vida e menor chance de trombose, Negativo: A doença não fica controlada por completo (escape de hemólise)	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de tecnologias ao SUS é um processo técnico e regulado e deve buscar assegurar que apenas intervenções com eficácia, segurança e custo-benefício comprovados sejam disponibilizadas à população, promovendo o uso racional dos recursos públicos.	2ª - Sim, Qual: ATENDIMENTO EM UPA, Positivo e facilidades: ATENDIMENTO DEMORADO, Negativo e dificuldades: ATENDIMENTO DEMORADO	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ravulizumabe, Sou favorável à incorporação do ravulizumabe no SUS. O medicamento mantém alta eficácia no controle da HPN e, por exigir infusões apenas a cada 8 semanas, reduz a carga do tratamento, melhora a qualidade de vida dos pacientes e otimiza os recursos do sistema de saúde., , Iptacopana, Sou favorável à incorporação da iptacopana no SUS. Trata-se de uma terapia oral inovadora, eficaz na melhora da anemia e na redução da necessidade de transfusões, ampliando as opções de tratamento e trazendo benefícios importantes para pacientes com resposta inadequada às terapias atuais.	2ª - Sim, Qual: Minha experiência com o ravulizumabe e a iptacopana foi positiva, com boa resposta clínica e hematológica, incluindo controle da hemólise, melhora da anemia e redução da necessidade transfusional, além de boa tolerabilidade., Positivo e facilidades: controle da hemólise, melhora da anemia, redução da necessidade transfusional, melhora da qualidade de vida e boa tolerabilidade. O ravulizumabe reduziu a frequência de infusões e a iptacopana trouxe a praticidade da terapia oral, favorecendo a adesão ao tratamento., Negativo e dificuldades: Os principais aspectos negativos são o alto custo, a necessidade de monitorização e vacinação adequada. O ravulizumabe ainda requer infusões intravenosas, enquanto a iptacopana depende de boa adesão ao tratamento oral. Apesar disso, os benefícios clínicos superam essas limitações.	3ª - Não	4ª - As evidências clínicas atualmente disponíveis demonstram que o ravulizumabe e a iptacopana proporcionam benefícios clínicos relevantes no tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna. O ravulizumabe apresentou eficácia não inferior ao eculizumabe no controle da hemólise intravascular, prevenção de eventos trombóticos, redução da necessidade transfusional e melhora da qualidade de vida, com a vantagem de infusões a cada 8 semanas, reduzindo a carga do tratamento. A iptacopana, por sua vez, demonstrou melhora significativa da hemoglobina, redução da hemólise, maior independência transfusional e melhora da fadiga, inclusive em pacientes com resposta inadequada aos inibidores de C5. Ambas as terapias apresentaram perfil de segurança favorável e são respaldadas por estudos clínicos robustos e diretrizes internacionais, representando avanços importantes no cuidado aos pacientes com HPN. Sua incorporação ao SUS permitirá ampliar o acesso a tratamentos mais eficazes e individualizados, com impacto positivo na sobrevida e na qualidade de vida dos 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:
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que vai ajudar muitas pessoas. O tratamento atualmente disponível nem sempre bloqueia a doença por completo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação é de importância extrema para a minha tia Cora Lúcia Zanni Cheregato, RG 16.183.193-X e CPF , pois trata-se de doença HPN (Hemoglobinúria Paroxística Noturna), que somente com esta medicação ela consegue se manter viva, pois sem o medicamento corre risco de trombose, embolia e também hemólise (perda de sangue pela urina).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação é de importância extrema para a minha tia Cora Lúcia Zanni Cheregato, RG 16.183.193-X e CPF , pois trata-se de doença HPN (Hemoglobinúria Paroxística Noturna), que somente com esta medicação ela consegue se manter viva, pois sem o medicamento corre risco de trombose, embolia e também hemólise (perda de sangue pela urina).	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/07/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Busco compreensão acerca do tema, pois percebo pessoas que precisam da atenção com temas específicos e doenças específicas. Então voltar os olhos ao tema é fundamental, visando quem precise de auxílio em algum momento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Promover-se qualidade de vida a esses pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação é de importância extrema para a minha irmã Cora Lúcia Zanni Cheregato, RG 16.183.193-X e CPF , pois trata-se de doença HPN (Hemoglobinúria Paroxística Noturna), que somente com esta medicação ela consegue se manter viva, pois sem o medicamento corre risco de trombose, embolia e também hemólise (perda de sangue pela urina).	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para melhora da qualidade de vida dos portadores da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu esposo é portador de HPN há mais de 20 anos, o uso do Soliris inicialmente e do Iptacopana atualmente lhe garantiu sobreviver e ter um pouco mais de qualidade de vida!	2ª - Sim, Qual: Soliris por 14 anos e Iptacopana nos últimos 7 meses., Positivo e facilidades: Com o uso das medicações meu esposo conseguiu sobreviver, pois por várias vezes já estive a beira da morte, muitas internações, transfusões de sangue, uso contínuo em doses elevadas de corticoide, etc! Com as medicações em dia reduziu drasticamente essas intercorrências! Hoje com o Iptacopana tem qualidade de vida e poucos sintomas da HPN! , Negativo e dificuldades: Durante o período de uso do Soliris, várias vezes ficou sem a medicação por falta ou atraso na compra da medicação por parte do governo! Nas trocas de governo principalmente! A falta da medicação e a descontinuidade do uso causa efeitos físicos e psicológicos severos, retarda o tratamento e abala o paciente e toda sua rede de apoio! Passamos por muitos momentos de angústia, medo e sofrimento! Hoje ele faz parte de um programa da Novartis e recebe o medicamento em casa, sem atraso, tem acompanhamento via telefone...é maravilhoso! Outra vida! Parece um sonho!	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tendo em vista o impacto positivo na vida dos pacientes, trazendo qualidade de vida sem sofrimentos em internações, etc.. além da auto-estima que traz de volta aos pacientes recomendo a incorporação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Acho importante participar e contribuir para a saúde das pessoas	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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve-se ampliar o arsenal terapêutico para o tratamento de HPN., , Pensando na doença como um todo, é importante que esse arsenal tenha pelo menos duas opções farmacológicas; - um inibidor de C5, preferencialmente com posologia mais favorável (ex: ravulizumabe e crovalimabe, nessa ordem), - dois inibidor de via proximal (considerações abaixo), -- no caso dos inibidores de via proximal, ambos os medicamentos possuem posologia não favorável: , --- com a Pegcetacoplane temos a bomba de infusão (pouco acessível) e a opção de a auto-aplicação (possibilidade considerável de insucesso quando analisamos o público heterogêneo do SUS), , --- com a Iptacopana temos as dificuldades de adesão do paciente à terapia oral (dificuldade constante no nosso ambulatório de onco-hematologia)., , Entendo que o eculizumabe é a alternativa economicamente mais viável no momento (opções biossimilares e possibilidade de PDP), mas a posologia é pouco favorável aos pacientes, como relato mais adiante., Pensando em PDPs, uma opção interessante seria trabalhar com a produção nacional ravulizumabe.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Melhora clínica dos pacientes., , Negativo e dificuldades: Poucos estabelecimentos de saúde SUS abriram as portas para infusão de eculizumabe, havendo atualmente centros em BH (1), Juiz de Fora (1), Uberlândia (1) e Uberaba (1). Ou seja, há uma dificuldade em descentralizar o serviço de infusão e atender mais pacientes (que estão em fila de espera por não a haver quem os atenda)., , Mais especificamente sobre o eculizumabe, pelo fato de as infusões de manutenção serem quinzenais, acaba reduzindo a qualidade de vida do paciente que precisa se deslocar e perder dois dias de trabalho (a depender do local de residência) para que receba a infusão.	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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O ravulizumabe oferece eficácia e segurança comparáveis às do eculizumabe, com a importante vantagem de uma meia-vida prolongada, permitindo administração a cada 8 semanas, em vez de a cada 2 semanas. Essa característica proporciona bloqueio mais sustentado do complemento C5, reduz o risco de hemólise por escape farmacocinético, diminui significativamente o número de infusões e visitas ao centro de tratamento, melhora a conveniência e a qualidade de vida dos pacientes e reduz a utilização de recursos de saúde, mantendo resultados clínicos equivalentes no controle da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Tenho pacientes em uso de eculizumabe que se beneficiariam deste novo medicamento especialmente pelo mitigação do escape farmacológico e da meia vida mais longa., Negativo: Escape farmacológico e necessidades de mais doses do eculizumabe. Necessidade de ir mais vezes ao hospital para aplicação.	4ª - O ravulizumabe foi desenvolvido a partir do eculizumabe por meio de modificações estruturais que prolongaram sua meia-vida em aproximadamente quatro vezes, permitindo administração intravenosa a cada oito semanas, em comparação com o esquema quinzenal do eculizumabe. Nos estudos pivotais de fase III (301 e 302), o ravulizumabe demonstrou não inferioridade em relação ao eculizumabe para os principais desfechos clínicos em pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), incluindo prevenção de transfusões, controle da hemólise (LDH), estabilização da hemoglobina e melhora da fadiga. Além disso, o ravulizumabe proporcionou inibição mais sustentada do complemento C5, reduzindo significativamente a ocorrência de hemólise por escape farmacocinético (pharmacokinetic breakthrough hemolysis), uma complicação observada em parte dos pacientes tratados com eculizumabe devido à queda dos níveis séricos da medicação antes da infusão seguinte. A menor frequência de infusões (aproximadamente 6–7 versus 26 infusões por ano) reduz substancialmente a carga de tratamento, melhora a conveniência e a qualidade de vida dos pacientes e diminui a utilização de recursos de saúde, mantendo um perfil de segurança comparável ao do eculizumabe. Esses benefícios fizeram com que o ravulizumabe se tornasse o	5ª - 1. Quist SW, et al. European Journal of Health Economics (2023), Cost-effectiveness of ravulizumab compared with eculizumab for the treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria in the Netherlands. , Principais resultados:, * Economia de €266.833 por paciente ao longo da vida., * Ganho de 1,57 QALYs., * O ravulizumabe foi considerado dominante (menos custo e maior benefício clínico)., * 98% da economia foi atribuída à redução da frequência de infusões e dos custos de administração., * O ganho em qualidade de vida decorreu principalmente da menor carga de tratamento e da redução dos episódios de hemólise de escape. , 2. O’Connell T, et al. PharmacoEconomics (2020), Cost-Utility Analysis of Ravulizumab Compared with Eculizumab in Adult Patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. , Perspectiva: sistema pagador dos Estados Unidos., Resultados:, * Ganho de aproximadamente 1,67 QALYs., * Redução superior a US\$ 1,6 milhão por paciente ao longo da vida., * O ravulizumabe apresentou melhor qualidade de vida e menor custo total, permanecendo dominante em análises de sensibilidade.

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:
				inibidor de C5 de escolha em muitos países para pacientes elegíveis com HPN. , Principais referências, 1. Kulasekararaj AG, et al., Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in C5 inhibitor-naïve adults with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (Study 301). Blood. 2019, 133:530–539., * Estudo pivotal em pacientes naïve., * Demonstrou não inferioridade e administração a cada 8 semanas. , 2. Lee JW, et al., Ravulizumab versus eculizumab in adult patients with PNH stable on eculizumab (Study 302). Blood. 2019, 133:540–549., * Estudo em pacientes previamente tratados com eculizumabe., * Confirma manutenção da eficácia após troca , para ravulizumabe.	
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de novas tecnologias no SUS é de extrema importância, para abranger e tratar diversos casos. Dada as circunstâncias atualmente em que, existe apenas um medicamento disponível no Sistema de Saúde para tratar a hemoglobinúria paroxística noturna.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Tive uma resposta positiva no DHL., Negativo: Não houve nenhuma melhora na anemia hemolítica, precisando de transfusões de sangue com frequência. , Os sintomas ainda permanecem: cansaço extremo, fadiga, fraqueza, dores no abdômen e pernas, falta de ar, insônia, frequência cardíaca alterada.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu filho é paciente de HPN e realiza tratamento via SUS com a administração do medicamento Eculizumabe a cada duas semanas. Embora a medicação atual seja eficiente no controle da doença, ele ainda apresenta hemólise extra-vascular. Aguardamos ansiosamente a distribuição da medicação Ravulizumabe a fim de melhorar essa hemólise extra-vascular e principalmente para que ele tenha melhor qualidade de vida, já que esta medicação é administrada a cada oito semanas, possibilitando menos ausências no trabalho e no seu estudo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle da doença, Negativo: Frequência de infusões a cada duas semanas e hemólise extra-vascular	4ª - Não	5ª - Segundo os relatórios da Conitec, a longo prazo o Ravulizumabe se mostra mais econômico do que o Eculizumabe

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 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN tem um impacto emocional e social na vidas dos pacientes portadores da doença. Hoje eles têm acesso a somente um terapia que não apresenta controle e eficácia para todos os pacientes portadores da doença. Muitos destes continuam a ter hemólise, fadiga, Anemia e Hemoglobina Baixa. Além disso os pacientes necessitam ir com frequência quinzenal ao serviço médico para realizar a infusão do medicamento o que o gera um impacto grande para esses pacientes que por vezes necessitam percorrer grandes distâncias até o serviço de infusão e ainda muitos deles não conseguem trabalho pelo fato de necessitarem faltar com frequência para realizar a infusão. . Diante de tal situação acredito que as novas terapias devem ser incorporadas pois elas vão proporcionar um tratamento mais individualizado e completo aos pacientes. Acredito ainda que deveriam ser incorporados o Ravulizumabe em 1º linha de tratamento pois vai proporcionar um maior espaçamento entre as infusões e a Ipatacopana como 2º linha pois está proporciona um controle maior da HPN oferecendo eficiência, segurança e comodidade posologica.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a iptacopana deva ser incorporada porque as alternativas atuais não conseguem atender plenamente as necessidades dos pacientes., Dados mostram que a maioria continua anêmica, muitos dependendo da transfusão e relatam fadiga mesmo em tratamento. Além disto, os deslocamentos necessários para infusão atingem uma média de 87,5km em todo o país, gerando transtornos para os pacientes.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana , Positivo e facilidades: A iptacopana age de forma diferenciada por inibir o fator B, o que permite controle da hemólise intra e extra vascular., Não se constatou efeitos adversos., Taxa de hemólise de escape bem menor que a dos inibidores de C5, Tratamento oral elimina desconforto causado por infusões , , Negativo e dificuldades: Ravulizumabe e Crovalimabe não controlam adequadamente a hemólise extra vascular por atuar na fase terminal do complemento., A Pegcetacopana apresentou casos graves de hemólise de escape , Nenhuma destas alternativas oferece a praticidade da administração oral	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hoje, a medicação oferecida (Eculizumabe) atende e salva vidas dos portadores de HPN. No entanto, por ser aplicada quinzenalmente, se torna sacrificante para o paciente que tem seus compromissos diários e precisa conciliar com as idas ao hospital. A cada 15 dias, esse paciente precisa deixar sua cidade, seu trabalho ou estudos, passando horas desse dia recebendo a medicação. Sabendo que as drogas em questão, que não estão incorporadas ao SUS, ofereceriam aos pacientes, qualidade de vida por serem administradas com um tempo maior de intervalo, ou até por vias de administração mais simples. Assim também, geraria para o Estado, uma grande economia por paciente nas custas hospitalares.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Não tive contato, porém li artigos a respeito e fui informada pelo hematologista, que as drogas em questão são inovadoras, comprovadamente seguras e garantem uma qualidade de vida ao paciente., Negativo: Sem aspectos negativos, apenas positivos ao me ver e pela experiência do hematologista especializado em HPN.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que a iptacopana deve ser incorporada porque as alternativas atuais são incapazes de atender as necessidades dos pacientes com HPN., Dados mostram que a maioria continua anêmica, muitos dependendo de transfusão e relatando fadiga. Além disso os deslocamentos necessários para infusão geram impacto na vida dos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: A inibição do fator B permite atuação sobre mecanismos não controlados por inibidores de C5., Estudos clínicos demonstraram ausência de infecções graves, óbitos, eventos graves de hemólise de escape e descontinuações por eventos adversos., Taxa de hemólise de escape muito menor em comparação com inibidores de C5., Administração oral representa um diferencial importante em termos de conveniência., Negativo e dificuldades: Ravulizumabe e crovalimabe não controlam adequadamente a hemólise extravascular por atuarem apenas na fase terminal do complemento., A pegcetacopana apresentou casos graves de hemólise de escape., Nenhuma dessas alternativas apresenta a praticidade da administração oral.	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:
Pessoa com a condição de saúde 30/06/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora de HPN desde os 28 anos de idade, sempre com muitos riscos de morte por trombose, anemia, fadiga, infecção nas vias respiratórias superiores e problemas de transfusão. Somente agora nos 3 últimos anos tive acesso ao medicamento Soliris que realmente fez a diferença na minha vida, ou seja, tratamento que realmente me tirou da linha de risco. Estou muito esperançosa pelas novas possibilidades de tratamento pelo SUS que podem ampliar as nossas chances de melhorar a condição física de saúde, mas também diminuir as idas e vindas quinzenalmente para tomar medicamento.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe (Soliris), Positivo e facilidades: Somente agora nos 3 últimos anos tive acesso ao medicamento que realmente faz a diferença na minha vida, ou seja, tratamento que realmente me tiraram da linha de risco. Hoje não tenho mais infecções por sinusite. Quando pego gripe, é somente um resfriado e não evolui. Não tenho mais tosse. Ainda tenho fadiga, mas minha qualidade de vida melhorou muito, mas muito mesmo. Me sinto muito mais forte e resistente às doenças do tipo infecção., Negativo e dificuldades: Devo dizer que as idas quinzenalmente para a infusão, as consultas bimestrais ou trimestrais e todo mês a autorização na farmácia de auto custo, além de demandar tempo eu fico muito exposta aos outros pacientes e acompanhantes com todo os níveis de doenças, gripes, pneumonia, etc. Estou envelhecendo e fico muito preocupada com essa exposição nos dias que estou tomando o medicamento que eu tomo quinzenalmente. Todos os pacientes sentiram-se muito desamparados porque o Ravulizumabe não foi autorizado para ser aplicado no SUS. Todos estavam contando em organizarem as suas vidas e gastarem menos recursos nos deslocamentos quinzenais.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Baseada em dados científicos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ótima medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Doença rara, mas fatal, onde nao tratamento adequado e nao adesão do pacte apresenta alta Mortalidade	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Sao necessários para alcançar as vias de complemento adequadamente , Negativo e dificuldades: Nao ha	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhorou qualidade de vida, Negativo: Nao ha	4ª - Administração da medicacao, Periodicidade	5ª - Diminuição de gastos com locomoção, maior adesão ao tratamento e com menor risco de eventos.complicadorws

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 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação de novas opções terapêuticas para pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) no SUS. Trata-se de uma doença rara, grave e potencialmente fatal, caracterizada por hemólise crônica, trombose e importante comprometimento da qualidade de vida. Embora existam tratamentos disponíveis, ainda há pacientes que apresentam resposta subótima, hemólise residual, necessidade de transfusões e persistência de sintomas., , A incorporação de ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana amplia as possibilidades terapêuticas, permitindo uma abordagem mais individualizada conforme as características clínicas de cada paciente. As evidências disponíveis demonstram eficácia no controle da hemólise, melhora dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões, diminuição da fadiga e melhora da qualidade de vida., Além do benefício clínico, oferecer diferentes mecanismos de ação e esquemas de administração pode favorecer a adesão ao tratamento, reduzir a carga assistencial e contribuir para melhores desfechos em longo prazo. Em doenças raras, a disponibilidade de alternativas terapêuticas é fundamental para atender pacientes que não alcançam controle adequado com uma única estratégia., Dessa forma, considero que a incorporação dessas tecnologias representa um avanço importante para a assistência às pessoas com HPN no SUS, promovendo maior equidade no acesso à inovação e ampliando as oportunidades de controle da doença e de melhora da qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Fabhulta – Estudo APPLY-PNH (Fase III), , * População: pacientes com HPN que permaneciam anêmicos apesar do tratamento com inibidores de C5 (eculizumabe ou ravulizumabe)., * Desenho: estudo randomizado, aberto, comparando a troca para iptacopan versus manutenção do tratamento anti-C5., * Principais resultados:, * Aumento significativo da hemoglobina., * Redução da necessidade de transfusões., * Melhor controle da hemólise intravascular e extravascular., * Melhora da fadiga e da qualidade de vida., * Perfil de segurança favorável.	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 com a condição de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu concordo totalmente que essa tecnologia deve ser incorporada ao SUS., , Sou paciente e atualmente utilizo o ravulizumabe. Antes dele, fiz tratamento por muitos anos com o eculizumabe. Posso afirmar, pela minha própria experiência, que esses medicamentos transformaram completamente minha qualidade de vida., , Graças ao tratamento, consigo trabalhar, estudar, fazer planos e levar uma vida praticamente normal. Sem ele, minha rotina seria marcada por limitações, internações e pela constante preocupação com a evolução da doença., , A incorporação dessa tecnologia ao SUS representa muito mais do que o acesso a um medicamento: significa oferecer dignidade, autonomia e a oportunidade de que outras pessoas com a mesma doença possam viver, estudar, trabalhar e conviver com suas famílias de forma plena., , Todos os pacientes que dependem desse tratamento deveriam ter acesso a essa opção terapêutica, independentemente de sua condição financeira. Garantir esse acesso é investir em qualidade de vida, prevenção de complicações e na possibilidade de que essas pessoas tenham uma vida produtiva e com esperança.	2ª - Sim, Qual: Faço uso atualmente do Ravulizumabe. , Positivo e facilidades: Antes de iniciar o tratamento, minha doença era muito grave e comprometia completamente minha qualidade de vida. Eu precisava fazer transfusões de sangue uma ou duas vezes por mês, já necessitei de transfusões de plaquetas e fui internado diversas vezes por complicações da doença., , Sentia um cansaço intenso, fraqueza constante e não conseguia levar uma vida normal. Não tinha condições de trabalhar, estudar ou fazer planos para o futuro, pois vivia preocupado com a próxima crise ou internação., , Após iniciar o tratamento, minha vida mudou completamente. As transfusões deixaram de ser necessárias, as internações praticamente desapareceram e recuperei minha autonomia. Hoje consigo trabalhar, estudar, realizar minhas atividades diárias e ter qualidade de vida. O tratamento me devolveu a esperança e a possibilidade de viver com dignidade., , Por isso, acredito que essa tecnologia deve estar disponível para todos os pacientes que dela necessitam, pois ela não apenas controla a doença, mas transforma vidas., Negativo e dificuldades: Nenhum ponto negativo.	3ª - Sim, Qual: Fiz uso por anos do Eculizumabe (Soliris), Positivo: Os aspectos positivos são os mesmos que do Ravulizumabe , o que muda é que com o ravulizumabe tenho mais autonomia, devido ao espaçamento de tempo para a infusão. , Negativo: Nenhum aspecto negativo.	4ª - Anexei abaixo meu último exame com meu hemograma. Pode-se notar o nível alto da hemoglobina e plaquetas, ou seja, quase em níveis normais.	5ª - Não
Interessado no tema 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como 1ª linha creio que deva ser incorporado Ravulizumabe, pois mostrou resultados parecido com Eculizumabe, porém com posologia mais cômoda. , 2ª Preciso urgente de uma 2ª linha e creio que a droga deve ser Iptacopana, pois mostrou excelentes resultados na Normalização da hemoglobina, além de ter um, Números de 94,8% de Independência transfusional e Normalização da hemoglobina enquanto o pegcivitavopana não te como objetivo do a normalização e sim estabilização o que faz com que o paciente continue tendo hemólise extravascular. , Iptacopana inibe o fator B ao contrário de pegcivitacopana que inibe C3, sendo que este é difícil obter uma inibição suficiente para não ter a hemólise extravascular, além de ser uma posologia complexa com bomba de infusão. , Já o iptaconana além de apresentar excelentes resultados no bloqueio proximal ele é uma medicação ORAL o que faz toda diferença na adesão e qualidade e de vida dos pacientes. .	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:
Gestores do SUS 01/07/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Gostei dessa tecnologia parabéns	2ª - Sim, Qual: Nenhuma , Positivo e facilidades: Vou saber agora , Negativo e dificuldades: Vou saber agora	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com a convivência vemos o quanto é sofrido a vida das pessoas que convivem com esta doença. Sendo ainda mais difícil para as pessoas de baixa renda.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris (eculizumabe), por infusão, Positivo: Positivos após o procedimento, menos anemia, menos transfusões, mais qualidade de vida, devido o procedimento ajudar a segurar o LDH mantendo neste período sem transbordar., Negativo: Um ponto seria que mesmo que a doença não fica controlada por completo (escape de hemólise, sintomas no dia a dia) que piora com infecções, e a dependência de infusões frequentes (deslocamento, tempo e custo). por isso a importância de mais opções no SUS	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha irmã fez uso do medicamento e a qualidade de vida dela melhorou absurdamente. Antes tinha que fazer transfusões de sangue todos os meses. Já faz anos que não precisa mais com o uso do medicamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todas as possibilidades de cura e viabilização da qualidade de vida do paciente, devem ser considerados. Dar chances de vida e sobrevivência, dar oportunidades ao paciente é direito constitucional e deve ser garantido pelo Estado.	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:
Gestores do SUS 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de inibidores de complemento terminais de meia vida longa (Crovalimabe ou Ravulizumabe) só faz sentido se demonstrado custo-efetivo no contexto do SUS. Por outro lado, acreditamos que incorporação da Iptacopana, como tratamento de segunda linha, trará benefícios para os pacientes com resposta insatisfatória aos inibidores terminais.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Iptacopana. Experiência de vida real em nosso centro, Atualmente, nosso centro presta assistência a 19 pacientes com diagnóstico de HPN hemolítica. Destes, 18 pacientes iniciaram tratamento com o anti-C5 Eculizumabe (um dos pacientes não quis realizar o tratamento por opção própria), sendo que cerca de 13% apresentaram resposta menor e 27% resposta parcial, com os demais pacientes apresentando resposta boa ou completa (segundo critérios do EBMT), nenhum deles com eventos adversos importantes. Através do programa de acesso compassivo da Novartis, pudemos trocar o tratamento de três pacientes com resposta parcial 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 de dois anos em um dos pacientes, causada por um quadro infeccioso., Positivo e facilidades: vide relatório anexo, Negativo e dificuldades: vide relatório anexo	3ª - Não	4ª - vide relatório anexo	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As 4 medicações em avaliação têm avaliação de eficácia comprovada em diversos Ensaaios Clínicos. Oferecem diversas vias de aplicação (oral e subcutânea) e ofereciam a possibilidade de lidar com diversas necessidades não atendidas com o Eculizumabe (como: maior distância entre as aplicações endovenosas para pacientes que residam longe de Centros de Infusão credenciados, diminuição do risco de hemólise escape (inibição de complemento é mais estável e profunda com Ravulizumabe do que com Eculizumabe), possibilidade de autoaplicação pela via subcutânea (Crovalimabe), inibição da hemólise extravascular por deposição de C3 com os inibidores de C5 (iptacopana, pegcetacoplane), tratamento de pacientes com polimorfismo de C5 e ainda custo-efetividade favorável (menos vindas ao Serviço de Saúde para aplicação ou por complicações com uso de Ravulizumabe)	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Eficiência evidente (inibição de complemento mais estável e duradoura do que com Eculizumabe - paciente com escape farmacocinético com eculizumabe com necessidade de aplicações de 12/12 dias ao invés de 14/14 dias obteve ótimo controle da hemólise com Ravulizumabe dose padrão 8/8 semanas, controle eficaz de hemólise, redução importante da incidência de eventos tromboembólicos), posologia favorável (aplicação endovenosa a cada 8 semanas, ao invés de 2/2 semanas com Eculizumabe) que favorece o tratamento de muitos pacientes que residem muito longe do Centro de Infusão, poucos efeitos adversos associadas à medicação, , Negativo e dificuldades: Sem pontos negativos para declarar.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle da hemólise e de eventos tromboembólicos, redução de fadiga em grande parte dos pacientes, Negativo: Possibilidade de escape farmacocinético e de escape farmacodinâmico, intervalo curto entre as aplicações com impacto na qualidade e planejamento de vida, dificuldade de acesso venoso em alguns pacientes dificulta sua aplicação a cada 14 dias,	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 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apoio a incorporação desses novos tratamentos ao SUS. A HPN é uma doença rara e grave que impacta muito a qualidade de vida. Mesmo com o tratamento disponível, muitos pacientes continuam apresentando hemólise, cansaço intenso, dor e risco de complicações, especialmente durante infecções. Ter mais opções terapêuticas significa oferecer um tratamento mais adequado para diferentes pacientes, reduzindo internações, transfusões e melhorando a autonomia e a qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: (menos anemia, menos transfusões, mais, qualidade de vida), que ele ajuda a segurar o LDH (marcador da hemólise) e me manteve, esses anos todos sem trombose, e que dá pra perceber quando o efeito está passando,, perto da próxima , Negativo: negativos: que mesmo com ele a doença não fica controlada por completo, (escape de hemólise, sintomas no dia a dia), que piora com infecções, e a dependência de, infusões frequentes (deslocamento, tempo, custo) — por isso a importância de mais, opções no SUS.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que deveria ser incorporada.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As medicacoes sugeridas sao oportunidade de um tratamento curativo e que devolve qualidade de vida e resolucao efetiva da doenca. , Compreender que um tratamento caro e efetivo é uma alternativa melhor do que um tratamento barato e insuficiente, considerando a produtividade do paciente, da familia e evita os custos associados e indiretos de um tratamento ineficaz.	2ª - Sim, Qual: ravulizumabe, Positivo e facilidades: a rapida resposta clinica e um desfecho favoravel em um pcte que sem esta droga, poderia evoluir com desfecho tragico. , Negativo e dificuldades: custo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Beneficio de custo e comodidade posologica	2ª - Sim, Qual: Ravalizumab - aula, Positivo e facilidades: Beneficio de custo e comodidade posologica, Negativo e dificuldades: Nao vejo	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 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como farmacêutico atuante em um centro de referência para doenças raras, contribuo com base na prática assistencial no manejo de pacientes com Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN). , Atualmente, o SUS dispõe do Eculizumabe, entretanto, a incorporação do Ravulizumabe representa um avanço relevante., O Ravulizumabe apresenta modificações estruturais que prolongam significativamente sua meia-vida, permitindo intervalos de administração mais espaçados (de 2 para 8 semanas), sem prejuízo de eficácia. Essa característica garante inibição mais sustentada e estável do complemento terminal, reduzindo a variabilidade farmacocinética observada com o Eculizumabe e, conseqüentemente, diminuindo o risco de hemólise intravascular e suas complicações clínicas e assistenciais., Estudos clínicos robustos demonstram não inferioridade em eficácia, controle laboratorial e redução de eventos da doença. Além disso, seu perfil farmacocinético mais previsível contribui para maior segurança terapêutica e padronização do cuidado., Do ponto de vista estratégico e operacional, a menor frequência de infusões reduz eventos infusionais e complicações relacionadas ao acesso venoso, além de diminuir a necessidade de deslocamento do paciente ao centro de infusão. Isso favorece a adesão, a persistência terapêutica e a continuidade do tratamento, impactando positivamente os desfechos clínicos e o uso de recursos., Adicionalmente, a simplificação do regime terapêutico pode reduzir custos indiretos relacionados a intercorrências, hospitalizações e intervenções adicionais, contribuindo para o descongestionamento dos serviços de saúde., Dessa forma, o Ravulizumabe configura-se não apenas como alternativa equivalente, mas como uma evolução terapêutica com potencial de otimizar resultados clínicos e a eficiência assistencial no SUS.	2ª - Sim, Qual: Tratamento com Ravulizumabe., Positivo e facilidades: Do ponto de vista de gestão, os pontos positivos com o uso do Ravulizumabe se destaca a redução do custo operacional direto e indiretos, Otimização das agendas e do fluxo assistencial, previsibilidade do orçamento e melhoria social significativa na vida do paciente, gerando menor impacto social e maior adesão ao tratamento., , Do aspecto técnico, o pontos positivos são por ter uma meia-vida bem mais prolongada que a terapia disponível no momento, menor risco de hemólise, não inferioridade, menor exposição dos pacientes a infusões e melhor adesão e persistência terapêutica., Negativo e dificuldades: Não houve nenhum aspecto negativo.	3ª - Sim, Qual: Experiência com Exulizumabe., Positivo: O grande ponto positivo com o Eculizumabe, é apesar de todos pontos já descritos com inferioridade ao Ravulizumabe, é o único tratamento disponível no SUS no momento, oque não deixa o paciente portadores de HPN desassistidos., Negativo: Os aspectos negativos é principalmente a necessidade de infusões muito próximas, e a flutuações nos níveis séricos, causando risco de hemólise, eventos esses associados a queda da concentração do fármaco entre as doses administradas.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 01/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento com imubomodulares são capazes de mudar por completo a qualidade de vida dos 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:
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana para o tratamento da hemoglobínúria paroxística noturna (HPN), por entender que a disponibilidade de diferentes mecanismos de ação representa um avanço importante para uma doença rara, grave e potencialmente fatal., , Embora os inibidores do complemento tenham transformado o tratamento da HPN, a experiência clínica demonstra que nem todos os pacientes apresentam controle completo da doença com uma única estratégia terapêutica. Ainda existem casos de hemólise persistente, necessidade recorrente de transfusões, fadiga incapacitante, eventos trombóticos e impacto significativo na qualidade de vida. Dessa forma, ampliar o arsenal terapêutico permite que o tratamento seja individualizado conforme as características e a resposta de cada paciente., , Outro aspecto é que essas terapias atuam em diferentes etapas da cascata do complemento, oferecendo alternativas para pacientes que permanecem sintomáticos ou apresentam resposta insuficiente ao tratamento previamente instituído. Essa diversidade de opções aumenta a possibilidade de controle efetivo da hemólise, melhora dos níveis de hemoglobina, redução da dependência transfusional e prevenção de complicações graves associadas à doença., , Também considero importante destacar que algumas dessas medicações apresentam esquemas de administração mais convenientes, reduzindo a frequência de infusões ou possibilitando tratamento por via subcutânea ou oral. Essa característica pode diminuir o impacto do tratamento na rotina dos pacientes, favorecer a adesão terapêutica e proporcionar maior autonomia, especialmente para pessoas que necessitam de acompanhamento contínuo ao longo de toda a vida., , Além dos benefícios individuais, um controle mais eficaz da doença pode reduzir internações, procedimentos transfusionais, complicações trombóticas e outras intervenções de alta complexidade, contribuindo para uma utilização mais racional dos recursos do	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE , Positivo: Na minha experiência clínica, o eculizumabe representou um avanço importante no tratamento da hemoglobínúria paroxística noturna. Em um dos pacientes que acompanhei, observamos inicialmente um controle significativo da doença, com redução da hemólise, melhora dos parâmetros laboratoriais e da qualidade de vida. Esse período permitiu maior estabilidade clínica e diminuição das complicações relacionadas à HPN., Negativo: Entretanto, com a evolução do acompanhamento, o paciente passou a apresentar perda da resposta terapêutica. Houve recorrência da hemólise, seguida pelo desenvolvimento de um evento trombótico, uma das complicações mais graves da doença. Apesar de todas as medidas terapêuticas adotadas, o quadro evoluiu de forma desfavorável, culminando no óbito. Essa experiência reforçou, na prática, que nem todos os pacientes mantêm resposta sustentada ao bloqueio de C5 e que é fundamental dispor de alternativas terapêuticas para aqueles que apresentam resposta inadequada ou perda de eficácia ao longo do tempo., , Outro aspecto que impactou profundamente esse paciente foi a logística do tratamento. Por residir no interior, ele precisava percorrer longas distâncias até um centro de referência para receber as infusões intravenosas. Essas viagens frequentes consumiam praticamente um dia inteiro, geravam desgaste físico, custos indiretos e dificultavam a manutenção de suas atividades profissionais e de sua rotina familiar. O tratamento, embora essencial, acabava impondo uma limitação importante à sua qualidade de vida., , Essa vivência reforça a necessidade de disponibilizar novas opções terapêuticas, incluindo medicamentos com diferentes mecanismos de ação e formas de administração mais convenientes, permitindo uma abordagem mais individualizada e reduzindo o impacto que o tratamento exerce sobre a vida dos pacientes.,	4ª - Não	5ª - Sim. Considero que os estudos econômicos devem contemplar não apenas o custo direto de aquisição dos medicamentos, mas também o impacto global da doença e do tratamento sobre o paciente e sobre o sistema de saúde., , Na prática clínica, pacientes com HPN frequentemente necessitam de transfusões, internações, tratamento de complicações trombóticas, acompanhamento multidisciplinar e deslocamentos frequentes para centros especializados. Esses custos, muitas vezes indiretos, representam importante ônus para o sistema de saúde e para as famílias, mas nem sempre são plenamente incorporados às análises econômicas., , Além disso, a perda de produtividade é um aspecto relevante. Muitos pacientes deixam de trabalhar ou reduzem significativamente suas atividades devido à própria doença e à necessidade de comparecer periodicamente aos serviços de saúde para infusões intravenosas. Para aqueles que residem longe dos centros de tratamento, as longas viagens geram custos com transporte, alimentação, hospedagem e afastamento do trabalho, comprometendo sua renda e qualidade 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:
					vida., , Também é importante considerar que pacientes com resposta inadequada ou perda de resposta ao tratamento podem evoluir com hemólise persistente, trombozes, insuficiência de órgãos e necessidade de hospitalizações, eventos que elevam substancialmente os custos assistenciais. A disponibilidade de terapias com diferentes mecanismos de ação e vias de administração pode reduzir essas complicações e permitir um controle mais efetivo da doença em um número maior de pacientes., , Dessa forma, entendo que uma avaliação econômica abrangente deve incorporar não apenas o preço do medicamento, mas também os potenciais benefícios decorrentes da redução de transfusões, internações, eventos trombóticos, deslocamentos frequentes, perda de produtividade e impacto sobre a qualidade de vida. Essa análise mais ampla reflete de maneira mais fiel o valor que essas tecnologias podem oferecer aos paciente

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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Em arquivo em anexo deixo minha contribuição a incorporação de novas tecnologias para tratamento de HPN no SUS, porém, em resumo, considerando a realidade do Estado do Pará e pensando nas demais regiões do País, dispensação e armazenamento de medicamentos, deslocamento geográfico do paciente com distâncias enormes em todas as regiões brasileiras, disponibilidade limitada de leitos para atendimento, dados de eficácia em estudos pivotais e dados de vida real e comodidade posológica, indico o uso em 1ª linha do medicamento RAVULIZUMABE e, como tratamento de 2ª linha, o medicamento IPTACOPANA. , Peço encarecidamente a leitura atenta do arquivo pdf em anexo contendo meus argumentos científicos, além de experiências pessoais com ambos medicamentos.	2ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, RAVULIZUMABE, IPTACOPANA, , Positivo e facilidades: POSOLOGIA, MAIOR EFICÁCIA, MECANISMO DE AÇÃO, MELHORA DE QUALIDADE DE VIDA, CONTROLE DE SINTOMAS, MENOR VINDAS AO HEMOCENTRO, BAIXOS ÍNDICES DE HEMOLISE DE ESCAPE, Negativo e dificuldades: NECESSIDADE DE MAIOR OBSERVAÇÃO ATENTA A ADESAO DO PACIENTE, REFORÇO CONTINUO SOBRE ESTE ASPECTO, PORÉM, TAIS ASPECTOS NÃO SÃO INERENTES SOMENTE A ESTES MEDICAMENTOS MAS DE FATO A TODO MEDICAMENTO PARA QUALQUER PATOLOGIA, EM GERAL.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que deve ser incorporada ao SUS a fim de garantir o direito à saúde das pessoas com condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Entendo que o Estado tem a obrigação de fazer tudo possível para a melhoria do sistema público de saúde, inclusive, implementar e custear novos programas e estudos científicos para tal. O Estado trabalha para sua população, não o contrário.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação da(s) tecnologia(s) em avaliação, desde que comprovadas sua segurança, eficácia e benefício clínico. No caso da HPN, trata-se de uma doença rara, grave e de acompanhamento contínuo, de modo que o acesso pelo SUS pode reduzir complicações, internações e riscos à vida, garantindo tratamento adequado, equidade e efetivação do direito à saúde.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou médico hematologista e atuo no SUS na UNACON do município de Juazeiro-BA. A unidade é referência para todo o norte da BA e sertão de PE para doenças hematológicas. Atualmente faço o ambulatório de falência medular da instituição e tenho 7 pacientes em tratamento com Eculizumabe. Cinco desses 7 pacientes são moradores de outros municípios que variam de distância entre 50km (Remanso) até 360km (Paulo Afonso), Todos eles infundem a medicação a cada 15 dias na própria unidade. Dois desses 7 pacientes encontram-se no momento com indicação de mudança de terapia por quadro de hemólise refratária. Pela ausência da disponibilidade dessa, estão em uso de doses maiores do Eculizumabe como tentativa para melhora clínica e laboratorial. , Considerando, portanto, esses dois aspectos: facilidade posológica para pacientes de municípios distantes, e perda de resposta ao Eculizumabe, forneço minha opinião para cada droga individualmente: , - Ravulizumabe: excelente benefício logístico por ser de infusões a cada 60 dias, benefício clínico similar ao Eculizumabe, mas como esse pode ter hemólise de escape extravascular. Opinião: Incorporação em opção ou em substituição ao Eculizumabe, nesse segundo caso o Eculizumabe seria mantido para usos eventuais de escape e para gestantes (único validado)., - Crovalimabe: administração subcutânea com dispositivo acoplado, de difícil manejo para a população em geral, benefício clínico e desvantagens similares ao Eculizumabe e Ravulizumabe. Opinião: Desfavorável a incorporação por não apresentar benefício diferencial frente aos outros. , - Pegcetacoplan: infusão subcutânea domiciliar. Benefício clínico superior aos demais por cobrir hemólise de escape intra e extravascular. Opinião: favorável a incorporação em segunda linha., - Iptacopana: excelente comodidade posológica por ser oral, em domicílio, excelente benefício clínico por cobrir hemólise intra e extravascular. Opinião, favorável a incorporação em primeira linha.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Iptacopana , Positivo e facilidades: Eculizumabe: excelente resposta laboratorial, ótimo e seguro para manejo de escape com redução de intervalo e/ou aumento da dose, seguro para uso em gestantes, Ravulizumabe: excelente respota clínica e laboratorial, manejo posológico melhor por ser a cada 8 semanas, , Iptacopana: excelente qualidade de vida por ser oral, dispensa a necessidade de centros de infusões especializados, excelente resposta clínica com cobertura de hemólise intra e extravascular, dispensa a necessidade de centros de infusões especializados. , Negativo e dificuldades: Eculizumabe: vinda obrigatória do paciente ao serviço a cada 14 dias, necessidade de serviço de infusão especializado, atraso de dose devido a feriados etc, , Ravulizumabe: necessidade de serviço de infusão especializado, , Iptacopana: necessidade de maior engajamento individual do paciente para uso correto	3ª - Não	4ª - Os inibidores do complemento revolucionaram o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN), com evidências robustas para ravulizumabe, pegcetacoplan e iptacopan. O ravulizumabe, avaliado nos estudos pivotais 301 e 302 e em extensão de até seis anos, demonstrou controle duradouro da hemólise intravascular, manutenção sustentada de níveis baixos de LDH, redução do risco trombótico e perfil de segurança favorável, além da vantagem logística de infusões a cada oito semanas., , O pegcetacoplan teve sua eficácia demonstrada no estudo de fase III PEGASUS, que incluiu pacientes com anemia residual apesar do uso de eculizumabe. Comparado ao anti-C5, promoveu aumento médio da hemoglobina de 3,84 g/dL, maior independência transfusional (85% vs. 15%), maior taxa de normalização da hemoglobina (34,1% vs. 0%) e melhora significativa da fadiga. Esses resultados refletem seu mecanismo de ação, que inibe o componente C3 e controla tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular., , O iptacopan foi avaliado nos estudos de fase III APPLY-PNH e APPOINT-PNH. No APPLY-PNH, em pacientes previamente tratados com inibidores de C5, 82% alcançaram aumento da hemoglobina ?2 g/dL, comparado a 2% no grupo controle. Em ambos os estudos, observou-se melhora sustentada da hemoglobina, redução da hemólise, maior independência transfusional,	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:
				melhora da fadiga e baixa incidência de hemólise de escape, com manutenção dos benefícios por pelo menos 48 semanas. Como inibidor oral do fator B da via alternativa do complemento, o iptacopan oferece tratamento domiciliar com eficácia sobre a hemólise intra e extravascular, representando importante avanço terapêutico para pacientes com HPN., , Referências:, Kulasekararaj A, Brodsky R,et al, Ann Hematol. 2025 Jan, , Hillmen P et al. N Engl J Med. 2021, 384:1028-1037, , Peffault de Latour N Engl J Med. 2024 Mar,	
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O acesso à saúde de forma plena e integral já é previsto na nossa Constituição. Logo incorporação de tecnologias, serviços e medicamentos que venham proporcionar melhoria na qualidade de vida dos usuários SUS devem sim ser e estar incorporados ao plano de cuidado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessária para o fomento e desenvolvimento da saúde pública no país	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mais um avanço na saúde pública e benefícios à população	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vai ajudar bastante do dia a dia do paciente.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essencialidade do medicamento para quem possui essa doença rara.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação pode salvar e modificar positivamente vidas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Direito ao tratamento por todos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa incorporação ao SUS trará condições de vida de melhor qualidade de saúde ao portador de HPN e afastamento da necessidade do transplante de medula, procedimento de maior mortalidade e custo bastante elevado.	2ª - Sim, Qual: Tenho uma sobrinha atualmente em tratamento com uma das medicações da proposta de inclusão ao SUS. , Positivo e facilidades: Melhora significativa na qualidade de vida e profissional da minha sobrinha. , Negativo e dificuldades: A partida sem aspectos negativos que não sejam superáveis.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trazer mais qualidade de vida para o paciente e todos ao seu redor	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Sou portador da doença e já senti na pele o que a doença no seu estágio avançado pode causar., , Faço tratamento desde 2016 e o que sempre me deu esperança foi ter uma maior liberdade para poder realizar atividades que são normais para qualquer ser humano., , Hoje fico limitado a tirar umas férias por mais de 14 dias, já que preciso ir para o Hemopa de 15 em 15 dias. Já perdi oportunidades no emprego por conta de ficar ""preso"" a minha cidade., , A abertura de novos medicamentos irá facilitar essa rotina e garantir ainda mais qualidade de vida."	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Qualidade de vida., Negativo: Falta de liberdade de locomoção ou viagens por mais de 15 dias.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação necessária para saúde e qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito importante a incorporação ser realizada!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhoria de saúde a quem precisa	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada ao SUS para que assim alcance os melhores resultados nos pacientes que precisam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, PARABÉNS PELA INICIATIVA, TRARÁ MAIOR QUALIDADE DE VIDA AOS PORTADORES DA DOENÇA	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considerando a relevância do tema, bem como em se tratando do sistema unico de saúde, tal tecnologia deve acompanhar o escopo do sistema a fim de viabilizar melhorias nos tratamentos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muitas pessoas precisam dessa medicação como sobreviver com qualidade	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Entendo que a tecnologia deve ser incorporada ao SUS, pois pode contribuir para ampliar o acesso da população a um tratamento mais eficaz, seguro e de melhor qualidade. Além disso, sua incorporação tem potencial para promover maior equidade no atendimento, reduzir complicações decorrentes da doença e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. Desde que haja comprovação de eficácia, segurança e custo-benefício, considero que sua disponibilização no SUS representa um importante avanço para a saúde pública.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente é muito importante e contribui demais	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença ultra-rara, mas com grande impacto funcional para o paciente com tal diagnóstico. A fisiopatologia consistente na mutação do gene PIGA, que em condições fisiológicas produz uma glicoproteína de membrana que possui ação de ancoragem de diversas proteínas na membrana celular, dentre as quais possuem a função de proteger as células do sistema hematopoiético da destruição pelo sistema complemento. O tratamento atualmente preconizado consiste em inibir a ação do complemento terminal (fração C5), e em casos de hemólise não controlada troca ou associação de um inibidor de complemento proximal ou da via alternativa do complemento. No SUS, atualmente há disponível o tratamento com inibidor de C5 ECULIZUMAB, que se mostrou um paradigma no tratamento da HPN. Entretanto, sua posologia quinzenal na fase de manutenção e maiores taxas de hemólise de escape farmacocinética aumentam o risco de complicações em determinadas situações. O medicamento ravulizumab possui uma posologia a cada 8 semanas em sua fase de manutenção, o que reduz os custos relacionados a ida do paciente ao centro de infusão, além de estar associado a menores taxas de hemólise de escape farmacocinética, por possuir nível sérico mais estável quando comparado ao eculizumab. Entretanto, o uso de inibidores de complemento terminal está associado a hemólise extravascular por opsonização, e para estes pacientes, incluindo a hemólise intravascular farmacodinâmica, a troca para inibidores de complemento proximal ou surge como opção terapêutica com objetivo de reduzir a hemólise, aumentar taxa de independência transfusional e reduzir o otimizar a qualidade de vida do paciente (observado através de redução do FACIT-Score). Nesse cenário, o ipatocopan se mostra como uma opção segura, com boas respostas, além da comodidade posológica (medicação via oral, duas vezes por dia, 1 comprimido/dose).	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Algum grau de resposta ainda nas doses de indução (primeiras quatro semanas), com melhora dos sintomas., Negativo: Posologia a cada 2 semanas pode prejudicar o tratamento principalmente para pacientes que moram longe do centro de infusão designado, além de impacto na qualidade de vida do paciente (faltas recorrentes ao trabalho, imagem social distorcida pelas pessoas estranhas, tempo no centro de infusão de 1-2 horas em cada aplicação, uma vez que a medicação é intravenosa), além das maiores taxas de hemólise de escape intravascular farmacocinética.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivendo com uma pessoa que delende desse medicamento pra viver, vejo o quanto é primordial a incorporação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Com a incorporação os SUS, irá beneficiar a qualidade de vida dos pacientes que são portadores dessa doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devem ser incorporadas no SUS para ganho de qualidade de vida das pessoas portadoras da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Além de ser um direito fundamental garantido pela nossa constituição, dará dignidade as pessoa que vivem nessa condição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Que ampliar as opções no SUS pode trazer mais segurança, independência e qualidade de, vida para quem vive com HPN., , muitos pacientes perdem dias de trabalho por causa da doença, dos sintomas e das, idas ao tratamento., , além disso, os deslocamentos geram custo, desgaste físico, necessidade de acompanhante e, perda de rotina.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe Soliris, Positivo: melhora que sentiu (menos anemia, menos transfusões, mais, qualidade de vida), que ele ajuda a segurar o LDH (marcador da hemólise) e me manteve, esses anos todos sem trombose, e que dá pra perceber quando o efeito está passando,, perto da próxima infusão, Negativo: mesmo com ele a doença não fica controlada por completo, (escape de hemólise, sintomas no dia a dia), que piora com infecções, e a dependência de, infusões frequentes (deslocamento, tempo, custo) — por isso a importância de mais, opções no SUS.	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 com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente faço uso do Eculizumabe que é necessária a infusão a cada 15 dias, ao incorporar o Ravulizumabe ao sus teremos a possibilidade de ter infusões apenas a cada 8 semanas, o que diminui bastante o custo de deslocamento, a quantidade de tempo que se precisa passar no hospital fazendo com que tenhamos mais flexibilidade resolutiva para com as tarefas do dia a dia, por exemplo para quem trabalha ou tem mais dificuldade de locomoção seja por residir longe do hospital onde trata, seja pela dificuldade de mobilidade devido a HPN ou mesmo por conta de custo financeiro., Além disso é um processo cansativo onde o paciente fica horas no hospital pois tem todo um trâmite de pedido, preparo, infusão e observação durante o tratamento., Tendo a possibilidade de ir menos vezes ao hospital devido ao tratamento não exigir uma constante recente manutenção é uma questão de melhora na qualidade de vida como um todo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, tratamento quinzenal a aproximadamente 10 anos, Positivo: Melhora na condição, pois diminui consideravelmente os sintomas causados pela HPN, Negativo: Recorrência de infusões a cada 15 dias, atrapalha nas tarefas do dia a dia para quem trabalha, é cansativo, para alguns pacientes é um processo mais oneroso em tempo e dinheiro devido a residir longe do local de tratamento	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acompanhando a condição dos pacientes com a patologia, vejo um grande ganho pela sociedade, ainda mais por ver que o diagnóstico muitas das vezes são tardios. È de suma importância ser incorporado ao SUS para que os pacientes tenham mais qualidade de vida.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Melhora clínica, dignidade e qualidade de vida a paciente., Negativo e dificuldades: Não obtive.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe., Positivo: Melhora clínica e qualidade de vida., Negativo: Não obtive.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Em especial o Ravulizumabe pode trazer melhor qualidade de vida aqueles que possuem HPN. As infusões realizadas a cada 8 semanas, melhoraria o dia a dia dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris (Eculizumabe), Positivo: Diminuição importante da hemolise, Melhora da anemia e sintomas causados pelo hpn , Redução do risco de trombose , Negativo: Com o Soliris as infusões sao realizas a cada 14 dias em centros de infusão. A locomoção frequente para as infusões acaba prejudicando pacientes que precisam trabalhar, pois perdem dias de trabalho ou acabam nao podendo trabalhar devido a essa rotina.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável a incorporação do ravulizumabe e crovalimabe para pacientes em primeira linha de tratamento, considerando as facilidades de administração e posologia quando comparados ao eculizumabe, o que vai trazer mais praticidade para os pacientes., Além disso, sou favorável a incorporação de pegcetacopana e iptacopana para pacientes em segunda linha de tratamento. Quando comparado as duas medicações, o iptacopana tem a facilidade de ser uma medicação via oral. Apesar de não haver estudos comparativos entre as duas medicações, o iptacopana já demonstrou normalização da hemoglobina e possui a vantagem de não necessitar de bomba de infusão.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Houve melhora significativa da hemólise e da anemia., Negativo e dificuldades: Apesar de ser uma medicação revolucionária no cenário de pacientes HPN, possui algumas limitações:, A maioria dos pacientes apresenta melhora da anemia, mas não há normalização da hemoglobina., Além disso, a maior limitação acontece devido a distância de onde os pacientes residem para os grandes centros, onde ocorre a infusão da medicação. Como os pacientes precisam se deslocar (as vezes até mais de 200km para o grande centro) com certa periodicidade (15 dias), muitos pacientes faltam e acabam adiando a infusão da medicação, o que atrapalha a eficácia do tratamento. Além do mais, essa periodicidade influencia negativamente na qualidade de vida do paciente, atrapalhando sua agenda, seu trabalho, seus planos, etc, já que a cada 15 dias precisam se deslocar para o centro e permanecer durante um turno realizando a infusão., Outra limitação que impacta negativamente na minha experiência é a necessidade frequente de agendamento das infusões dos nossos pacientes, o que exige logística de cadeira disponível, bomba de infusão, profissionais treinados, sendo que atendemos um volume grande de pacientes com as mais variadas patologias e necessidades terapêuticas distintas.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todo e qualquer medicamento que venha para somar e dar melhor qualidade de vida para as pessoas deve ser integrado ao sistema do 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:
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença ultrarrara, associada a complicações graves que comprometem tanto a saúde quanto a qualidade de vida dos pacientes. Entre suas principais complicações, destacam-se as trombozes, que representam uma importante causa de morbimortalidade e frequentemente resultam em internações prolongadas e de alto custo para o sistema público de saúde., Além disso, muitos pacientes apresentam anemia, condição que pode levar à necessidade de transfusões sanguíneas recorrentes. Embora os avanços tecnológicos tenham tornado o processo transfusional cada vez mais seguro, ele ainda não é isento de riscos. Entre as possíveis complicações estão as reações transfusionais e a transmissão de doenças pelo sangue. Dessa forma, a dependência transfusional também contribui para o aumento da carga clínica, econômica e assistencial associada à HPN.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Sou médica responsável pelo acompanhamento de pacientes com HPN e, em nosso serviço, realizamos o seguimento clínico e a administração de eculizumabe. A introdução do eculizumabe representou um marco no tratamento da HPN, promovendo melhora na sobrevida, No entanto, como ocorre com qualquer terapia, sua eficácia não é uniforme para todos os indivíduos., Na prática clínica, acompanhamos pacientes que não apresentaram reposta adequada ao medicamento, mantendo anemia persistente e episódios de hemólise de escape ao longo do ano, o que impacta negativamente sua condição clínica e qualidade de vida. Esses pacientes podem continuar necessitando de transfusões sanguíneas, acompanhamento mais frequente e, em alguns casos, hospitalizações decorrentes das complicações da doença., Além dos aspectos clínicos, é importante considerar o impacto social do tratamento. O esquema terapêutico com eculizumabe exige infusões intravenosas a cada 14 dias em um centro especializado. Essa necessidade de deslocamento frequente implica ausência do trabalho, perda de produtividade e, para muitos pacientes, redução da renda mensal., Positivo: A disponibilidade de novas tecnologias terapêuticas é fundamental, pois, além de ampliar as opções de tratamento em relação à posologia e à via de administração, algumas delas atuam por meio do bloqueio proximal do sistema complemento. Esse mecanismo favorece melhores desfechos clínicos em pacientes que apresentam resposta incompleta aos inibidores do complemento terminal., A incorporação dessas terapias também permite maior individualização do tratamento, possibilitando a escolha da estratégia mais adequada de acordo com as características clínicas, a resposta terapêutica, as preferências e as necessidades de cada paciente., Além disso, a disponibilidade de diferentes opções terapêuticas amplia o acesso ao tratamento para populações pediátricas., Negativo: Até o momento não tive experiências negativas ou conhecimento sobre eventos adversos que contra indiquem o uso	4ª - Inibidores de C5 de Longa Duração e Novas Vias de Administração (Ravulizumabe e Crovalimabe): - Ravulizumabe: Os ensaios clínicos de Fase 3 (ALXN1210-PNH-301 e ALXN1210-PNH-302) demonstraram a não inferioridade do ravulizumabe em relação ao eculizumabe em pacientes virgens de tratamento e previamente tratados, mantendo estabilização dos níveis de lactato desidrogenase (LDH) e independência transfusional. A meia-vida prolongada (infusões a cada 8 semanas vs. 2 semanas do eculizumabe) reduz drasticamente o risco de hemólise de escape (breakthrough hemolysis) ao final do intervalo de dose, além de otimizar a eficiência operacional dos centros de infusão do SUS e a qualidade de vida do paciente.- Crovalimabe: Avaliado nos estudos de Fase 3 COMMODORE 1 e COMMODORE 2, este anticorpo monoclonal reciclável anti-C5 provou ser não inferior aos inibidores tradicionais. O grande diferencial reside na sua administração subcutânea mensal autoadministrável, o que descentraliza o cuidado, reduz custos logísticos de deslocamento do paciente., Inibidores do Complemento Proximal: Resolução da Hemólise Extravascular Residual- Pegcetacoplane (Inibidor de C3): O estudo de Fase 3 PEGASUS demonstrou superioridade da pegcetacoplane subcutânea em comparação ao eculizumabe de hemoglobina. Também se mostrou eficaz	5ª - O tratamento inadequado ou a resposta subótima aos inibidores de C5 tradicionais geram um custo catastrófico ao SUS por meio de: Internações recorrentes por crises hemolíticas agudas e manejo de eventos tromboembólicos (principal causa de óbito na HPN), suporte transfusional crônico (custo de processamento de bolsas de sangue, fenotipagem, reações transfusionais e necessidade de terapia de quelação de ferro por hemocromatose secundária), tratamento de insuficiência renal crônica e hipertensão arterial pulmonar induzidas pela hemólise contínua.

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:
				em pacientes virgens de tratamento no estudo PRINCE. -.Iptacopana (Inibidor do Fator B da Via Alternativa): Como monoterapia por via oral, demonstrou resultados consistentes no estudo APPLY-PNH. Em pacientes com anemia residual sob uso de inibidores de C5, o switch para iptacopana resultou em aumentos sustentados de hemoglobina ?2 g/dL sem a necessidade de transfusões, bloqueando simultaneamente a hemólise intravascular e extravascular de forma altamente seletiva.	
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de doença rara mas incapacitante, grave, com riscos de complicações e óbito quando não controlada/tratada, com necessidade de transfusões de sangue regulares., A disponibilidade de novos inibidores do complemento para controlar a doença e minimizar os riscos secundários é fundamental para o benefício do paciente. Opções que inibem a via proximal do complemento (C3 - pegcetacoplan, iptacopan, crovolimab) são essenciais como arsenal de tratamento, uma vez que alguns pacientes podem não ter controle suficiente da hemólise com inibidores terminais (C5 - eculizumab, ravulizumab)	2ª - Sim, Qual: Ravulizumab, Positivo e facilidades: Paciente teve total controle da hemólise com normalização do nível de hemoglobina, atualmente assintomático, Infusão do medicamento a cada 2 meses, Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: eculizumab, Positivo: Controle da hemólise intravascular mas com evidência de hemólise de escape, Negativo: Necessidade de infusão a cada 15 dias, vindas frequentes ao hospital	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A ampliação da cobertura do SUS é fundamental para o acesso da medicação e qualidade de vida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, algumas pessoas têm dificuldade de trabalhar regularmente, ou até não conseguem, trabalhar, porque moram longe dos centros de tratamento e precisam se deslocar com, frequência.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Assim como em vários ramos da vida cotidiana a tecnologia tem sido incluída para nosso bem, para a saúde mais ainda, principalmente considerando o impacto positivo que suas ações terão junto a qualidade de vida, assegurando assim maior dignidade aos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante a integração do tratamento adequado para os pacientes que necessitam.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes se beneficiariam com o tratamento de primeira linha com Ravulizumabe pois podem tratar em torno de 60% dos casos, tem posologia injetável porém são menos idas ao centro clínico para aplicar, com pouco efeito colateral. Como segunda linha , a medicação Iptacopana seria ótimo pois tem ótimas respostas além de ser posologia facilitada, via oral.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhorar a qualidade de vida das pessoas que possuem a doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve haver a incorporação do Ravulizumabe pelo maior tempo entre as aplicações (quando comparado ao eculizumabe), dando maior qualidade de vida aos pacientes, sendo potencialmente mais eficaz e evitando custos relacionados às infusões mais frequentes, e de ao menos 1 inibidor proximal (crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana) para os casos refratários/sem resposta ou com escape à inibição distal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação dessas medicações é uma necessidade ainda não atendida para pacientes com HPN. Benefício clínico, redução de mortalidade.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe , Positivo e facilidades: Melhor custo efetivo, melhores resultados e posologia mais adequada para o paciente já que período para uso entre as doses é maior., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Boas respostas terapêuticas., Negativo: Fato de ter que ser administrado endovenosa a cada 2 semanas.	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, a incorporação desse medicamento ao SUS vai trazer qualidade de vida aos pacientes que precisa, pois terão que comparecer menos vezes para receber a medição, o que deixa mais tempo livre para estar com a família e	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante para auxiliar milhares de pessoas a ter qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A acessibilidade às tecnologias tem que ser igualitária a todos que precisem, independentemente de condição financeira.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que o estado e país são responsáveis por cada cidadão existente em território nacional., É UM AVANÇO NA SAÚDE E EMPATIA PELA HUMANIDADE.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de suma importância para a saúde pública., Pois muitas pessoas não tem condições de pagar por remédios tão caros.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O SUS é um sistema pra todos e deve contemplar todas as doenças	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Minha tia tem a condição. Ela precisa se deslocar cerca de 5h até a capital de Minas Gerais para ter acesso ao atual medicamento, necessário para ela, literalmente, viver. A cada 15 dias ela realiza esse percurso desgastante e necessário pela falta de melhores opções. A incorporação pelo SUS desse medicamento não só vai garantir a vida da minha tia e de milhares de outras pessoas, mas, também, aumentar drasticamente sua qualidade de vida - especialmente àqueles que não tem condições físicas e financeiras para aguentar as viagens constantes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, é uma droga que muda o prognóstico e promove melhor qualidade de vida para os pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que o ravulizumabe pode ajudar muitos pacientes com a doença	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou medico hematologista, e temos pacientes com HPN em tratamento com eculizumab. Ainda temos muitas deficiencias, pacientes com anemia refrataria, com necessidade se transfucao constante, semanal, com qualidade de vida ainda muito afetada. Ja temos conhecimento do beneficio destas novas drogas, com estudos randomizados Fase 3, como exemplo do Ravulizumab os estudos 301 e 302, e do iptacopana com estudos Apply e appoint. O ravulizumab se mostro seguro, e com otimos resultados para controle de hemolise de escape, tendo menos necessidade transfucional, sendo uma possologia muito mais confortavel para o paciente, com aplicacoes cada 8semanas, diminuindo vindas ao hospital e melhorando a qualidade de vida dos pacientes. O iptacopana tambem se mostro mais confortavel na posologia, pois é em comprimidos orais, diminuindo muito as vindas ao hospital, alem disso mostro segurança e boa tolerancia, tendo maior normalizacao de hemoglobina, e melhores resultados em relacao a transfucao, e controle de hemolise extravascular. Nossos pacientes precisam de novas drogas, pois estao em boa porcentagem hemolisando e com necessidade transfucional em uso de eculizumab. O crovalimab tambem e uma medicacao com melhor posologia, e boa tolerancia, assim tambem o pegcetacopana, ao ser subcutaneo, com melhor controle de hemolise e necessidade transfucional. Em resumo, acredito que precisamos de novas drogas, ainda temos muitos pacientes que nao respondem bem ao eculizumab, e a qualidade de vida deles se ve muito comprometida. Todos os dados que temos destes medicamentos sao otimos, comparando ao ja existente eculizumab. Espero que podamos ter acceso a estas drogas, e podamos dar uma visa melhor a todos estes pacientes. Obrigado.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: O eculizumab muda a vida dos pacientes com HPN, permitindo a eles melhorar muito a sobrevida e a morbimortalidade, sendo que antes não tinha medicamento que tivesse beneficio para a doenca. , Negativo: Ainda tem muitos pacientes que nao atingem resposta completa, e mantem uma necessidade transfucional alta, em varios casos semanal. Tambem tem o problema de a posologia ser quinzenal, o que faz que paciente tenha que vir muitas vezes ao hospital, pois alem das aplicacoes 2 vezes ao mes? Tem as consutlas e os exames. Isto gera uma qualidade de vida bem afetada, alem do gasto do paciente no transporte, no trabalho, e para o propio hospital com a disponibilidade de material e funcionarios.	4ª - Gostaria de mencionar os estudos clinicos que mostraram beneficio para esta doenca:, Ravulizumab estudo ALXN1210 - 301 e 302. Em ambos estudos naive e exposto a eculizumab, mostra beneficio, e posologia com maior tempo e maior vida media, mostrando seguranca e tolerabilidade., Iptacopana estudo Apply e Appoint, com melhor posologia e beneficio com melhor controle de transfucao e qualidade de vida. Tambem com otima seguranca e tolerabilidade., Crovalimab estudo Commodore 1 e 2, com otimos dados em eficacia e seguranca., Pegcetacopana com Pegasus e Prince, com otimos resultados.	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, o medicamento a ser incorporado é o Ravulizumab	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 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os pacientes portadores de HPN sofrem por hemólise de escape quando apenas com eculizumabe como opção de tratamento, tanto farmacodinâmica como farmacocinética.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, pegcetacoplan e iptacopana., Positivo e facilidades: Melhora de qualidade de vida desses pacientes, diminuição da hemólise de escape,, Negativo e dificuldades: Nenhum.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Diminuição de mortalidade, curva de sobrevida parecida com a de uma pessoa não portadora de HPN, diminuição da hemólise., Negativo: Curto período de atividade (os pacientes precisam fazer infusões a cada 14 dias sem falta), hemólise de escape.	4ª - 1ª linha: O ravulizumab oferece os mesmos benefícios que o eculizumab, com segurança e tolerabilidade semelhantes. Comparado ao eculizumab, o ravulizumab tem uma meia-vida 4 vezes maior e é administrado por infusão intravenosa a cada 8 semanas. Ambos os estudos de fase 3 do ravulizumab (Estudo 301 [N = 246] e Estudo 302 [N = 197]) atingiram seus objetivos primários e secundários, incluindo evitar transfusões, alteração/normalização do LDH, melhora da fadiga, ausência de hemólise de escape, estabilização da hemoglobina e presença de C5 livre no soro. (Bektas M, Copley-Merriman C, Khan S, Sarda SP, Shammo JM. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: current treatments and unmet needs. J Manag Care Spec Pharm. 2020 Dec, 26(12-b Suppl):S14-S20. doi: 10.18553/jmcp.2020.26.12-b.s14. PMID: 33356783, PMCID: PMC10410676.), , 2ª linha: o tratamento com ptacopana melhorou desfechos clínicos e hematológicos quando comparado com inibidores de C5 em paciente com anemia persistente, se mostrando superior ao inibidor de C5. (Latour RP, et al. Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. N Engl J Med. 2024, 390:994-1008. doi: 10.1056/NEJMoa2308695. Disponível em: https://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMoa2308695 . Acesso em: 02/07/2026).	5ª - Pacientes em tratamento com inibidores de C5 podem sofrer com o ônus econômico associado ao tratamento. Ajustes de dose, hospitalizações e transfusões de sangue para episódios de hemólise podem ter custos anuais por paciente de US\$ 51.716 para eventos decorrentes de condições de amplificação do complemento, US\$ 152.895 para eventos decorrentes de inibição insuficiente de C5 e US\$ 186.107 para eventos decorrentes de gravidez. Além disso, pacientes com HPN e seus cuidadores enfrentam custos substanciais de produtividade resultantes do tempo necessário para a administração de inibidores de C5 em clínicas de infusão. Em uma análise do impacto do tratamento com inibidores de C5 na produtividade, entre 100 pacientes com HPN nos Estados Unidos, durante um período de 2 anos, a perda de produtividade (incluindo os tempos de administração, recuperação e deslocamento, multiplicados por um salário-hora de US\$ 20) associada ao tratamento com qualquer inibidor de C5 foi estimada entre US\$ 1.535.099 e US\$ 4.306.790. (Bektas M, Copley-Merriman C, Khan S, Sarda SP, Shammo JM. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: current

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:
					treatments and unmet needs. J Manag Care Spec Pharm. 2020 Dec, 26(12-b Suppl):S14-S20. doi: 10.18553/jmcp.2020.26.12-b.s14. PMID: 33356783, PMCID: PMC10410676.)
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu neto faz tratamento com o Eculizumabe, ele está com a doença controlada. Ocorre que a cada 15 dias ele faz as infusões e isso consome pelo menos meio período do dia, o que faz com que ele tenha dificuldades na vida pessoal e profissional. Ele não tem autonomia para viajar por período maior do que duas semanas.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle da doença., Negativo: Intervalo de 15 dias entre infusões e hemólise extra-vascular.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença incomum, adquirida, quando o gene PIGA sobre mutações ficando ativado, desencadeando hemólise intravascular, anemia, perdas sanguíneas e trombozes. Em fase aguda a doença pode ser fatal., Apenas após 2007 foram desenvolvidos medicamentos com eficácia. A medicação, iptacopana é um agente de segunda linha, com indicação quando há falha nos tratamentos com os medicamentos de primeira linha. Tem a vantagem de ser um medicamento via oral: comprimidos que o paciente pode administrar a domicílio, evitando deslocamentos para os hospitais e clínicas além da proteção contra os acessos venosos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Transfusões de Hemácias, Corticoides, Imunossupressores, Positivo: Positivo: Ter uma medicação específica: ação direta sobre o gene mutado, Evitar Transfusões permanentes de concentrados de hemácias, , Redução de corticoide para impedir as reações adversas graves(HAS, Diabetes, mialgias), , Evitar a frequente punção de veias , Negativo: Não percebi aspectos negativos	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 02/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora de HPN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os novos medicamentos contribuirão com melhor eficácia no tratamento da hemólise intra e extravascular, além de melhor qualidade de vida pelo intervalo de tempo ida infusão (a cada 2 meses), gerando fármaco e economia.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Com o Eculizumabe. , Positivo: Melhora no incremento da hemoglobina, melhorando a anemia e diminuindo a dependência Transfusional e melhora dos exames laboratoriais. , Negativo: A aquisição da medicação.	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 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho um filho com HPN que faz uso de Eculizumabe e as vezes Ravlizumabe mas tem escape e ele tem anemia profunda.tomou 3 tranfusões nos últimos 3 meses. Temos que ter opção e não apenas um anti C5. Espero que vc levem em consideração na doença que é tão grave	2ª - Sim, Qual: ravlizumabe, Positivo e facilidades: o ravlizumabe mantém os pacientes vivos e previne complicações graves típicas da doença e naqueles com boa boa evolução, salva vidas., Negativo e dificuldades: nem todo paciente melhora completamente da anemia mas o tempo prolongado entre as doses traz qualidade de vida	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: meu filho melhorou demais os sintomas e a qualidade de vida após o eculizumabe mas atualmente ele tem um escape e fica com hemoglobina de 5 g e necessita tranfusões. , Negativo: o escape , não conseguindo controlar a hemólise	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, as novas tecnologias representam grande avanço no tratamento da hpn, com diversas vantagens em relação ao já incorporado eculizumabe, - ravlizumabe tem MELHOR CONTROLE DA HEMOLISE INTRAVASCULAR, COM MENOS HEMOLISE ESCAPE E MENOS C3 LIVRE, permanecendo assim o paciente em menor risco de eventos graves, trombose e menor risco de obito. Alem disse, possui grande vantagem em relação ao esquema posológico, passando de cada 15 dias para o intervalo de 8 semanas, permitindo que o paciente tenha um vida mais próxima ao normal, menos faltas ao trabalho, além de vantagens farmacoeconomicas para os sistemas de saúde, permitindo o maior espaçamento entre infusões e menor sobrecarga dos sistemas de saúde. Na minha opinião atual, deve constar como opção de primeira linha para tratamento da HPN., - Itacopana - possui vantagem de ser via oral, controle da hemolise extravascular, condição que afeta alguns pacientes em uso inibidores de complemento. Na minha opinião, no cenário atual, seria um boa opção a ser incorporada em segunda linha, em pacientes ja em uso de inibidores terminais do complemento e que apresentam hemolise extravascular clinicamente significativa. , - crovalimabe pode ser boa opção para aplicação subcutanea	2ª - Sim, Qual: ravlizumabe, paciente em uso com excelente resposta, normalização dos exames, incluindo LDH, o que leva a diminuição do risco de eventos tromboticos e obitos. Paciente relata em especial melhora da vida com aplicações a casa 8 semanas, conseguindo assim manter suas atribuições de vida e laborais. , corvalimabe em pesquisa clinica bom boa experiência no controle da doença, relatos de pacientes em uso da iptacopana como segunda linha, após terem apresentado hemolise extravascular, com melhora dos sintomas e normalização da hemoglobina. , Positivo e facilidades: descritos acima, Negativo e dificuldades: descritos acima	3ª - Não	4ª - Não	5ª - administração posológica com grande vantagem do ravlizumabe (uma infusão a cada 8 semanas) sobre eculizumabe (uma infusao a cada 15 dias)
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Não	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação que muda a história natural da doença. Apesar do alto custo, todo Brasileiro tem direito a saúde.	2ª - Sim, Qual: Apenas com o Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Controle da doença , Negativo e dificuldades: alto custo	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação é essencial para a sobrevivência e qualidade de vida de muitas pessoas.	2ª - Sim, Qual: Meu primo é paciente e toma a medicação há anos. , Positivo e facilidades: A medicação é o que possibilita que ele continue vivendo a vida normalmente, praticando atividades físicas e trabalhando. , Negativo e dificuldades: Não vejo aspectos negativos	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por ser medicamentos de alto custo e muitas pessoas não terem acesso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Analisando o cenário sob a ótica da eficiência de processos e otimização de recursos. A incorporação desses novos medicamentos funciona como uma atualização crítica de sistema: embora demande um investimento inicial, reduz drasticamente o 'custo de manutenção' gerado por internações recorrentes, complicações graves e transplantes - fator que pesa mais, uma pessoa que vive mais, gasta mais, trabalha mais retornando este valor para o Estado., Além disso, medicamentos com maior espaçamento entre as doses (como o ravulizumabe) otimizam a logística de distribuição e a infraestrutura dos hospitais do SUS, gerando maior escalabilidade no atendimento. Centralizar e padronizar essa compra pelo SUS também evita o gargalo e a imprevisibilidade orçamentária causados por decisões judiciais isoladas(Do tipo daquelas que demoram e são totalmente dispensáveis - analise aqui também o gasto público com sistema judiciário). Trata-se de investir em prevenção e eficiência para evitar custos maiores e descontrolados no futuro.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Sou Engenheiro de Computação, se tiver algo que eu possa fazer sim.	5ª - Sou Engenheiro de Computação, se tiver algo que eu possa fazer sim.
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Doença rara que necessita tratamento adequado e terapia mostrou eficácia e segur-para pacientes com HPN. Resposta com melhor controle da evolução da hemoglobina em terapia oral. Paciente tem mais liberdade na rotina do dia a dia.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe apresenta boa resposta porém nem todos os pacientes respondem a mesma terapia. É necessário ter boas alternativas para os não respondedores , Positivo: Bem tolerada, Negativo: Nem todos os pacientes respondem bem	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 com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença rara e grave, e muitos pacientes continuam apresentando sintomas mesmo durante o tratamento. Ainda podem ocorrer hemólise, cansaço intenso, fraqueza, dores, necessidade de transfusões e internações, o que compromete a qualidade de vida, a autonomia, o trabalho e a rotina, principalmente para quem precisa se deslocar com frequência até os centros de tratamento. Por isso, acredito que é muito importante que o SUS ofereça diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante, principalmente por poder ser aplicado em casa, mas isso não diminui a relevância do ravulizumabe, que também apresenta excelentes resultados. Também é essencial incorporar opções de segunda linha, como a iptacopana e o pegcetacoplane, para pacientes que continuam com atividade da doença. Cada pessoa com HPN responde de forma diferente aos tratamentos, e ter mais opções permite que os médicos indiquem a terapia mais adequada, reduzindo transfusões, internações e deslocamentos, além de proporcionar mais segurança, independência e qualidade de vida. Como paciente, espero que a Conitec considere essa individualidade e o impacto que essa decisão terá na vida de tantas pessoas., Quero também deixar aqui registrado, o retrocesso gerado pela Conitec de está voltando a reavaliação e passando novamente por consulta publica o medicamento Ravulizumabe que já deveria está incorporado no SUS. Um retrocesso, um absurdo e não estão pensando nos pacientes que dependem deste medicamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: A mudança para o ravulizumabe trouxe um impacto muito positivo na minha vida. Com infusões a cada 8 semanas, passei a ter mais autonomia, previsibilidade e qualidade de vida. A redução da frequência das infusões diminuiu significativamente minhas faltas no trabalho, proporcionando maior estabilidade profissional e permitindo organizar melhor minha rotina., , Antes fazia tratamento com o Solires (o remédio que está disponível no SUS) e desde que iniciei o tratamento com o ravulizumabe, tive boa adaptação, sem reações relevantes e com manutenção do controle da doença. O intervalo maior entre as infusões também reduziu o desgaste dos acessos venosos, permitindo uma melhor recuperação das veias., Além dos benefícios para mim, acredito que o ravulizumabe pode transformar a realidade de muitos pacientes que precisam percorrer longas distâncias para receber o tratamento. Com menos deslocamentos, há redução do desgaste físico, dos custos com transporte, alimentação e hospedagem, além de mais tempo para descanso, trabalho, convivência com a família e outras atividades do dia a dia., Para mim, o ravulizumabe representa muito mais do que um medicamento: representa mais qualidade de vida, dignidade, independência e a oportunidade de viver com mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Solires/Eculizumabe., Positivo: Foi um medicamento importante quando no passado não se tinha nenhuma tratamento. Ele salvou vidas., Negativo: Ele tem um tempo de cobertura muito pouco de apenas 2 semanas, e por isso ter que fazer infusões a cada 14 dias impacta, no trabalho, financeiro, convívio com a família. Além disso não atua em toda a cadeia necessária e muitos pacientes ele já não surti efeito, necessitando de outros medicamentos.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporada ao SUS. J93M	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:
Gestores do SUS 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "A necessidade da incorporação do Ravulizumabe e do iptacopana como medicamentos que possam ser incorporados e dispensados a população com diagnóstico de HPN. , Durante últimos anos, acompanho como farmacêutica no Hospital Estadual Mario Covas e agora na FUABC a evolução do tratamento da HPN e devemos evoluir a farmacoterapia para esta condição. , No início o tratamento tinha uma durabilidade de tratamento que perdurava por vários dias, como descrito na bula, mas ao longo dos tempos, o paciente passou a apresentar ""escapes"" , já com o Ravulizumabe, o medicamento apresenta resposta sustentada por um tempo maior (melhor para o paciente) e com menos escapes ou até mesmo não pode ser observado. , , O SUS precisa de dois medicamentos, o Ravulizumabe como primeira linha, já os pacientes que apresentarem hemólise de escape, que deve ser entre 10 e 15 %, conforme os estudos clínicos, poderiam utilizar o iptacopana. , "	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: Cessação dos sintomas e aumento no qualidade de vida dos pacientes, pensado em administração mais espaçadas o paciente já ganha horas de vida, , Negativo: Eculizumabe ao longo do uso, ele pode ofertar hemólise de escapes,	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 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Profissional de saúde: farmacêutico. , , Gostaria de parabenizar a iniciativa da CONITEC em realizar a revisão de todo o cenário terapêutico da doença frente às novas tecnologias e possibilidade de obsolescência das tecnologias previamente incorporadas. O comparativo em um mesmo relatório/consulta pública facilita na priorização das melhores alternativas em um contexto de recursos finitos. , Como farmacêutico da ponta, o parecer abaixo é mais assistencial que farmacoeconômico. , , Dito isso, ao acompanhar paciente em tratamento com eculizumabe em um centro de infusão a cada 14 dias, creio que a opção de ravulizumabe seja promissora ao possibilitar melhor qualidade de vida neste cenário. É muito desafiador reservar um dia da rotina a cada duas semanas pelo resto da vida, tendo que adequar a rotina laboral e familiar, logística de transporte, alimentação fora de casa... E embora a clínica se organize para que a infusão ocorra o mais rápido possível, eventualmente ocorrem atrasos e o paciente perde uma tarde inteira, isso sem contar o transporte. Um intervalo de 8 semanas realmente faria diferença nesse cenário. Importante que ele já recebeu recomendação favorável da Conitec em 2024 e possui maior maturidade de evidências. , , Cabe considerar a disponibilização de uma opção de inibidor do complemento proximal aos pacientes com hemólise extravascular significativa. Nesse sentido, entendo iptacopana boa alternativa considerando que foi observada redução na ocorrência de hemólise de escape e por tratar-se de medicamento oral. Para pegacetacoplana, importante considerar a logística da bomba de infusão.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle de doença, prevenção de mortalidade, acesso, , Negativo: Posologia	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apoio que pessoas com doenças raras, em situação de maior vulnerabilidade e com menor condição financeira possa ter acesso à maiores possibilidades de tratamento, medicação, saúde e qualidade de vida!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação muito importante para essa doença rara	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora impressionante dos pacientes , Negativo: Nenhuma	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 com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação em questão melhora em muito a qualidade de vida	2ª - Sim, Qual: Trikafta , Positivo e facilidades: Melhora da função pulmonar, da tosse, aumento de peso, fim das exacerbação e de internações hospitalares desde q comecei a usar , Negativo e dificuldades: Por enquanto nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 03/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, Manifestamo-nos favoravelmente à manutenção da recomendação preliminar desfavorável à incorporação., O Relatório de Recomendação demonstra que, nas populações naive e previamente tratada com inibidor de C5 estável, a meta-análise em rede não identificou diferenças estatisticamente significativas entre eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe para independência transfusional, estabilização da hemoglobina e fadiga. Por essa razão, a avaliação econômica adotou análise de custo-minimização, na qual o preço, e não a eficácia, constitui a variável decisiva. A análise de impacto orçamentário demonstra que a vantagem econômica das tecnologias depende do preço atual do eculizumabe, revertendo-se em impacto incremental de até R\$ 413,7 milhões para o crovalimabe e R\$ 470,7 milhões para o ravulizumabe em cenários compatíveis com a entrada de biossimilares, padrão igualmente observado para iptacopana e pegcetacoplane., Considerando: (i) a equivalência de eficácia entre os inibidores de C5 demonstrada na meta-análise em rede, sob análise de custo-minimização que torna o preço a variável determinante, (ii) a reversão das economias projetadas para as quatro tecnologias em cenários de redução do preço do eculizumabe, (iii) a convergência internacional (CDA-AMC, SMC e Infarmed), que reconhece eficácia comparável ou não inferioridade e condiciona a recomendação a preço não superior ao do eculizumabe, e (iv) a redução progressiva esperada para o eculizumabe nacional a partir da PDP aprovada em 2025, em consonância com a deliberação da 28ª Reunião Extraordinária. Entendemos que não há elementos suficientes para alteração da recomendação preliminar.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para melhorar e proporcionar melhores condições de vida para quem precisa de tratamentos específicos	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 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse tratamento com ravulizumabe tem excelentes taxas de resposta em pacientes com HPN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Organização da Sociedade Civil 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A recomendação preliminar merece ser revista por considerar, principalmente, uma projeção de impacto orçamentário baseada em um preço futuro estimado do eculizumabe, decorrente de uma PDP ainda em implementação, enquanto necessidades clínicas concretas permanecem sem resposta. Embora o benefício clínico das tecnologias avaliadas tenha sido reconhecido, pessoas com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) continuam enfrentando importantes barreiras de acesso e limitações terapêuticas., Atualmente, cerca de 40% dos pacientes permanecem com anemia, fadiga e outros sintomas mesmo em uso de inibidores de C5, devido à persistência da hemólise extravascular. Para esse grupo, novas opções terapêuticas não representam conveniência, mas a possibilidade de alcançar melhor controle da doença, recuperar qualidade de vida e reduzir seus impactos físicos, emocionais e sociais., Também preocupa a proposta de desincorporação do ravulizumabe. A tecnologia já foi incorporada ao SUS, porém sua dispensação efetiva ainda não ocorreu. O problema está na implementação da política pública, e não na ausência de benefício clínico. Desincorporar um medicamento antes mesmo de garantir seu acesso representaria um retrocesso e ampliaria a insegurança para pacientes e profissionais de saúde., Além disso, é fundamental considerar a comodidade posológica e as desigualdades de acesso. Muitos pacientes percorrem longas distâncias para receber infusões, tornando esquemas com intervalos maiores entre administrações um fator relevante para a qualidade de vida e para a equidade no acesso ao tratamento., A sustentabilidade do SUS e a incorporação da inovação podem coexistir por meio da negociação de preços, critérios de elegibilidade e monitoramento de resultados, sem restringir opções terapêuticas para quem não responde adequadamente ao tratamento disponível. A decisão final deve equilibrar evidências clínicas, impacto orçamentário e as necessidades reais das pessoas que vivem 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As novas tecnologias em avaliação, são muito importantes para o paciente com HPN, pois irão abranger pacientes que não se dão bem com o medicamento que hoje está disponível no SUS. Além de trazer uma melhor qualidade de vida aos portadores, diminuindo ou até mesmo excluindo a necessidade de infusões com tanta recorrência.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Era até então o único tratamento para a doença disponível no mercado, e que manteve o controle da doença para muitos pacientes., Negativo: A necessidade de infusão de forma recorrente e com espaço muito curto entre elas. Hoje existem opções melhores e com custos menores se considerar todo o gasto com tratamento (internações para infusão, deslocamento , disponibilidade de leitos).	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A inclusão desse medicamentos, irão atender aos pacientes que não obtiveram boa resposta com o uso do Eculizumabe. Além de oferecer uma alternativa que dá mais liberdade e melhora na qualidade de vida dos pacientes, com o Eculizumabe a cada 14 dias muitos pacientes precisam se deslocar para realizar as infusões, gastando as vezes 24 horas de viagem, pois os centros referencias são apenas nas grandes capitais, muitos não conseguem emprego fixo, por esse motivo. Então as opções de agora trarão, liberdade, independencia e uma vida melhor.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: é o medicamento que controla a doença e possibilita ao portador de HPN estar vivo. Mas hoje existem melhores opções no mercado, que antigamente não existiam., Negativo: Necessidade de infusão a cada 14 dias em centros de referencia, fora da cidade da maioria dos pacientes., Demanda tempo, disponibilidade, acaba desgastando muito as veias , muitos já tem dificuldade para o acesso venoso., Custos com deslocamento, disponibilidade de leitos.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Documento anexo	2ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo e facilidades: O eculizumabe representou um marco no tratamento da HPN por ser o primeiro medicamento capaz de inibir a ativação terminal do sistema complemento por meio do bloqueio da proteína C5. Trouxe esperança aos pacientes que antes não tinham opções terapeuticas, alem da transfusão de hemocomponentes e tratamento de sinais e sintomas. , Negativo e dificuldades: Administração intravenosa a cada 14 dias., Parte dos pacientes permanece com anemia residual e dependência transfusional devido à persistência da hemólise extravascular	3ª - Não	4ª - Documento anexo	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 com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quase morri em função dessa doença. Tive uma isquemia mesentérica e trombose no fígado. Recebi a primeira infusão do ravulizumabe já no hospital, o que salvou a minha vida. Duas semanas após a primeira dose, a desidrogenase láctica, marcador principal de hemólise, caiu de mais de 1.000, para menos de 300 (próximo ao de uma pessoa normal)., O ravulizumabe me tirou do risco de complicações mortais, mas não resolveu o meu quadro de anemia grave. Continuei por bons meses com a hemoglobina na casa dos 7 a 8., Com a ajuda dos meus médicos, fui selecionado para o programa Bem Estar, do fabricante da Ipitacopana. Minha hemoglobina agora está em 11, ainda em ascensão. Recuperei minha qualidade de vida. Voltei a me exercitar, fui promovido no trabalho... Estou vivendo normalmente. Tenho dois filhos pequenos. Há um ano atrás, seria inimaginável correr atrás de uma bola com eles. Agora eu estou 100% presente., Tive sorte de ter conseguido uma indicação para entrar nesse programa e usar a ipitacopana. Desejo que todos que tenham esse diagnóstico possam voltar à vida plena, sem riscos de complicações. Já temos tecnologia para isso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe e atualmente ipitacopana., Positivo e facilidades: O ravulizumabe salvou minha vida. Reduziu de forma muito significativa a hemolise, me livrando do risco de trombose e também da necessidade recorrente de transfusão., O ravulizumabe tem o mesmo princípio do eculizumabe, já presente no SUS, mas é modulado para durar 2 meses ao invés de 2 semanas. Isso aumenta de forma absurda a qualidade de vida, pois a necessidade de idas ao hospital, clínica ou posto para tomar a infusão de 40 min cai de 26 vezes ao ano para 6 ou 7 vezes. , Apesar disso, é uma droga que, apesar de livrar as pessoas do risco de complicações mortais, tem êxito reduzido para resolução completa da anemia, tendo um percentual alto dos usuários ainda com anemia grave., Já a iptacopana faz tudo que o eculizumabe e o ravulizumabe faz e mais um pouco. Ele tem alta taxa de sucesso não só na preservação da vida, mas também na recuperação total do quadro de anemia. O que os médicos que me assistem (especialistas na doença) me disseram é que eles estavam muito satisfeitos com os resultados que viram em seus pacientes. E eu pude ver isso na prática. , Pessoas com o meu diagnóstico podem ter vida plena com essa nova linha de medicamentos., Negativo e dificuldades: Ravulizumabe - O remédio não resolveu a minha anemia por completo. Mas entendo que ele pode bastar para alguns pacientes.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho fundamental o acesso a todas as tecnologias de saúde para a população brasileira. Se o medicamento existe e é melhor opcao que outras, que esteja disponível.	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:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento da HPN hoje oferece apenas inibidores do completo distal (C5I) o que embora controle a hemolise intravascular, não controla a hemolise extravascular oriunda da ativação do complemento C3 gerando uma série de manifestações clinicas nestes pacientes como anemia, necessidade de transfusões o que leva a sobre carga de ferro e uma fadiga desproporcional à anemia o que contribui com uma baixa qualidade de vida social e laboral, constituindo uma necessidade médica não atendida.A pegcetacoplana, um inibidor proximal do complemento (C3i) atua inibindo a hemolise tanto intra como extravascular, reduzindo a necessidade transfusional e anemia, dados estes demonstrados no estudo fase 3 (PEGASUS) onde pegcetacoplana apresentou resultados superiores ao eculizumabe reduzindo anemia e fadiga. Desta forma acreditamos que a inclusão da pegcetacoplano no SUS venha atender esta necessidades medica não atendida. Para contribuir ainda mais com esta inclusão, a empresa Pint Pharma revisou o preço anteriormente submetido e apresenta uma nova proposta de preço de R\$ 9.123,30, correspondente a um desconto de 43,3% em relação ao PMVG 18%, ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Documentos enviados anexo no item 25:, , - Consulta Pública n 49 - Pegcetacoplana.pdf, , - IO_PEG_CP49.pdf, , ,	5ª - Documentos enviados anexo no item 25:, , - Consulta Pública n 49 - Pegcetacoplana.pdf, , - IO_PEG_CP49.pdf,
Pessoa com a condição de saúde 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Faço uso do medicamento e mudou completamente minha qualidade de vida, oqie era uma infusão intravenosa agora basta dois comprimidos, meu hemograma saiu de 10 para 14, minha imunidade aumentou e hoje tenho uma qualidade de vida muito melhor	2ª - Sim, Qual: Com o medicamento FABHALTA, Positivo e facilidades: Melhor na imunidade, me tirou do estado de anemia, não preciso me locomover até o SUS para fazer uma enfusão intravenosa basta tomar dois comprimidos., Negativo e dificuldades: Nenhum melhorou em todos os sentidos	3ª - Sim, Qual: Eculisumabe, Positivo: Aumento hemograma e aumento na imunidade, ser via oral e não precisar me deslocar a cada 15 dias até o SUS para fazer o tratamento., Negativo: Praticante nenhuma, todos os aspectos são positivos, tive uma melhora em todos os aspectos fisiologicos e pr ser um tratamento a base de comprimido facilitando muito	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 03/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, O iptacopana se mostrou uma medicação efetiva no tratamento da anemia associado ao HPN, com grande parte dos pacientes dos estudos com aumento consideravel da hemoglobina e alguns ate com normalização (estudo APPLY-PNH e o estudo APPOINT-PNH). Seria muito bom ter uma opcao via oral de tratamento no SUS. Anemia de HoN geralmente é grave e necessita de transfusao aumentando mortalidade e morbidade e superlotando agencias de transfusao de hospitais e aumentando custo de forma significativa e sustentada.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe é efetivo em grande parte dos pacientes com anemia por HPN mas é endovenoso e posologia é de 15/15 dias., Ja instituido como primeira linha do sus., Negativo: Eculizumabe é endovenoso e intervalo de 15/15 dias, exige ambiente hospitalar e nem todos pacientes respondem a medicacao, fazendo salta uma segunda linha com uma posologia mais pratica.	4ª - No estudo APPLY-PNH, com 97 pacientes que continuavam com anemia mesmo já tratados com terapia anti-C5, os resultados se mantiveram fortes até a semana 48: 86% tiveram um aumento de pelo menos 2 g/dL na hemoglobina sem precisar de transfusão, e 68% chegaram a normalizar totalmente a hemoglobina (?12 g/dL). Mais de 90% dos pacientes ficaram livres de transfusão ao longo desse período., , Já no estudo APPOINT-PNH, com 40 pacientes que nunca tinham usado inibidores do complemento antes, os ganhos também se mantiveram até a semana 48, com hemoglobina média de 13,24 g/dL e 97,5% dos participantes sem necessidade de transfusão.	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 03/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pontos que considero mais relevantes, 1. Limitações do tratamento atualmente disponível embora o eculizumabe e o ravulizumabe representem avanços importantes, ainda existem pacientes que apresentam:, anemia persistente, , necessidade recorrente de transfusões, hemólise extravascular clinicamente significativa, fadiga incapacitante, piora da qualidade de vida, e dificuldade de acesso aos centros de infusão., Esse é um ponto especialmente importante para justificar a necessidade de terapias com mecanismos de ação diferentes., 2. Necessidade de individualização do tratamento: A HPN não é uma doença uniforme. Existem pacientes: virgens de tratamento, controlados com inibidores de C5, com resposta hematológica incompleta, com hemólise residual, com associação com anemia aplástica, com insuficiência medular. O PCDT deve contemplar essas diferenças., 3. Pegcetacoplane controla simultaneamente hemólise intravascular e extravascular, melhora hemoglobina, reduz necessidade transfusional, beneficia pacientes com resposta inadequada aos inibidores de C5., Esses pacientes representam justamente a população de maior necessidade clínica., 4. Iptacopane representa uma nova estratégia por inibição do fator B da via alternativa, administração oral, potencial melhora da adesão, redução da dependência de infusões hospitalares., 5. Crovalimabe resalto: administração subcutânea, menor necessidade de deslocamento, benefício para pacientes que vivem longe dos centros de referência, potencial redução da sobrecarga assistencial., 6. Ravulizumabe. -Embora já incorporado em determinadas situações no SUS, reforço intervalos maiores entre infusões, redução do número de visitas hospitalares, menor perda de dias de trabalho, , menor impacto sobre cuidadores., 7. Impacto na qualidade de vida. Como especialista, observo na prática: melhora da capacidade funcional, retorno ao trabalho, redução do absenteísmo, diminuição das internações, redução da necessidade transfusional.	2ª - Sim, Qual: ravulizumabe , Positivo e facilidades: "Bloqueio sustentado do complemento .O ravulizumabe é um anticorpo monoclonal de segunda geração contra o C5, desenvolvido para manter inibição completa e contínua do complemento, reduzindo a hemólise intravascular de forma sustentada., 2. Intervalo de administração muito maior Este é provavelmente o maior diferencial clínico. , Eculizumabe: infusão a cada 2 semanas., Ravulizumabe: infusão a cada 8 semanas., Isso representa aproximadamente: 6 infusões por ano versus 26 infusões por ano., Consequências práticas: menor deslocamento do paciente, menor absenteísmo escolar e laboral, menor necessidade de acompanhantes, redução da sobrecarga dos centros de infusão, melhora da qualidade de vida., 3. Eficácia não inferior ao eculizumabe - Os estudos de fase III (301 e 302) demonstraram que o ravulizumabe é não inferior ao eculizumabe quanto a: controle da hemólise (LDH), estabilização da hemoglobina, , necessidade transfusional, prevenção de hemólise intravascular, segurança., 4. Menor risco de hemólise por perda do efeito da medicação Como mantém níveis terapêuticos por oito semanas, o ravulizumabe reduz a ocorrência de hemólise relacionada ao final do intervalo entre doses ("end-of-dose breakthrough"), problema que pode ocorrer com o eculizumabe., 5. Controle prolongado da doença Dados de seguimento de até 6 anos mostram: manutenção do controle da hemólise, baixa incidência de trombose, manutenção da resposta hematológica, perfil de segurança estável, sobrevida favorável., 6. Redução do risco trombótico - Assim como o eculizumabe, o ravulizumabe reduz significativamente a ativação do complemento, diminuindo o principal fator responsável pelos eventos trombóticos da HPN., 7. Melhor adesão ao tratamento -Menor frequência de infusões favorece: menor perda de consultas, maior persistência terapêutica, melhor adesão em longo prazo. Estudos de vida real sugerem melhor persistência ao tratamento com ravulizumabe em comparação com outros inibidores do complemento., ", Negativo e dificuldades: Como todo inibidor de C5, o ravulizumabe: controla muito bem a hemólise intravascular, não elimina completamente a hemólise extravascular, que pode persistir em alguns pacientes e causar anemia residual ou necessidade transfusional. Nessas situações, terapias proximais do complemento (como pegcetacoplane ou iptacopane) podem oferecer vantagens em pacientes selecionados.	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos tem direito a tratamento. O SUS deve liberar a .medicação. Os medicamentos são caros, por isso o correto é distribuir para quem precisa da medicação.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada pelo sus para melhor qualidade de vida dos pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe/Soliris, Positivo: Qualidade de vida. Retorno ao trabalho. Poder fazer coisas simples como caminhar, lavar os cabelos, tomar banho em pé e não sentada e menos transfusão de sangue., Negativo: Ainda existe hemólise e o não controle da anemia.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda alternativa terapeutica para uma doença tão grave deve ser incorporada	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Trata muitos casos de HPN, Negativo: Nem todos os casos respondem ao tratamento disponibilizado	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É muito importante pra mim pois vou ter como fazer meu tratamento com medicação via oral , é muito difícil pra mim se deslocar de 15 em 15 dias pra fazer medicação em outra cidade e depois ter que ir para o trabalho já não enquanto mais preciso essas novas medicações seja encorporado para que possa ter uma qualidade de vida melhor ??	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Quanto mais tecnologia para o tratamento da HPN melhor para nós que temos a doença ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Menos fadiga durante o dia , Negativo: Plaquetas n subiram como o esperado	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Ravulizumabe como segmento a Eculizumabe, além dos dados de segurança e redução dos níveis de hemólise de escape, maior comodidade posológica.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe utilizado em pacientes através do processo de importação., Positivo e facilidades: Redução do nível de hemólise e maior estabilização do paciente., Negativo e dificuldades: Sem relato de experiência negativa	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Oportunidade de opções para o tratamento de doença rara e acessibilidade à vida	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: Melhora da condição de saúde do meu irmão, menor risco de vida, interrupção das internações, transfusões, exames, retorno à uma vida mais normalizada, Negativo: Riscos a adoecimentos e infecções, tratamento endovenoso de frequência alta - 10 a 12 dias, dores musculares ainda presentes, monitoramento contínuo da saúde	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Dará qualidade de vida ao paciente e reduzirá os custos para o SUS. Diminuirá o quantitativo de hemólises, transfusões, idas aos hospitais e clínicas entre outras atividades relacionadas à condição do paciente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portador de HPN e tenho certeza que diversificar a medicação seja de fundamental importância. Cada uma deles responde de maneira diferente para corpos diferentes. Eu, por exemplo, sigo em com o Eculizumabe, mesmo tendo hemólise, fadiga leve e dores no corpo quando estou infectado com algo. Porém, mesmo sem infecção, sinto dores no corpo que pioram quando do final do período dos 14 dias.,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe. , Positivo: "Me mantém vivo, pois sem o medicamento via meu corpo definhar, sem energia, dores, dores ""de frio"", sangramentos. Horrível, ", Negativo: O Eculizumabe me salva, mas não é completo. Além de me manter vinculado a um hospital, onerando-o, com minha presença a cada 14 dias., Sigo sentindo constantemente dores articulares, problema de sangramento na fezes e fadiga (leve), mesmo sem infecções. , Preciso ter acesso a outra medicação.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todo medicamento que comprovadamente possa melhorar a condição de saúde das pessoas com doenças raras deve ser entendida como prioridade para o sistema de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um direito da população o acesso a tratamentos de condições raras de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Isso irá ajudar na qualidade de vida das pessoas que convivem com essa doença e vai impactar numa melhora significativa da manutenção da saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deveria incorporar pois irá melhorar a adesão dos pacientes, não terá recaídas da doença e os pacientes poderão ter uma qualidade de vida melhor.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença que afeta gravemente o dia a dia da pessoa que a tem. O medicamento atualmente disponível no SUS não é suficiente para reprimir os sintomas por completo para todos os pacientes. Ampliar a variedade de tratamentos disponíveis é essencial para essa parcela da população.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As novas tecnologias se mostram mais eficientes que as tecnologias atualmente adotadas, como por exemplo a medicação a qual eu faço uso a ECULIZUMABE.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: Esta tecnologia me permitiu manter o controle da hemoglobina próximo aos níveis normais. Os tratamentos anteriores consistiam em receitas caseiras, que não garantiam estabilidade nos níveis de hemoglobina, me levando ao estado de hemolisar. Mas com o uso da medicação de 14 em 14 dias, esse quadro foi revertido e eu já não chegava a tal condição., Negativo: Nada de prejudicial foi percebido.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A tecnologia veio para ajudar na evolução e sendo aplicada de maneira correta sera de grande ajuda em tratamentos medicos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É necessária a incorporação em razão da necessidade da população que utiliza o sistema único de saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de grande importância na vida das pessoas que sofrem com as doenças, ter acesso gratuito aos medicamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente com HPN e acho que as medicações devem ser incorporadas ao SUS porque a vida dos pacientes raros é muito difícil e principalmente porque não temos condições de pagar um valor tão alto para conseguir continuarmos vivos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: VIDA ganhei vida e condição de fazer coisas que não conseguiria sem ele ou até talvez já teria morrido., Negativo: Nenhum	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Melhoraria a qualidade de vida de muitas pessoas.	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para acesso as pessoas que precisam deste medicamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença grave e rara, o que pode afetar seriamente a vida dos pacientes para muito mais que somente sintomas da doença. Há desgaste emocional, financeiro, redução na qualidade de vida, etc. Tratamentos mais adequados podem reduzir a dependência de transfusões, internações e deslocamentos constantes., , O tratamento atual fornecido pelo SUS não é mais utilizado como tratamento primário, e pacientes reagem de formas diferentes aos diferentes tratamentos. Mais opções, mais chance de uma vida mais equilibrada. ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hpn é uma doença rara e precisa do apoio do País.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) deve ser garantido pelo SUS, pois se trata de uma doença rara, grave e potencialmente fatal, que pode causar anemia severa, trombozes e comprometer significativamente a qualidade de vida dos pacientes. Como os medicamentos utilizados no tratamento possuem alto custo, muitas pessoas não conseguem ter acesso por conta própria. A inclusão e a oferta efetiva desses tratamentos pelo SUS representam uma medida de equidade e proteção à vida, garantindo que a condição financeira não determine quem terá acesso a um tratamento capaz de prevenir complicações graves e aumentar a sobrevida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Se é uma medicação, produto ou procedimento que ajudará a melhorar a qualidade de vida do paciente, deve ser incorporado no SUS. , Assim todos os pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação no SUS ira melhorar a qualidade de vida de milhões de brasileiros	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:
Pessoa com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Novas tecnologias devem ser incorporadas ao SUS ,porque cada paciente tem respostas diferentes ao tratamento existentes ,com novas tecnologias é possível buscar a melhor resposta ao tratamento de cada paciente, além dependendo da medicação facilita o acesso e desafia o sistema público(logística, deslocamento paciente,internações, etc)	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Melhora clínica, estabilidade e controle da evolução da doença , Negativo: No meu caso o eculizumabe me deu uma segunda chance, o ponto negativo é um tratamento que feito cada 14 dias isso me atrapalha no sentido que tenho que faltar no serviço me deslocar até hemocentro ,com essa frequência	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essa mediação é necessária para pessoas com esse diagnóstico, sendo um tratamento eficaz e assertivo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É extrema importância novos tratamentos	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Qq condição de saúde deve ser incluída no SUS ou qq plano de saúde para q todos tenham acesso aos melhores tratamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença rara e grave e muitas vezes de diagnóstico demorado, que vai degenerando a vida do paciente. O acesso ao tratamento é a única alternativa para devolver a vida e para que o paciente retome atividades rotineiras e laborais (estas fortemente impactadas pois há uma redução da imunidade). Por isso o acesso ao tratamento adequado é vital para o paciente volte a atuar na sociedade inclusive tornar-se economicamente produtivos.	2ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo e facilidades: O Eculizumab reduziu o risco de trombose, exige infusão a cada 14 dias em laboratório autorizado, porém não eliminou a necessidade de transfusão de sangue da minha mãe., Ela infundia Eculizumab a cada 14 dias, mas ainda assim necessitava de transfusões regulares a cada 15 a 20 dias.. , , Negativo e dificuldades: A minha mãe infundia Eculizumab a cada 14 dias, mas ainda assim necessitava de transfusões de sangue regulares a cada 15 a 20 dias..	3ª - Sim, Qual: Iptacopan , Positivo: Já o Iptacopan eliminou de vez a necessidade de transfusões, zero incidências de trombozes, e possibilitando a retomada da vida e atividades laborais e sociais, já que a medicação se apresenta via oral. Efetivamente o Iptacopan foi o renascimento, a retomada da vida da minha mãe., Negativo: Com Iptacopan não foram identificados efeitos colaterais. Pelo contrário. Salvou a vida da minha mãe.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Disponibilizar novas tecnologias e ter mais opções acessíveis com efeitos mais prolongados	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Estabilização dos parâmetros sanguíneos e queda do rompimento das hemácias, tendo mais qualidade de vida, Negativo: Não observado	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	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
06/07/2026					

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Durante mais de 1 século a base do tratamento da HPN foi transfusões de sangue e mais recentemente anticoagulação profilática e secundária. O tratamento com inibidores do complemento mudou dramaticamente o cenário da doença. O primeiro composto foi o eculizumabe, um inibidor de C5, que apesar da ação relevante no controle das complicações da doença, apresenta necessidades não atendidas. Entre elas estão a frequência de administração (infusão EV a cada 15 dias,) as hemólises de escape e a hemólise extra vascular causada pela deposição de C3. O ravulizumabe, um composto com mecanismo de ação semelhante ao eculizumabe, atendeu à necessidade não atendida de frequência de administração com infusões a cada 8 sem., reduzindo o número de infusões no ano (de 26 para 6) e causando uma inibição mais sustentada do C5, com melhor controle da hemólise de escape farmacocinética. O crovalimabe, outro inibidor de C5, demonstrou também não inferioridade com relação ao eculizumabe nos estudos pivotais e pode ser autoadministrado por via subcutânea. O problema é que este tratamento deve ficar restrito aos pacientes com condições de realizar adequadamente a autoadministração (a minoria). O não seguimento do esquema correto pode levar a graves crises de hemólise intravascular. A hemólise extravascular causada por deposição de C3 permanece uma necessidade não atendida. Os inibidores proximais, como o iptacopana e o pegcetacoplane podem atender a essa demanda e não há no momento nenhuma droga no SUS que contemple essa necessidade. O iptacopana, um inibidor específico da via alternativa do complemento tem a vantagem de ser administrado por via oral 2 xs/dia. O pagcetacoplane, um inibidor de C3, tem a desvantagem de inibir todas as vias do complemento e é administrado por infusão subcutânea 2xs/semana com infusor específico, apresentando as mesmas restrições relacionadas ao crovalimabe quanto a esta via de administração.	2ª - Sim, Qual: Eu participei, através da minha instituição (Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo) como PI, do estudo 301 do ravulizumabe (Lee JW e cols. Blood. 2019, 133:530-539), e da publicação de Kulasekararaj A et al (Annals of Hematology, 2025, 104:81-94) que analisou a eficácia, segurança e sobrevida de 6 anos de acompanhamento dos pacientes., , Eu sou coordenadora do ambulatório de Doenças dos Glóbulos Vermelhos e do Metabolismo do Ferro do Serviço de Hematologia do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo e nesse ambulatório são atendidos pacientes com HPN há várias décadas. Após a disponibilização de eculizumabe pelo SUS passamos a prescrever a medicação para os pacientes de acordo com o PCDT para HPN., , Positivo e facilidades: Só tenho experiência com o uso de inibidores de C5. A disponibilização de eculizumabe pelo SUS mudou completamente o panorama da doença. Houve abolição ou redução da necessidade transfusional em praticamente todos os pacientes até o momento. Os pacientes que já tinham antecedente de trombose estão sendo mantidos em anticoagulação e não tiveram recidiva. Não houve novos casos de trombose até o momento. O acompanhamento dos pacientes por enquanto é muito curto devido à liberação relativamente recente da medicação pelo SUS., Minha experiência com o ravulizumabe é muito positiva e vem do acompanhamento de 8 pacientes que participaram do protocolo clínico já citado. 7 continuam a receber a droga pelo programa de extensão e estão em acompanhamento há mais de 8 anos. 1 paciente faleceu de causa não relacionada (adenocarcinoma de estômago em paciente de origem japonesa). Nenhum tem necessidade transfusional fora da eventualidade de hemólise de escape decorrente de infecções graves. Não houve recidiva de trombose ou novas trombozes no acompanhamento pós estudo. Não houve hemólise de escape farmacocinética em nenhum caso. Nenhum paciente perdeu alguma infusão ou abandonou o tratamento. , 2 pacientes apresentam hemólise extravascular significativa, embora sem necessidade transfusional, e se beneficiariam do uso de um inibidor proximal., , Negativo e dificuldades: Os inibidores de complemento não curam a HPN, portanto os pacientes têm que permanecer em tratamento ao longo da vida ou até a eventualidade rara da doença ter remissão espontânea., Receber uma medicação endovenosa em hospital, geralmente distante do domicílio, a cada 2 semanas permanentemente, representa uma carga enorme para os pacientes, especialmente os mais necessitados, com limitação importante nas diferentes atividades do cotidiano. , Todos os pacientes em uso de eculizumabe se queixam da frequência das infusões com	3ª - Não	4ª - 1ª linha - O ravulizumabe é da 2ª geração de inibidores de C5 com nítidas vantagens sobre o eculizumabe. Tem meia vida 4 xs maior sendo administrado a cada 8 sem e confere inibição rápida, completa e sustentada de C5. Nos ensaios pivotais (301 e 302), demonstrou bom controle do complemento com menor taxa de hemólise de escape em pacientes virgens de tratamento (Lee JW e cols. Blood. 2019, 133:530-539) e nos que já tomavam eculizumabe (Kulasekararaj AG e cols. Blood.2019, 133:540-549). Apresentou impacto positivo na qualidade de vida (Peipert JD e cols. PLoS One. 2020, 15:e0237497) e os dados de sobrevida mostram probabilidade de sobrevida de 97,7% aos 4 anos (Kulasekararaj A e cols. Ann Hematol.2025, 104:81-94). Num estudo comparativo de hemólise de escape apresentou a menor taxa entre os diferentes inibidores considerando o tempo mais prolongado de seguimento (Fattizzo B, Versino F, Barcellini W. Blood. 2025, 146:411-421)., O crovalimabe, inibidor de C5 de uso subcutâneo administrado de 4/4 sem, demonstrou não-inferioridade em relação ao eculizumabe (Röth A e cols. Am J Hematol.2024, 99:1768-1777) mas apresentou pior desempenho que o ravulizumabe vs eculizumabe com relação à taxa de hemólise de escape, menor independência transfusional e 15,9% dos pacientes apresentaram reações de complexos imunes	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:
		prejuízo das atividades laborais e da qualidade de vida, além da distância, em pacientes que moram em outros municípios e d dificuldade de acesso venoso em alguns deles., Alguns pacientes não comparecem nas datas adequadas apesar da orientação sobre os riscos de atrasar a medicação., O intervalo curto entre as infusões sobrecarrega os centros onde a medicação é infundida, que tem que compartilhar esses atendimentos com o atendimento a outras doenças igualmente graves. , Entre os pacientes em uso de ravulizumabe, 2 pacientes apresentam hemólise extravascular significativa, embora sem necessidade transfusional, e se beneficiariam do uso de um inibidor proximal.,		transitórios durante a transição para eculizumabe (Young DJ. Am J Hematol. 2024, 99:1667-1669). O perfil de segurança foi semelhante para os 2 compostos em todos os estudos pivotais. , 2a linha- A iptacopana e a pegcetacoplana são inibidores proximais e demonstraram controlar a hemólise intravascular e extravascular em pacientes com anemia persistente. A iptacopana tem a vantagem da via oral vs a via subcutânea 2 xs/sem da pegcetacoplana. Uma diferença relevante é a maior incidência e gravidade da hemólise de escape com pegcetacoplana (Peffault de Latour R e cols. N Engl J Med .2024, 390: 994-1008, de Latour RP e cols. Eur J Haematol. 22025, 115:125-133)	

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho 28 anos e recebi o diagnóstico de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) em janeiro de 2022. Descobrir uma doença crônica, rara e irreversível tão jovem foi um baque imenso. Por três anos, minha vida foi moldada pelas infusões de Eculizumab na veia. Quem não vive isso não imagina o peso de depender de hospital: a rotina exaustiva, o cansaço dos deslocamentos e a dor física real cada vez que os enfermeiros não encontravam uma veia para furar. O corpo sofre, mas o psicológico sofre ainda mais ao encarar que o resto da vida seria resumido a uma poltrona de ambulatório., , Tudo mudou em outubro de 2025, quando mudei para o tratamento oral com o Fabhalta (Iptacopana). A melhora foi instantânea. Desde o primeiro comprimido, os episódios de hemólise sumiram, as dores abdominais desapareceram e meus exames de sangue finalmente estabilizaram., , Mas a maior transformação não foi nos números, foi na minha vida. Tratar uma doença grave apenas engolindo um comprimido me devolveu a dignidade e a autonomia. Sou jovem, sedenta pela vida e quero viver meu futuro sem carregar o peso de uma rotina hospitalar invasiva. Só quem convive diariamente com um diagnóstico desses entende o que significa essa liberdade., , O direito à saúde está na Constituição. Pacientes com doenças raras não podem ser ignorados pelo SUS quando a ciência já criou um medicamento eficaz, seguro e que devolve a vida ao paciente. O fornecimento do Fabhalta pela via pública não é um luxo, é a nossa única chance de ter um futuro normal. Peço encarecidamente pela aprovação e incorporação desse protocolo no SUS.	2ª - Sim, Qual: Medicamento Iptacopana (Fabhalta), utilizado por via oral para o tratamento de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)., Positivo e facilidades: O impacto positivo foi imediato e transformou completamente a minha realidade em duas frentes:, , Na minha saúde física: Desde que mudei para o Fabhalta (Iptacopana), os episódios de hemólise sumiram por completo, as dores abdominais desapareceram e os meus exames de sangue finalmente se estabilizaram. Sinto que meu corpo finalmente encontrou o equilíbrio., , Na minha qualidade de vida e saúde mental: A mudança do tratamento na veia para o comprimido oral me devolveu a liberdade. Deixei de viver presa a uma rotina exaustiva de hospitais, deslocamentos e à dor física de quando os enfermeiros não conseguiam encontrar uma veia para furar. Para uma jovem de 28 anos, não precisar passar o resto da vida em uma poltrona de ambulatório restaurou a minha dignidade, o meu psicológico e a minha vontade de planejar o futuro., Negativo e dificuldades: Clinicamente, não percebi nenhum aspecto negativo. Não tive efeitos colaterais e a adaptação ao medicamento foi perfeita., , O único fator negativo é puramente emocional: a angústia e o medo diário de sofrer uma interrupção no tratamento pelo fato de o medicamento ainda não estar incluído na lista oficial do SUS. Viver com a incerteza se terei acesso ao remédio que salvou minha saúde é o único desgaste atual.	3ª - Sim, Qual: O medicamento Eculizumab (Soliris), utilizado por meio de terapia infusional intravenosa no período de janeiro de 2022 a outubro de 2025., Positivo: O principal aspecto positivo foi o controle inicial da doença logo após o diagnóstico em 2022. O Eculizumab cumpriu o seu papel terapêutico essencial naquele momento, atuando na contenção dos danos mais graves da HPN e garantindo a minha sobrevivência e estabilização clínica inicial, antes que eu pudesse migrar para uma alternativa mais moderna e menos invasiva., Negativo: Os aspectos negativos foram profundos e afetaram tanto o meu corpo quanto o meu psicológico. Em primeiro lugar, havia o desgaste físico da via infusional: as idas frequentes ao hospital, as dores constantes e o sofrimento cada vez que as veias falhavam e não se conseguia o acesso para a medicação., , Além disso, pelo fato de o medicamento depender de importação, enfrentei episódios gravíssimos de atraso na entrega. Toda vez que o fornecimento atrasava, meu quadro respondia imediatamente de forma violenta, com o retorno imediato da hemólise. Viver sob o medo constante do desabastecimento e sofrer crises de saúde por falhas logísticas gerava uma vulnerabilidade e uma angústia psicológica insustentáveis.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à manutenção da incorporação do ravulizumabe e à incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacoplana para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), por entender que essas tecnologias ampliam e fortalecem a linha de cuidado da doença., , A HPN é uma doença rara, grave e heterogênea. Os pacientes apresentam manifestações clínicas e respostas terapêuticas diferentes, o que torna essencial a existência de múltiplas opções de tratamento, conforme reconhecido no próprio relatório da CONITEC., , O ravulizumabe representa um importante avanço em relação ao eculizumabe por exigir infusões apenas a cada oito semanas, maior tempo de duração no organismo, reduzindo deslocamentos, impacto na rotina, utilização da estrutura hospitalar e proporcionando maior estabilidade terapêutica. Além disso, sua incorporação já foi aprovada pela CONITEC há mais de dois anos, devendo ser mantida., , O crovalimabe amplia o acesso ao tratamento por permitir administração subcutânea, inclusive em domicílio após treinamento, beneficiando especialmente pacientes com dificuldades de deslocamento., , Já a iptacopana e a pegcetacoplana oferecem alternativas para pacientes que permanecem com atividade da doença, anemia e hemólise persistente apesar do tratamento com inibidores de C5. A iptacopana traz a comodidade da administração oral, enquanto a pegcetacoplana permite tratamento subcutâneo domiciliar e maior flexibilidade terapêutica por meio do ajuste individualizado da dose., , Essas tecnologias não competem entre si, mas se complementam, permitindo que o tratamento seja individualizado conforme as necessidades de cada paciente. Isso representa equidade, melhora da qualidade de vida e uso mais eficiente dos recursos públicos, com potencial para reduzir complicações, transfusões e internações., , Por essas razões, manifesto-me favoravelmente à manutenção da incorporação do ravulizumabe e à incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacoplana no SUS.	2ª - Sim, Qual: Com as quatro tecnologias já pude acompanhar a evolução de pacientes., Positivo e facilidades: A utilização do tratamento correto em razão das especificidades da doença contribuiu significativamente para a recuperação de diversos pacientes, que deixaram de ter problemas com o deslocamento a cada 14 dias para realizar a infusão, indo apenas a cada 8 semanas e tendo ainda uma resposta terapêutica muito melhor em razão de vida muito mais longa no organismo, no caso do Ravulizumabe. Com relação a pacientes que ainda tinham manifestações graves da doença, mesmo em uso de inibidores de C5, pudemos presenciar uma resposta muito favorável quando passaram a fazer uso do pegcetacoplana e do iptacopana. Esses pacientes tiveram redução significativa de hemólise, de necessidade de transfusões, redução da fadiga e do risco de trombose, entre outras situações. , Negativo e dificuldades: Como toda tecnologia, as que estão em avaliação, estas devem ser prescritas para os pacientes de acordo com as especificidades de cada caso. Desta forma, os inibidores de C5 são considerados os tratamentos referência para os pacientes com HPN. Já os inibidores próximos (Pegcetacoplana e iptacopana) são recomendados para um sub grupo de pacientes, que mesmo em uso dos inibidores de C5 ainda continuam com sintomas graves da doença. Nestas circunstâncias, de utilização, não tivemos conhecimento de situações desfavoráveis..	3ª - Sim, Qual: Com Eculizumabe. O primeiro inibidor de C5 disponível mundialmente e que representou um marco importantíssimo para o controle da doença. , Positivo: Como dito, representou um marco para o tratamento da HPN, pois foi o primeiro tratamento disponível para um doença rara, extremamente grave e potencialmente fatal., Restabelecendo a saúde de centenas de pacientes ao longo dos anos. Estes pacientes não tinham nenhum tratamento disponível e com o advento do Eculizumabe passaram a ter uma melhora de saúde significativa e uma redução drástica de óbito. , Negativo: Sobre o Eculizumabe: , Os principais aspectos negativos são: infusão a cada 14 dias, o tempo de duração do medicamento no organismo extremamente curto. Muitos pacientes relatam sintomas da doença dias antes de chegar a data da próxima infusão. Problemas de deslocamento aos centros de infusão em períodos tão curtos e em muitos casos, pacientes tendo que percorrer distâncias extremamente longas, perdendo um ou dois dias a cada ciclo (até quatro dias no mês, até 48 dias no ano) o que impacta negativamente em sua vida, seja nos estudos, manutenção do trabalho, familiar ... , Dificuldade de acesso venoso para as constantes infusões e ainda a resposta inadequada para um sub grupo de pacientes que necessitam dos inibidores próximos para controle efetivo da doença, principalmente da 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:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como fabricante da tecnologia iptacopana, a Novartis Biociências S.A. se manifesta favoravelmente à sua incorporação.	2ª - Sim, Qual: Vide documento anexo., Positivo e facilidades: Vide documento anexo., Negativo e dificuldades: Vide documento anexo.	3ª - Sim, Qual: Vide documento anexo., Positivo: Vide documento anexo., Negativo: Vide documento anexo.	4ª - Vide documento anexo.	5ª - Vide documento anexo.
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, "A análise custo benefício é desfavorável para incorporação, além disso trata-se de uma medicação paliativa, não há ""cura"" da doença. , O médico julga de forma individual, com a sua compaixão e se esquece do maléfico coletivo do elevado custo na incorporação. Na minha opinião até o uso judicial deveria não ser contemplado. "	2ª - Sim, Qual: Perito judicial em caso de ecilizumabe. , Positivo e facilidades: Melhora limitada ao uso com fase de piora acentuada com a interrupção., Negativo e dificuldades: Mais o custo mesmo.	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:
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente com HPN e sei, na prática, o impacto que essa doença tem na nossa vida. Por isso, apoio a disponibilização de novas opções de tratamento. Quanto mais alternativas terapêuticas tivermos, maior será a possibilidade de melhorar a qualidade de vida dos pacientes, reduzir complicações e permitir que cada pessoa receba o tratamento mais adequado para o seu caso. Espero que esse medicamento possa beneficiar muitos pacientes com HPN.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Sou paciente com HPN e gostaria de compartilhar minha experiência. Antes de iniciar o tratamento com Soliris, meus exames apresentavam alterações importantes e eu convivia com muito cansaço, insegurança e preocupação constante com as complicações da doença., , Desde que comecei o tratamento com Eculizuma (Soliris), com infusões a cada 15 dias, minha vida mudou completamente. Meus exames melhoraram significativamente, a doença passou a ficar controlada e hoje consigo levar uma vida praticamente normal. Posso trabalhar, conviver com minha família e planejar o futuro com muito mais tranquilidade., , O tratamento trouxe uma melhora enorme na minha qualidade de vida e me devolveu a capacidade de realizar atividades que antes eram muito limitadas pela HPN. Por isso, acredito que é fundamental que os pacientes tenham acesso às melhores opções terapêuticas disponíveis. Para quem convive com uma doença rara como a HPN, um tratamento eficaz não representa apenas a melhora dos exames, mas a possibilidade de viver com dignidade, segurança e esperança., , Espero que cada vez mais pacientes possam ter acesso a tratamentos que transformem suas vidas, assim como aconteceu comigo., Positivo: O Soliris trouxe apenas benefícios para a minha vida. Desde o início do tratamento, meus exames melhoraram, a doença ficou controlada e hoje consigo ter uma vida praticamente normal., Negativo: A única dificuldade é a forma de acesso ao tratamento. Moro em Alfenas, no sul de Minas Gerais, e preciso realizar as infusões no hospital de referência em Juiz de Fora. A cada 15 dias, preciso fazer uma viagem que totaliza cerca de 15 horas entre ida e volta, o que gera desgaste físico, perda de tempo e impacto na rotina de trabalho e familiar.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Necessita ser incorporado ao sus em caráter de urgência	2ª - Sim, Qual: No serviço privado , Positivo e facilidades: Melhor resposta a doença , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Pior que a em questão , Negativo: Posologia	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, EU, MÉDICA, ACOMPANHO PACIENTES QUE NECESSITAM DE TAIS MEDICAÇÕES DEVIDO REFRATARIEDADE DE MEDICAÇÕES DISPONÍVEIS PELO GOVERNO. PACIENTES POSSUEM GRANDE DIFICULDADE DE ADMINISTRAÇÃO E MANUTENÇÃO DA MEDICAÇÃO ATUALMENTE USADA NO SUS. ACREDITO QUE TODAS ESSAS MEDICAÇÕES DEVERIAM SER INCORPORADAS NO SISTEMA UNICO DE SAUDE JÁ QUE EXISTEM DIVERSOS FENOTIPOS DA DOENÇA EM NOSSO MEIO E QUE CADA PACIENTE SE ADAPTA A CADA TIPO DE ADMINISTRAÇÃO (VO, EV, SC).	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: VIA DE ADMINISTRAÇÃO - VO E SC - ALÉM DE MAIOR MEIA VIDA, O QUE POSSIBILITA MAIOR TEMPO DE RETORNO, JÁ QUE MUITOS PACIENTES MORAM LONGE, EM REGIOES AFASTADAS E POSSUEM MUITAS DIFICULDADE DE LOCOMOÇÃO , Negativo e dificuldades: SOMENTE UMA VIA POSSIVEL - EV	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve se r incorporada na rede sus para , ajudar as pessoas que nessecita da medicação..	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, PACIENTES NECESSITAM DAS MEDICAÇÕES COMO REFERENCIA DE TRATAMENTO, POIS OS TRATAMENTOS ATUAIS DISPONIBILIZADOS TRAZEM MENOS BENEFICIOS AOS PACIENTES E DEVIDO A POUCA DISPONIBILIDADE, FICAM SEM MEDICAMENTOS E SINTOMATICOS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença grave e rara e seu tratamento nem sempre bloqueia a doença completamente. Infecções pioram o quadro e isso afeta muito os pacientes: seu trabalho, sua vida social, etc. É preciso que o SUS tenha mais opções terapêuticas porque cada paciente responde de sua maneira aos trataemtnos. Por fim, é preciso levar em conta os custos em torno do deslocamento para um centro de tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Minha amiga que tem HPN usou Soliris por infusão., Positivo: Menos anemia, menos transfusões, mais qualidade de vida para ela, que nunca teve trombose., Negativo: A doença, contudo, não foi controlada por completo, fora a dependência de infusões frequentes (com o deslocamento associado, o tempo, o custo, etc.).	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Viagens longas de 15 em 15 dias , dependência da unidade de infusão, com a nova medicação tem a melhora da qualidade de vida e exames laboratoriais, melhora do cansaço e controle da hemolise extravascular e intravascular .	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Meu irmão faz uso do soliris, Positivo: Melhora da fadiga ., Negativo: Só a dependência da unidade de infusão que fica a 400 km de casa	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médica hematologista que realiza acompanhamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna fico muito preocupada com o descaso que está ocorrendo com essa população. , Apesar de estar disponível o tratamento com eculizumab, aproximadamente 50% dos pacientes que acompanham no nosso centro (n = 7) apresentam resposta parcial ou menor, sendo que 4 pacientes apresentam dependência transfusional devido a hemólise extravascular. Esses pacientes podem apresentar extremo benefício com uso de inibidores proximais como iptacopana ou pegcetacopana. A perda na qualidade de vida desses pacientes é muito grande com dificuldade dos mesmos em se manter no emprego ou nos estudos devido a quantidade de dias necessários as consultas, infusões e transfusões., Também com relação a primeira linha de tratamento, tanto o uso de ravulizumab como o de crovalimab permite uma maior qualidade de vida para os pacientes com redução da quantidade de infusões ou até mesmo evitando deslocamento para os centros de infusão., É bem sabido que muitos pacientes do Brasil necessitam de grande deslocamento para realizarem as suas infusões de eculizumab com perda de até 2 dias para chegarem ao centro., Por fim é importante oferecer o máximo de tecnologias disponíveis pois cada paciente é único e os mesmos podem apresentar dificuldade de acesso venoso, dificuldade para aplicação de medicamento subcutâneo ou dificuldade para ingestão via oral e a presença de diferentes alternativas disponibiliza o melhor tratamento para cada pessoa.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Melhora dos exames e sintomas dos pacientes, Negativo: Necessidade de comparecimento frequente ao centro para múltiplas infusões	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Só quem é paciente sabe a importância de ter mais de uma droga disponível para os pacientes. Isso ajudará a ter mais tranquilidade para uma vida mais digna	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab , Positivo: Conseguir viver em sociedade com uma quantidade de vida melhor, Negativo: Nenhum	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: , Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo: Ela melhorou de saúde e também porque o Ravulizumabe por ser a cada 8 semanas, ajudou a melhorar a rotina dela em ter que procurar o centro de infusão para tomar a medicação e fazer exames. , Negativo: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tratamento fundamental para muitas pessoas.	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Diante do exposto pelo relatório técnico me parece que os medicamentos apresentaram benefícios aos portadores da hemoglobinúria paroxística noturna. A justificativa para a negativa da Conitec referente à questões orçamentárias ou dos pacientes já serem assistidos de alguma forma pelo SUS não superam as melhorias que a incorporação desses tratamentos à rede pública traria para os pacientes. Considerando ser uma condição de saúde que impacta severamente a qualidade de vida (por conta da necessidade de administrações recorrentes, deslocamento para ambiente hospitalar, ausências laborais), torna-se razoável investir em alternativas que mitiguem essas adversidades	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os medicamentos para hpn podem contribuir significativamente para qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Medicamento Eculizumabe., Positivo: Redução dos quadros de hemólise e dores. , Negativo: Não sei informar.	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha irmã e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara e grave, em que pacientes, ainda que em tratamento, permanecem com sintomas. Tratamentos adequados podem melhorar a qualidade de vida de pacientes, sendo importante que esteja disponíveis para pessoas em diferentes localidades, com fácil acesso. A ciência tem o poder de melhorar a vida das pessoas e a saúde é um direito fundamental que deve ser assegurado a todas as pessoas.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris (eculizumabe) por infusão., Positivo: Menos anemia, menos transfusões, mais qualidade de vida. Ajudou a segurar o LDH, me manteve esses anos todos sem trombose. Dá para perceber os efeitos passando perto da próxima infusão., Negativo: Mesmo com ele a doença nao fica controlada por completo. Piora com infecções e a dependência de infusões frequentes, por isso a importância de mais opções no SUS.	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atender a demanda de tratamento adequado da hemoglobinúria paroxística noturna contemplando opções terapêuticas /linhas de tratamento necessárias caso falhas em primeira linha, bem como favorecendo o acesso ao tratamento àqueles que precisam conforme suas limitações (distância do centro de infusão, por exemplo, falhas de resposta a outras linhas, dentre outros).	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: controle de doença hemolítica, menos fadiga e melhor qualidade de vida, Negativo: controle incompleto de hemólise	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 com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a minha vida. Sou médica obstetra e, antes do diagnóstico, passei meses convivendo com sintomas incapacitantes, sem entender a causa. Tive uma hemólise grave, com hemoglobina de 7,8 g/dL, DHL superior a 3.500 U/L e bilirrubinas de 3,5 mg/dL. Fui internada e, felizmente, um médico clínico suspeitou de HPN e solicitou a citometria de fluxo, exame que confirmou o diagnóstico., , Iniciei o tratamento com eculizumabe pelo SUS. A medicação controlou a doença e foi fundamental para preservar minha vida. Entretanto, a rotina do tratamento era extremamente desgastante. A cada 15 dias eu precisava me deslocar até o HEMOPE para receber a infusão, além de realizar exames frequentes e comparecer às consultas médicas. Conciliar esse tratamento com a rotina intensa da medicina tornou-se um enorme desafio., , Mesmo com o tratamento, convivi por muito tempo com fadiga intensa, fraqueza constante, dores importantes nos membros inferiores e taquicardia aos mínimos esforços. Esses sintomas limitaram profundamente minha vida pessoal e profissional. Muitas vezes eu não tinha disposição sequer para sair de casa., , A HPN me obrigou a abrir mão de oportunidades importantes. E passou a exigir um esforço físico enorme com a doença., , Neste ano iniciei o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar. A mudança na minha qualidade de vida foi evidente. Medicação com melhor estabilidade, infusão a cada 8 semanas. O ravulizumabe é atualmente uma das principais terapias para HPN, solicito que não haja retrocesso na sua incorporação ao SUS. O crovalimabe é subcutâneo mensal e também ajudará na qualidade de vida das pessoas. E as demais medicações também são muito importantes para cada caso, principalmente quem não responde mais aos inibidores de C5. Nesse contexto, tanto a iptacopana quanto o pegcetacoplana têm um papel muito importante., , Solicitamos a incorporação dessas medicações.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe-, Neste ano iniciei o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar. A mudança na minha qualidade de vida foi evidente. Medicação com melhor estabilidade, e a infusão a cada 8 semanas, melhora a qualidade de vida. O ravulizumabe é atualmente uma das principais terapias recomendadas para HPN, solicito que não haja retrocesso na sua incorporação ao SUS. Minha Hb hoje é maior que 11,0. Menos fadiga, mais disposição física. , Positivo e facilidades: A mudança na minha qualidade de vida foi evidente. Medicação com melhor estabilidade, e a infusão a cada 8 semanas, melhora a qualidade de vida porque eu não tenho mais que estar indo tomar medicação a cada 15 dias. E pode fazer exames também a cada dois meses. O ravulizumabe é atualmente uma das principais terapias recomendadas para HPN, solicito que não haja retrocesso na sua incorporação ao SUS. Minha Hb hoje é maior que 11,0. Menos fadiga, mais disposição física. , Negativo e dificuldades: A burocracia da importação. O meu seguro saúde exige varios documentos a cada 2 meses para para fazer a compra. Na ultima dose recebi com atraso porque ficou retido na Anvisa no aeroporto de Guarulhos vários dias, e o atraso para tomar a medicação foi suficiente para eu começar a hemolisar. Muito angustiante! Na hora que incorpora no Sus, a medicação terá mais facilidade para importação. E até pode baixar o preço.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho importantíssimo a incorporação da tecnologia pelo 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Não sei sobre o assunto	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A vida destes pacientes com tratamentos sintomáticos é extremamente difícil	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A medicação pelo SUS pode mudar a vida dos pacientes com a condição, permitindo uma vida mais perto do normal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha cunhada e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com ecuzumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer..., [16:16, 04/07/2026] Cinthia: Qual tecnologia você tem experiência?, Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O eculizumabe revolucionou o tratamento da HPN, alcançando uma expectativa de vida hoje para os pacientes próxima da população geral. Entretanto, entendo que podemos otimizar o tratamento desses pacientes, visando além de expectativa de vida. Nesse contexto, considero que a incorporação do ravulizumabe em primeira linha manteria a eficácia atingida com o eculizumabe com a vantagem de maior comodidade posológica (infusão endovenosa a cada 8 semanas), a qual não só favorece a adesão do paciente mas também racionaliza a logística hospitalar, visto real dificuldade com salas de vagas para infusão, mesmo em centros de referência. O crovalimabe permanece como boa alternativa em primeira linha e também oferece melhor comodidade posológica em relação ao eculizumabe, mas com menor tempo de seguimento pós estudo em relação ao ravulizumabe e necessidade de manter medicação refrigerada em casa ou comparecimento ao centro para aplicação a cada 4 semanas. Além disso, uma parcela considerável dos pacientes tratados com inibidores de C5 permanecem com hemoglobina abaixo de 10, por vezes com necessidade transfusional e fadiga, decorrentes da hemólise extravascular não controlada. Nesse contexto, os inibidores de via alta surgiram como opções de segunda linha. O iptacopana é um inibidor do fator B da via alternativa que possui como principal vantagem a comodidade posológica de via oral com controle de hemólise intravascular, hemólise extravascular, melhora de fadiga e, não, menos importante, redução da ocorrência de hemólise de escape clínica quando comparado diretamente com os inibidores de c5. Já o pegcetacopana atua inibindo c3, com bom controle anemia residual por hemólise extravascular. Porém, sua administração subcutânea 2x/sem e a necessidade de manutenção de bloqueio de C3 de forma muito consistente para evitar a ocorrência de hemólise de escape me preocupam, com múltiplos relatos de necessidade de aumento de dose, conforme previsto em bula.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Crovalimabe, Iptacopana, Positivo e facilidades: Crovalimabe: 6 pacientes em nosso centro em uso dessa medicação, com boa adesão terapêutica e bom controle de hemólise em 5/6 casos. Esse paciente sem controle está em vias de iniciar tratamento com iptacopana. , Ravulizumabe: 2 pacientes em nosso centro em uso dessa medicação, com boa adesão terapêutica e bom controle da hemólise em 2/2 casos., Iptacopan: temos atualmente 1 paciente em nosso centro em uso de iptacopan. Este paciente estava em em uso de eculizumabe desde 2011. A partir de novembro de 2024, passou a apresentar episódios recorrentes de hemólise de escape. Foram 4 episódios em 1 ano desencadeados, na maioria das vezes, por eventos infecciosos amplificadores de complemento, com necessidade de internação e transfusão de hemácias. Além disso, o paciente apresentava um FACIT-F de 23 pontos, abaixo da média esperada para pacientes com HPN e muito inferior à população saudável, refletindo fadiga clinicamente relevante e prejuízo nas atividades diárias e laborais. Diante da recorrência de hemólise de escape, necessidade transfusional nos episódios e impacto significativo em fadiga, foi iniciada iptacopana em novembro de 2025. Após 2 semanas, houve melhora expressiva dos parâmetros clínicos e laboratoriais, com aumento da hemoglobina de 11,2 para 13,9 g/dL e melhora do FACIT-F de 23 para 32 pontos. No último retorno, em maio de 2026, mesmo após sintomas gripais pós-vacinação, condição potencialmente amplificadora do complemento, o paciente manteve hemoglobina de 16,7 g/dL, LDH de 253 U/L e reticulócitos de 180 mil. O paciente atualmente está realizando flebotomias para tratamento de sobrecarga de ferro, reforçando a mudança do perfil clínico após controle da anemia e da hemólise. Tivemos também outra experiência em paciente de 81 anos com HPN e SMD com bom controle de hemólise e redução da transfusional após troca de eculizumabe por iptacopana, sendo que medicação foi mantida com melhora de qualidade de vida e redução de idas ao hospital até seu óbito por SMD., Negativo e dificuldades: Crovalimabe: me preocupa o paciente armazenar o medicamento em sua própria casa, sem controle de temperatura de forma adequada.	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:
Pessoa com a condição de saúde	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilita muito a comunicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
04/07/2026					

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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença hematológica rara, crônica e potencialmente fatal, caracterizada por ativação desregulada do sistema complemento, resultando em hemólise intravascular e extravascular, anemia, trombose, fadiga intensa, comprometimento da função renal e importante impacto na qualidade de vida. Embora os inibidores do complemento tenham transformado o prognóstico desses pacientes, ainda persistem necessidades não atendidas, como hemólise residual, dependência transfusional, resposta inadequada em parte dos pacientes e limitações relacionadas à frequência ou via de administração dos medicamentos., , Nesse contexto, a incorporação de Ravulizumab, Crovalimab, Pegcetacoplan e Iptacopan ampliaria as opções terapêuticas, permitindo maior individualização do tratamento de acordo com as características clínicas e preferências dos pacientes. Essas terapias demonstram eficácia no controle da hemólise, aumento dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões e da fadiga, além de oferecerem benefícios como intervalos mais longos entre infusões, administração subcutânea ou via oral, favorecendo adesão, qualidade de vida e potencial redução da utilização de recursos de saúde decorrente da prevenção de complicações da doença.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Foi o Primeiro tratamento capaz de modificar de forma significativa a história natural da HPN., Promoveu Excelente controle da hemólise intravascular e Redução importante da necessidade de transfusões em muitos pacientes além de Redução expressiva do risco de eventos trombóticos, principal causa de mortalidade na HPN., De fato mudou a história natural da doença Melhorando da sobrevida e da qualidade de vida com Perfil de eficácia e segurança consolidado, com ampla experiência de uso na prática clínica., Negativo: Embora o Eculizumab tenha revolucionado o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna, algumas limitações são observadas na prática clínica. A necessidade de infusões intravenosas a cada 14 dias impõe impacto significativo na rotina dos pacientes, exigindo deslocamentos frequentes aos centros de infusão, maior utilização de recursos assistenciais e interferência nas atividades profissionais, acadêmicas e familiares. Além disso, por atuar apenas no C5, o eculizumabe não controla a hemólise extravascular, fazendo com que parte dos pacientes permaneça com anemia, fadiga e necessidade de transfusões, mesmo com adequado controle da hemólise intravascular. Também podem ocorrer episódios de hemólise de escape ("breakthrough hemolysis"), especialmente em situações de maior ativação do complemento ou próximo ao final do intervalo entre as doses. Nesse contexto, a incorporação de novas terapias, como Ravulizumab, Crovalimab, Pegcetacoplan e Iptacopan, permitirá maior individualização do tratamento, oferecendo alternativas com intervalos mais longos entre administrações, vias de uso mais convenientes e, em alguns casos, controle mais abrangente da hemólise, com potencial para melhorar os desfechos clínicos e a qualidade de vida dos pacientes.	4ª - As evidências clínicas atualmente disponíveis demonstram que os novos inibidores do complemento mantêm ou superam os desfechos obtidos com o tratamento padrão em diferentes aspectos do manejo da HPN. Os estudos de fase III 301 e 302 demonstraram que o Ravulizumab é não inferior ao eculizumabe no controle da hemólise intravascular, estabilização da hemoglobina e redução da necessidade transfusional, com a vantagem de infusões a cada oito semanas. O estudo COMMODORE 2 demonstrou que o Crovalimab apresentou eficácia semelhante ao eculizumabe, associada à administração subcutânea. Para pacientes com resposta hematológica inadequada aos inibidores de C5, os estudos PEGASUS e APPLY-PNH mostraram que Pegcetacoplan e Iptacopan, respectivamente, proporcionaram melhora significativa da hemoglobina, maior independência transfusional e melhor controle da hemólise residual, reforçando o benefício de ampliar as opções terapêuticas para uma abordagem mais individualizada da HPN., , Referências, , 1. Robert A. Brodsky, et al. Ravulizumab versus eculizumab in adult patients with PNH who were complement inhibitor-naïve (Study 301). Blood. 2019, 133:530-539., 2. Austin G. Kulasekararaj, et al. Ravulizumab versus eculizumab in clinically stable patients with PNH previously treated with eculizumab	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:
				(Study 302). Blood. 2019, 133:540-549., 3. Hubert Schrezenmeier, et al. Crovalimab versus eculizumab in complement inhibitor-naïve patients with PNH (COMMODORE 2). The Lancet. 2024., 4. Alexander Röth, et al. Pegcetacoplan versus eculizumab in patients with PNH (PEGASUS). New England Journal of Medicine. 2021, 384:1028-1037., 5. Austin G. Kulasekararaj, et al. Oral iptacopan monotherapy in PNH (APPLY-PNH). New England Journal of Medicine. 2024, 390:1389-1402.	

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 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Atualmente temos apenas um inibidor de C5 disponível., mas é importante termos outras opções (pacientes podem ter alergia ou não apresentar resposta). Os dados de eficácia e eventos adversos entre ravalizumabe e eculizumabe são comparáveis. Destaco que o ravalizumabe possui ganhos diretos e indiretos (redução de carga de infusões e logística do sistema de saúde pois é a cada 8 semanas possibilidade de atrelar consulta médica, exames e infusão no mesmo dia garantindo o tratamento adequado, As negociações do custo apontadas no relatório direcionam para um gasto previsível comparável ao atual gasto com Eculizumabe com a possibilidade de reduzir a realidade de qualidade de vida dos pacientes por redução da carga de infusões., Dados indicam que a hemólise extravascular desses casos podem alcançar até 50% dos pacientes, desta forma, é importante termos arsenal terapêutico para esses casos, neste cenário, destaco as medicações Pegcetacopana e Iptacopana. Cada medicação tem características que podem, a depender do paciente, ser a melhor escolha (uma subcutânea, outra via oral). Destaco os dados de Hb 12g/dl alcançados nos trabalhos pivotais da Iptacopana o que torna mais animador a possibilidade deste tratamento como alternativa para resposta TOTAL ao tratamento da HPN., Acredito que a aquisição dessas medicações de ponta deve ser encarada não como um custo isolado, mas como um investimento estratégico, a redução de complicações clínicas graves, a melhora da fadiga dos pacientes, a diminuição da dependência de transfusões e a menor demanda por suporte hospitalar geram uma eficiência operacional que justificam o acesso a essas tecnologias, garantindo um tratamento sustentável, humanizado e alinhado com o que há de mais moderno na medicina baseada em evidências.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe. , Ótima medicação, mas a realidade é que alguns pacientes mantêm uma fadiga que impede retornar ao mercado de trabalho, as infusões quinzenais atrapalham contratações trabalhistas e há que se destacar a anemia residual. Por isso a importância do acesso a novas tecnologias., Positivo: Redução de transfusões, melhora da hemólise e redução de ventos trombóticos, Negativo: infusões quinzenais, sem alternativas para os pacientes que não respondem.	4ª - Todos os estudos pivotais foram citados no relatório preliminar	5ª - os estudos de farmacoeconomia deveriam levar em conta os dias sem trabalhar dos pacientes (para infundir e para buscar o remédio na farmácia cidade), a carga infusional das instituições de saúde.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de suma importância que seja incorporado para melhorar a qualidade de vida dos pacientes	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É o único medicamento eficaz contra a hemólise da Hemoglobínúria Paroxística Noturna com diminuição da anemia e risco de trombose característicos dessa doença. ,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Melhora da anemia e dos sintomas de cansaço , Negativo e dificuldades: Nada digno de nota	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora da anemia e dos sintomas de cansaço , Negativo: Nada digno de nota	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 04/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A pessoa com essa doença precisa ir a um centro médico especialista a cada 15 dias para aplicar a medicação necessária, e o remédio ajudaria a melhorar a qualidade de vida do paciente para que ele precise apenas a cada 2 meses.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, ", Sou totalmente a favor da incorporação dessas novas medicações (Ravulizumabe, Crovalimabe, Pegcetacoplane e Iptacopana) porque o tratamento atual oferecido pelo SUS não é suficiente. Muitos pacientes, assim como eu, continuam sofrendo com anemia crônica, fraqueza e hemólise ativa mesmo usando o remédio disponível., , Essas novas opções trazem o que a medicina tem de mais moderno e eficaz e dão mais liberdade ao paciente, seja reduzindo as idas ao hospital (com doses a cada 2 meses), permitindo o tratamento em casa através de injeções na pele, ou até mesmo eliminando as agulhas por completo com o uso de comprimidos., , Aprovar esses medicamentos é dar aos pacientes do SUS o direito de parar de viver dentro de um hospital a cada duas semanas e, finalmente, recuperar a saúde física, o equilíbrio psicológico e a dignidade."""	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Faço tratamento com o Eculizumabe pelo SUS, que hoje é a minha única opção, mas continuo sofrendo com a anemia e a hemólise. Além do desgaste físico, o impacto psicológico é enorme: é muito difícil lidar com a dependência diária dessa medicação para viver e ter que ir ao hospital a cada duas semanas, Positivo: Embora o Eculizumabe imponha uma rotina hospitalar quinzenal desgastante e não resolva todos os meus sintomas físicos, o aspecto mais positivo desse tratamento é a sua função vital: ele me mantém viva. Conviver com as limitações que a medicação traz é um desafio diário, mas reconheço o valor de ter essa barreira protetora que, mesmo com falhas, garante a minha sobrevivência e a chance de continuar lutando por dias melhores., , Negativo: O tratamento exclusivo com Eculizumabe tornou-se ineficiente porque não controla totalmente a anemia e a hemólise, além de impor uma rotina hospitalar quinzenal exaustiva. O acesso a medicações mais modernas eliminaria esses sintomas físicos e reduziria drasticamente o desgaste psicológico do paciente.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha irmã e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha cunhada e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida de uma pessoa da família e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha mãe e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas., Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tudo que for feito pra ajudar diagnóstico, tratamento e qualidade de vida de pessoas portadoras da doença deve ser feito pois é direto garantido na constituição brasileira.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hoje disponível no SUS temos eculizumabe que revolucionou tratamento da HPN, com melhora importante da sobrevida, mas administração a cada 2 semanas pode ser desafio logístico para alguns pacientes que eventualmente morem longe de centros de infusão, com ravulizumabe e crovalimabe sendo opção com melhor posologia. cerca de 15 a 20% dos pacientes apresentam hemólise extra vascular importante, com níveis baixos de hemoglobina, sendo importante opção de inibidor de complemento proximal para esses pacientes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Eculizumabe mudou vida dos pacientes com HPN, tornado sobrevida dos pacientes igual da população em geral, posologia na fase manutenção a cada 2 semanas pode ser desafio logístico para alguns pacientes, Negativo: Posologia a cada 2 semanas, Ocorrência de hemólise extravascular sintomática e que impacta vida dos pacientes	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento comprovadamente mais eficaz para a patologia em questão, quando comparado aos usados atualmente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Por ser um medicamento de alto custo e usado por muitos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Auxiliará pessoas com menos condições de realizar o tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Vai ajudar a identificar e tratar pessoas que utilizam a rede pública de saúde.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, que é a iptacopana?, A iptacopana é o primeiro inibidor oral do Fator B da via alternativa do complemento aprovado para tratamento de adultos com HPN. Atua de forma proximal na cascata do complemento, controlando tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular. ?, Serviços e Informações do Brasil · , , 2.? ?Qual a necessidade não atendida na HPN?, Mesmo com inibidores de C5 (eculizumabe e ravulizumabe), parte dos pacientes permanece apresentando:, •? ?Anemia persistente, •? ?Hemólise extravascular residual, •? ?Necessidade de transfusões, •? ?Fadiga importante, •? ?Impacto na qualidade de vida, A iptacopana surge como alternativa para pacientes que permanecem anêmicos apesar do tratamento padrão. ?, Serviços e Informações do Brasil · , , 3.? ?Principais resultados clínicos, Estudo APPLY-PNH, Pacientes previamente tratados com anti-C5 e com anemia residual apresentaram:, ? Aumento sustentado dos níveis de hemoglobina, ? Redução dos marcadores de hemólise, ? Menor necessidade transfusional, ? Melhora da fadiga e da qualidade de vida, ? Elevada taxa de independência transfusional, Estudo APPOINT-PNH, Pacientes sem tratamento prévio apresentaram:, ? Controle efetivo da hemólise, ? Ganho significativo de hemoglobina, ? Redução ou eliminação da necessidade de transfusões, ? Perfil de segurança consistente, Os estudos de fase III demonstraram que grande parte dos pacientes atingiu níveis próximos ao normal de hemoglobina sem necessidade de transfusão. ?, Serviços e Informações do Brasil · , , 4.? ?Benefícios práticos para o paciente, •? ?Tratamento totalmente oral, •? ?Menor dependência de centros de infusão, •? ?Redução de deslocamentos frequentes para tratamento, •? ?Maior autonomia e adesão terapêutica, •? ?Potencial melhora da capacidade laboral e atividades diárias, •? ?Menor impacto na rotina familiar ?, Serviços e Informações do Brasil, ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Não gostei . Prefiro a apresentação oral que melhora a qualidade de vida dos pacientes., , A contribuição pode destacar que o controle mais efetivo da anemia e da hemólise pode resultar em:, •? ?Menor necessidade de transfusões sanguíneas, •? ?Menor utilização de recursos hospitalares, •? ?Menor demanda por infusões recorrentes, •? ?Potencial redução de complicações associadas à doença, Esses fatores podem representar benefícios assistenciais relevantes para pacientes com HPN. ?, Serviços e Informações do Brasil, Negativo: Nenhum	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Apesar do eculizumabe ser medicação que bloqueia a hemólise intravascular, ele pode induzir a hemólise extravascular que em alguns pacientes (20 - 25%), mantem níveis baixos de hemoglobina com necessidade transfusional. Inibidores de via proximal do complemento, como a iptacopana e pegcitaloplane são drogas bem indicadas para esses pacientes. Acho que a a ipitacopana ou a pegcetacoplane poderiam ser oferecidos para esses pacientes como terapia de segunda linha.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Tive 2 pacientes que receberam ecuzumabe. A primeira paciente era uma mulher jovem que apresentou boa resposta, mantinha níveis de hemoglobina sustentada, sem necessidade transfusional, entretanto faleceu por complicação infecciosa. O segundo paciente, homem de meia idade, tinha anemia aplástica que evoluiu para HPN clássica, respondeu ao ecuzumabe, tendo normalização do DHL, entretanto manteve sinais de hemólise extravascular e dependência transfusional., Negativo: O ecuzumabe induziu a hemólise extravascular , Aplicação em intervalos curtos e via endovenosa,	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes., , Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacoplane., , Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos., , Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública. Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes., , Desde que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes., , Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo para trabalhar, descansar e ficar com a família., , Na prática, o ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade de viver com muito mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a hemólise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe / Solires, Positivo: O ecuzumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras opções de tratamento.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes., , Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacoplana., , Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos., , Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública. Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes., , Desde que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes., , Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo para trabalhar, descansar e ficar com a família., , Na prática, o ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade de viver com muito mais tranquilidade., , Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe/Solires, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras opções de tratamento.,	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu atuo como médico hematologista no sistema único de saúde sendo um dos responsáveis no acompanhamento, seguimento e tratamento dos paciente com hemoglobinúria paroxística noturna no DF. Trata-se de uma doença rara com alta morbidade e elevada mortalidade caso esteja sem tratamento ou apresente complicações ou não apresente melhor resposta ao tratamento atualmente padronizado. Após incorporação do eculizumabe foi um grande avanço no tratamento conseguindo reduzir drasticamente custos com internação, custos sociais como reganho da capacidade laboral e diminuição de mortalidade por todas as causas nesse grupo de paciente, porém apesar do tratamento eficaz ainda existe uma demanda reprimida relacionada aos paciente que ainda apresentam hemólise de escape, aqueles que não apresentam resposta completa ao tratamento, portanto novas tecnologias com novos alvos terapêuticos, melhor perfil de segurança, maior comodidade de uso, alguns tratamentos como ravulizumabe além de tratar paciente mesmo sem resposta completa atendendo a demanda reprimida existente, ainda apresenta melhor perfil de posologia. portanto sou favorável à incorporação de ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana para o tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna. , Por trata-se de doença rara são poucos paciente o que pode diminuir o quociente custo/efetividade, custo financeiro e o QALY utilizado pela conitec, mas a melhora no tratamento dos paciente é substancialmente e a partir de um tratamento eficaz reduz-se diversos custos indiretos relacionados às intercorrências como infecções, trombozes e morte que podem ocorrer no curso de doença parcialmente controlada, caso atual de demanda não atendida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizimabe, Positivo: Tratamento que consegue controlar a doença e reduzir suas complicações, melhorando a qualidade de vida e sobrevida dos pacientes , excelente perfil de segurança do medicamento, Negativo: pacientes possuem posologia de infusão de medicamento a cada duas semanas e medicamento é utilizado endovenoso	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza, e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de, tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe,, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham, acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacopana. Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa, dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo, internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública., Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a, realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o, ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada, 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e, qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS,, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde, que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao, tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste, com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes., Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até, dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens, diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação, e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo, para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o, ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais, qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade, de viver com muito mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO, atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a, hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento, ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe / Solires, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu, papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando, necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta, diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho,, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos, tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em, toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser, suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras, opções de tratamento.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa, doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza, e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das, constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por, isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de, tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a, aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe,, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que, pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham, acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacopana. Cada, pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa, dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado, para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo, internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também, quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a, reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública., Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande, retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a, realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse, tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o, ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada, 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e, qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS,, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde, que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao, tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste, com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes., Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até, dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens, diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação, e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo, para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o, ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais, qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade, de viver com muito mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO, atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a, hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento, ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe / Solires, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu, papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando, necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta, diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho,, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos, tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em, toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser, suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras, opções de tratamento.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação das tecnologias em avaliação no SUS é fundamental para otimizar o tratamento da Hemoglobínia Paroxística Noturna (HPN). As evidências clínicas demonstram não inferioridade ou superioridade em subpopulações específicas, como a pegcetacopana para pacientes com anemia residual. Além disso, a perspectiva do paciente é consistentemente positiva, com relatos de melhora significativa na qualidade de vida, redução da carga de tratamento (menos infusões, autoadministração, via oral) e maior autonomia., Embora a CONITEC tenha expressado preocupações com a sustentabilidade econômica e a competitividade de preços frente à futura entrada de biossimilares do eculizumabe, as análises econômicas para crovalimabe e pegcetacopana indicam potencial de custo-minimização ou economia orçamentária em cenários específicos. A diversificação do arsenal terapêutico, com opções que atuam em diferentes pontos da cascata do complemento (C3, Fator B) ou com perfis de administração mais convenientes, é crucial para atender às necessidades não satisfeitas dos pacientes, incluindo aqueles com hemólise residual ou que não respondem adequadamente aos inibidores de C5., A incorporação, possivelmente condicionada a negociações de preço que garantam a sustentabilidade, permitiria ao SUS oferecer um tratamento mais equitativo, alinhado às melhores práticas internacionais e com foco na melhoria da qualidade de vida dos pacientes com HPN.	2ª - Sim, Qual: O NATS/SESA, ao analisar os relatórios da CONITEC (CP49, CP47, CP44) e o PCDT da HPN, reconhece o valor clínico das novas terapias: ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana. Tais inovações prometem maior conveniência posológica (infusões espaçadas, vias subcutânea/oral), elevando a qualidade de vida do paciente e otimizando a logística do SUS. Destaca-se a relevância da pegcetacopana e iptacopana para pacientes com hemólise residual sob inibidores de C5, uma lacuna terapêutica atual., , Contudo, as recomendações preliminares desfavoráveis da CONITEC, motivadas por incertezas econômicas e orçamentárias – especialmente ante a iminente chegada de biossimilares do eculizumabe – são preocupantes. Embora análises de custo-minimização para crovalimabe apontem para potenciais economias, a sustentabilidade de longo prazo é questionada pela volatilidade de preços e pela ausência de acordos que garantam competitividade., , A posição do NATS é de apoio à incorporação, desde que condicionada a negociações de preço que assegurem a sustentabilidade fiscal do SUS. É imperativo que a CONITEC refine suas análises econômicas, considerando cenários de preços mais realistas e a dinâmica do mercado brasileiro, incluindo a entrada de biossimilares., , A SESA, portanto, deve manifestar-se na Consulta Pública, sublinhando a importância clínica dessas inovações para a HPN, mas enfatizando a necessidade de um rigoroso processo de negociação de preços. Isso garantirá a viabilidade orçamentária e a equidade no acesso, sem comprometer a sustentabilidade do sistema., Positivo e facilidades: Ravulizumabe: A principal vantagem é a redução da frequência de infusões (a cada oito semanas), o que proporciona maior autonomia, flexibilidade na rotina e menor impacto na vida profissional e pessoal dos pacientes. Contribui também para o conforto físico, com menor desgaste de veias e acessos venosos., , Crovalimabe: Pacientes relataram melhora clínica, com redução da necessidade de transfusões sanguíneas e internações. A administração subcutânea permite a autoaplicação, conferindo maior autonomia e impactando positivamente a rotina, possibilitando a prática de atividades físicas e reduzindo faltas ao trabalho., , Iptacopana: Destaca-se pela administração oral, que oferece máxima autonomia ao paciente, eliminando a dependência de centros de infusão. Observou-se melhora da hemoglobina, redução da fadiga e recuperação do desempenho físico e cognitivo., , Pegcetacopana: Proporciona melhora significativa na disposição física, maior capacidade para atividades diárias e laborais, e ausência de fadiga e esquecimentos. O sistema de administração é considerado prático e de fácil manejo, mesmo que por bomba de infusão, Negativo e dificuldades: Dificuldade no diagnóstico da HPN é um	3ª - Não	4ª - A pesquisa baseia-se em ensaios clínicos randomizados de fase 3 (ex: PEGASUS, APPLY-PNH, COMMODORE 1, 2, 3) e meta-análises em rede. Para pacientes naive, inibidores de C5 (eculizumabe, ravulizumabe, crovalimabe) mostram eficácia comparável na estabilização da hemoglobina e independência transfusional. Em pacientes experientes com resposta inadequada a anti-C5, a inibição proximal (C3 - pegcetacopana, fator B - iptacopana) demonstra superioridade na estabilização da hemoglobina e redução da dependência transfusional, mitigando a hemólise extravascular., , Limitações: A certeza da evidência varia de baixa a moderada devido a delineamentos abertos, amostras pequenas e imprecisão estatística. Estudos de extensão (OLE) corroboram a durabilidade, mas mantêm o risco de hemólise de escape., , Fontes Confiáveis: O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da HPN (2019), estudos pivotais como PEGASUS e APPLY-PNH, e avaliações de agências internacionais (NICE, CDA, HAS) são referências., , Conclusão: A escolha da tecnologia deve considerar o perfil de resposta individual, a carga clínica e o monitoramento rigoroso de eventos adversos, pautada em protocolos clínicos atualizados para garantir a eficácia terapêutica no SUS.	5ª - Principais Resultados Para os inibidores de C5 (ravulizumabe, crovalimabe), a ACM indicou que o crovalimabe pode ter custo inferior ao eculizumabe no cenário de preço atual. Contudo, essa vantagem é revertida com a projeção de entrada de biossimilares de eculizumabe, que podem tornar o eculizumabe a opção de menor custo. A AIO para ravulizumabe já apontava um impacto incremental significativo., , No subgrupo de pacientes com resposta inadequada, tratados com inibidores de C3 e fator B (pegcetacopana, iptacopana), a pegcetacopana demonstrou dominância econômica (mais barata e mais eficaz) em relação ao eculizumabe e ravulizumabe (RCUI negativos). A AIO para pegcetacopana previu uma economia de R\$ 83 milhões em 5 anos, apesar de um desembolso total de R\$ 475,4 milhões para atender 476 pacientes. A iptacopana, por sua vez, apresentou uma Razão de Custo-Utilidade Incremental (RCUI) de R\$ 51.936.499,36/QALY, indicando um custo muito elevado por cada AVAQ ganho., , Implicações Práticas e Recomendações A sustentabilidade econômica é um fator central. A variabilidade nos custos de aquisição e

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:
		entreve crítico. A citometria de fluxo de alta sensibilidade, essencial para a confirmação diagnóstica, não está amplamente disponível em todos os estados brasileiros. Essa limitação tecnológica no SUS resulta em atrasos consideráveis no diagnóstico, expondo os pacientes a um risco elevado de complicações graves, como eventos tromboembólicos e danos orgânicos decorrentes da hemólise crônica, que poderiam ser mitigados com intervenção precoce. A ausência de uma rede diagnóstica capilarizada gera desigualdades regionais no acesso à saúde e impacta diretamente a sobrevida e a qualidade de vida dos indivíduos afetados., Carga assistencial imposta pelas terapias infusionais. Os tratamentos atuais, como o ecuzumabe e o ravulizumabe, exigem deslocamentos frequentes dos pacientes para centros de infusão, muitas vezes localizados em grandes cidades e distantes de suas residências. Isso acarreta custos indiretos significativos (transporte, alimentação, hospedagem) e um impacto profundo na vida social, profissional e familiar dos pacientes. Embora as novas tecnologias busquem alternativas (subcutâneas ou orais), a transição e o monitoramento ainda demandam uma estrutura de suporte que o SUS, em muitas regiões, não consegue oferecer de forma adequada., Falha terapêutica e a persistência de necessidades não atendidas são preocupações. Mesmo com o tratamento padrão, muitos pacientes com HPN ainda experimentam hemólise residual e anemia persistente, necessitando de transfusões sanguíneas regulares. Essa resposta incompleta ao tratamento anterior (ecuzumabe) demonstra que, apesar dos avanços, há lacunas clínicas que as novas tecnologias visam preencher, mas que ainda representam um desafio para a otimização do cuidado e a melhoria da qualidade de vida dos pacientes., Esses aspectos negativos sublinham a complexidade do manejo da HPN no SUS, exigindo não apenas a incorporação de novas tecnologias, mas também investimentos em infraestrutura.			a futura introdução de biossimilares impactam fortemente a viabilidade. A CONITEC, em suas recomendações preliminares, destacou a necessidade de revisão das propostas comerciais e a baixa competitividade de preço frente ao ecuzumabe. Isso resultou em recomendações desfavoráveis para algumas tecnologias devido ao alto impacto orçamentário total e lacunas nas análises comparativas de segunda linha. O monitoramento contínuo das tecnologias e a renegociação de preços são essenciais para a decisão da CONITEC e para assegurar equidade de acesso e a sustentabilidade do SUS.

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 05/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, A inclusão dessa tecnologia num momento em que o Eculizumab terá queda de preço devido a entrada de similares no mercado se daria no pior momento para obter um desconto significativo. Acredito que o melhor momento para inclusão dessas novas tecnologias seja após a redução do preço do eculizumab. Possivelmente, após a queda do preço do eculizumabe, as empresas detentoras de registros das novas tecnologias perceberão vantagem em reduzir os próprios preços de seus produtos. Aí sim, seria o momento ideal de ser avaliar a inclusão desses medicamentos. Tomar essa decisão agora seria muito prejudicial para a sustentabilidade a longo prazo dos tratamentos.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Eculizumab é uma tecnologia utilizada de 15 3m 15 dias... porém tem segurança e qualidade comprovada a anos.. além disso, seu preço está prestes a cair vertiginosamente com a entrada de similares., Negativo: A posologia de 15 em 15 dias é pior para o manejo dos pacientes (alguns dos quais precisam deslocar de outra cidade para os centros de referência na aplicação destes medicamentos). As dos demais medicamentos avaliados são mais cômodas e possivelmente facilita o tratamento dos pacientes.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É muito importante para que as pessoas com a doença tenham uma vida melhor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médico hematologista, considero fundamental que o SUS disponha de diferentes mecanismos de inibição do complemento para individualização terapêutica. Nem todos os pacientes apresentam resposta adequada ao bloqueio de C5, e a disponibilidade de novas terapias permitirá controle mais efetivo da hemólise, redução da dependência transfusional, prevenção de trombose e melhora da qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe que é o tratamento disponível via SUS. Porém, mediante aos dados de estudos frente as novas tecnologias - faz-se necessário novas ferramentas terapêuticas. , Com eculizumabe não há controle de hemólise extra vascular. Uma parcela significativa dos pacientes permanecem anêmicos e com necessidade de suporte transfusional - o que gera custos ao sistema de saúde e limita a capacidade produtiva/ econômica do paciente., , O eculizumabe revolucionou a história do tratamento de HPN mas temos que entender que não atende todas as necessidades que o portador de HPN tem. , Positivo: Como droga disponível - o ponto positivo é a tentativa de bons resultados com o tratamento., Negativo: Eculizumabe - tem hemólise residual , Muitos pacientes não melhoram da anemia e mantém necessidade de suporte transfusional.	4ª - Os trabalhos mostram significativa redução na dependência transfusional. Reduz necessidade de internações. Diminui necessidade de infusões intrahospitalares. Maior adesão ao tratamento. Maiores possibilidades de individualizar o tratamento conforme a demanda do paciente., , Diretrizes da European Society for Blood and Marrow Transplantation e do International PNH Interest Group sobre tratamento da HPN.	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deveriam mapear doenças raras e ajudar as pessoas	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:
Pessoa com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Essas medicações devem ser incorporadas ao SUS, por que nos pacientes poderíamos ter uma vida social muito melhor, tendo menos idas ao médico no caso de começamos a tomar a Ravulizume, a infusão será de 2 em 2 meses, e com a Eculizumabe, temos que ir fazer a infusão de 15 em 15 dias. E também aumentaria o leque de opções para todos os pacientes e se fazer a melhor escolha para cada caso. Na minha situação mesmo, a Eculizumabe já não é tão eficaz como já foi um dia, mesmo eu fazendo a infusão regularmente, apresento sinais de Hemolise. Então é de suma importância a incorporação destas medicações ao SUS.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: A Eculizumabe seguiu um pouco mais as crises de hemolises., Negativo: Que a Eculizumabe já não está tão eficaz como já foi um dia.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado ao SUS devido a necessidade do tratamento	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação do Ravulizumabe no SUS é um avanço crucial para o tratamento da HPN. Embora ambas as medicações sejam eficazes, a mudança na periodicidade das aplicações traz um impacto socioeconômico e terapêutico incomensurável. Passar de infusões a cada 15 dias (Eculizumabe) para a cada 2 meses (Ravulizumabe) reduz drasticamente o absenteísmo no trabalho por parte dos pacientes e cuidadores, diminui os custos de deslocamento (muitas vezes arcados pelo próprio Estado ou por municípios através de TFD) e reduz a sobrecarga nos centros de infusão do SUS. Além disso, a medicação possui eficácia e segurança amplamente consolidadas em estudos clínicos internacionais desde 2019, justificando sua incorporação sob a ótica de custo-efetividade e humanização do tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Tenho experiência com o medicamento Eculizumabe (Soliris), que é a tecnologia atualmente disponível e utilizada para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). A experiência com essa medicação envolve uma rotina de infusões intravenosas contínuas e obrigatórias a cada 15 dias (quinzenalmente), realizada em ambiente clínico/hospitalar para o controle da hemólise intravascular e prevenção de eventos trombóticos., Positivo: O principal aspecto positivo do Ravulizumabe é a expressiva melhora na qualidade de vida e na autonomia do paciente. O regime posológico de manutenção a cada 8 semanas (aproximadamente 2 meses) liberta o paciente da rotina exaustiva de comparecer a um hospital ou clínica a cada duas semanas, permitindo que ele mantenha uma vida pessoal, acadêmica e profissional muito mais estável. Sob o ponto de vista logístico e de segurança, menos acessos venosos frequentes significam menor desgaste vascular, menor risco de infecções hospitalares e maior adesão ao tratamento a longo prazo, mantendo a estabilização da hemólise de forma sustentada., Negativo: O principal aspecto negativo do cenário atual não reside na molécula em si, mas sim no impacto logístico e psicológico que o tratamento vigente (Eculizumabe, a cada 15 dias) impõe. A necessidade de infusões quinzenais torna o tratamento da HPN muito mais complexo, gerando um custo invisível elevado em transporte, perda de dias de trabalho e desgaste emocional para o paciente. Diante da existência de uma alternativa moderna que oferece o mesmo bloqueio do complemento com uma conveniência substancialmente maior, manter o modelo estritamente quinzenal representa um ônus desnecessário ao bem-estar do cidadão e à eficiência operacional da rede pública.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara e grave, que resulta em hemólise, anemia, complicações potencialmente fatais, como a trombose, que é a maior causa de mortalidade, podendo chegar a 35% em 5 anos., Sem tratamento específico, a HPN pode impactar bastante a qualidade de vida do paciente e levar a um desfecho fatal. Por isso é extremamente importante oferecer ao paciente tratamentos direcionados à inibição da cascata que desencadeia as crises hemolíticas e que possam resultar em qualidade de vida e prolongamento de sua sobrevida	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, ravulizumabe, iptacopan, pegcetacoplan, Positivo e facilidades: Melhora da anemia, controle das hemólises tanto intra como extravascular, controle e redução do risco de trombose, controle dos parâmetros laboratoriais da doença, melhor qualidade de vida e autonomia dos pacientes também por posologias mais cômodas, sem necessidade de idas frequentes para infusão, Negativo e dificuldades: Necessidade médica não atendida e dificuldade de acesso, Embora as medicações tenham tido parecer favorável em 2024 para incorporação no SUS desde 2024, agora o acesso está sendo rediscutido e com a infeliz possibilidade de serem desincorporadas ao SUS, o que se ocorrer, vai impactar drasticamente tanto na qualidade de vida como na	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle da hemólise intravascular, dos sintomas, da doença, maior qualidade de vida e aumento da sobrevida, Negativo: Idas frequentes ao centro de infusão, algumas necessidades médicas não atendidas como resposta mínima ao eculizumabe com persistência da anemia e transfusão de sangue ou casos de hemólise extravascular em que o eculizumabe não controla a condição	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na qualidade de médica hematologista, venho contribuir com esta consulta pública para subsidiar a incorporação, no SUS, do ravulizumabe e do iptacopana no tratamento da Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN)., Acompanhamento atualmente 28 pacientes com HPN: 24 em uso de eculizumabe, 1 em ravulizumabe e 2 em iptacopana, o que fundamenta esta manifestação na experiência clínica direta., O ravulizumabe é padrão de cuidado inicial em diversos países, por sua meia-vida prolongada e inibição mais estável de C5. Essa vantagem é relevante diante de 2 pacientes que acompanho em uso de eculizumabe que, mesmo usando a medicação a cada 2 semanas, apresentam escape de hemólise, com risco de trombose e necessidade transfusional, sugerindo que a dose fixa de eculizumabe pode não ser suficiente para inibição completa e sustentada de C5 em todos os casos. , O ravulizumabe seria alternativa relevante nesses cenários., O iptacopana, inibidor oral do fator B, atua também sobre a hemólise extravascular, frequentemente subtratada pelos inibidores de C5. Os 2 pacientes em iptacopana que acompanham apresentavam anemia significativa associada à HPN e evoluíram com melhora expressiva: hemoglobina de 9 para 12 g/dL em um caso e de 7 para 13,8 g/dL em outro, com retorno ao trabalho após anos de afastamento. Diante do exposto, manifesto posicionamento favorável à incorporação do ravulizumabe e do iptacopana no SUS, por atenderem necessidades clínicas não plenamente supridas pelo tratamento atual, reduzindo risco de complicações graves e ampliando a qualidade de vida e a capacidade funcional dos pacientes com HPN. Tendo experiência com as 2 medicações relato eficácia e segurança dos 2 já comprovados nos estudos de fase 3 e vida real.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe e Iptacopana. , Positivo e facilidades: Ravulizumabe: melhor medicação para iniciar o tratamento de pacientes com HPN. Medicação com controle rápido, mantido e estável na inibição de C5. Comodidade posológica a cada 8 semanas., Iptacopana: medicação oral, sem relação com alimentação com bom controle de HIV e HEV. , , Pacientes com doença controladas e com melhora da qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Até agora sem aspectos negativos.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Eculizumabe: medicação que melhora a qualidade de vida do paciente e na maioria dos casos controla a doença. , Negativo: Eculizumabe: a medicação tem necessidade não atendidas, como dose fixa de manutenção que favorece a hemólise intravascular de escape e risco de trombose.	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 05/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, Como cidadão, sou contrário à incorporação das tecnologias ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana nos valores atualmente propostos, corroborando a recomendação técnica inicial da Conitec. É imperativo denunciar a postura agressiva da Novartis neste processo. Eu presenciei o uso de anúncios digitais pagos e direcionados (retargeting) para cooptar a opinião pública (vi uma propaganda num site que levava para o seguinte endereço: https://saude.novartis.com.br/hpn/consulta-publica-hpn/). Essa tática de lobby visa capturar a empatia da sociedade por meio de apelos emocionais sobre o conforto dos pacientes, ofuscando propositalmente os dados técnicos do relatório preliminar. A análise prova que, para a maioria dos casos, essas novas drogas não possuem superioridade clínica ou de segurança frente ao eculizumabe já disponível no SUS, oferecendo apenas comodidade posológica (vias de administração mais fáceis ou menor frequência de idas ao hospital). Embora a qualidade de vida do paciente seja inegavelmente importante, o Estado não pode agir como financiador de luxos logísticos a preços estratosféricos. O Sistema Único de Saúde possui recursos finitos. O custo de oportunidade é real: aprovar um impacto incremental de dezenas de milhões de reais para garantir a conveniência de um tratamento significa promover a desassistência em outras áreas críticas da saúde pública. Com a iminente chegada do biossimilar sul-coreano (fruto de Parceria de Desenvolvimento Produtivo), que trará uma redução drástica e necessária aos cofres públicos, o Ministério da Saúde deve estabelecer um teto máximo de preço pelo qual está disposto a pagar especificamente pelo conforto posológico (e creio que não deva ser tão caro). A incorporação só deve ser aprovada se as farmacêuticas reduzirem os preços para competir lealmente com os valores do biossimilar. O SUS deve balizar suas decisões pela responsabilidade fiscal e custo-efetividade, não pela pressão do lobby farmacêutico.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mesmo as doenças com menor incidência devem ter seus procedimentos diagnósticos e de tratamento inclusos no Rol da ANS e políticas públicas efetivas devem ser formuladas e implantadas. Saúde é um direito de todos.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sim, eu sou favorável à manter da incorporação do ravulizumabe e à incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacoplana para o tratamento dos pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) no SUS.	2ª - Sim, Qual: Convivo diariamente com pessoas que vivem com HPN e sei que nenhum paciente é igual ao outro. Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento, e não apenas uma única alternativa., , Defendo a manutenção do ravulizumabe, que já representa um avanço importante, reduzindo o número de infusões e proporcionando mais qualidade de vida aos pacientes., , Também apoio a incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacoplana. Essas opções ampliam as possibilidades de cuidado para quem ainda apresenta atividade da doença, tem dificuldade para chegar aos centros de tratamento ou precisa de uma abordagem diferente., , Equidade é reconhecer que pessoas diferentes têm necessidades diferentes. Quanto mais opções terapêuticas estiverem disponíveis, maiores serão as chances de cada paciente receber o tratamento mais adequado para a sua realidade., , Por isso, apoio a manutenção do ravulizumabe e a incorporação dessas novas tecnologias. Porque, em uma doença rara tão complexa quanto a HPN, o mais importante não é escolher o melhor medicamento. É garantir que cada paciente tenha acesso ao tratamento que melhor atenda às suas necessidades., Positivo e facilidades: A partir da convivência com as pessoas que vivem com HPN, percebo que ampliar as opções de tratamento pode trazer benefícios importantes. Cada paciente responde de uma forma diferente, e ter alternativas permite que o tratamento seja mais adequado às necessidades de cada pessoa., , Também observo que tratamentos que reduzem a frequência de infusões ou oferecem outras formas de administração podem diminuir o impacto do tratamento na rotina, facilitando a vida de quem precisa conciliar consultas, trabalho, estudos e família, além do impacto financeiro., , Mais do que disponibilizar novos medicamentos, o aspecto positivo é oferecer possibilidades para que mais pacientes tenham acesso ao tratamento que melhor funcione para sua condição clínica e sua realidade., Negativo e dificuldades: Na minha opinião e experiência, não há pontos negativos, quando o paciente tem a possibilidade de fazer o tratamento mais adequado com a sua necessidade. Sabemos é que nenhum tratamento funciona da mesma forma para todos os pacientes. Algumas pessoas respondem muito bem, enquanto outras precisam de uma alternativa diferente. Por isso, é tão importante que o SUS ofereça mais opções de tratamentos.	3ª - Sim, Qual: O Eculizumabe, , Positivo: O maior impacto foi a queda na mortalidade das pessoas que vivem com HPN. Foi o primeiro medicamento para tratamento da HPN e inclusive está incorporado no SUS. Reitero que cada paciente responde de uma forma diferente, e ter alternativas permite que o tratamento seja mais adequado às necessidades de cada pessoa., Negativo: Na minha opinião e experiência, não há pontos negativos, quando o paciente tem a possibilidade de fazer o tratamento mais adequado com a sua necessidade. Sabemos é que nenhum tratamento funciona da mesma forma para todos os pacientes. Algumas pessoas respondem muito bem, enquanto outras precisam de uma alternativa diferente. Por isso, é tão importante que o SUS ofereça mais opções de tratamentos.	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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Esse medicamento é necessário estar disponível no sus para todos pacientes que precisam!	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Ele é bem eficiente para a melhora do paciente , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Este medicamento salva vidas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para permitir qualidade de vida aos portadores de Hemoglobinúria Paroxística Noturna, e que tenham acesso a medicamentos de alto custo para todos.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe e Iptacopana., , Positivo e facilidades: Ravulizumabe, teve resultados porem não muito significativos., Iptacopana, teve ótimos resultados, por ser de uso diário e contínuo., Negativo e dificuldades: Ravulizumabe, além de precisar ter que ir fazer infusão, não apresentou resultados significativos e o custo alto., , Iptacopana, custo do alto.	3ª - Não	4ª - Ravulizumabe, resultados melhoraram um pouco, não duram. Dados exames de laboratório., , Iptacopana, resultados em grande maioria se aproximaram dos mínimos ideais.	5ª - Custo de ambos é alto, vem descrito nas autorizações do plano de saúde., Ravulizumabe, R\$ 330 mil por aplicação., Iptacopana, R\$ 155 mil, por caixa.
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Muito nhã filha tem HPN, e até chegarmos ao diagnóstico foi bem difícil, os exames são de alto custo, assim como os medicamentos, para o tratamento. O SUS é sem dúvida o porto seguro de mães como eu, todos os medicamentos que podem contribuir para melhorar a qualidade de vida de pacientes como ela PRECISAM ser dispoinizados	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab , Positivo: Até o diagnóstico e o início do tratamento, minha filha precisava de transfusões de sangue duas vez por mês, praticamente, há um ano , iniciado o tratamento, não teve mais necessidade de transfundir , Negativo: Apesar de ter mantido a hemoglobina estável, mas nhã filha tem hemólise constante, mesmo fazendo uso de 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 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que o iptacopana deve ser incorporado. É uma das terapias mais inovadoras e seguras para HPN, e além da eficácia é uma medicação com a comodidade de ser oral., enquanto a pegcetacoplana exige administração subcutânea por bomba de infusão duas vezes por semana e armazenamento refrigerado. Nos estudos, a iptacopana demonstrou altas taxas de normalização da hemoglobina e maior aumento médio de Hb em comparação indireta com pegcetacoplana. Reduz a necessidade de transfusão e melhora qualidade de vida. Por ser oral, dimiui muitos custos diretos da administração e custos indiretos. o tratamento oral reduz substancialmente o tempo gasto com assistência. O estudo estimou economia de aproximadamente:, 730 horas de tempo de pacientes e profissionais de enfermagem quando comparado ao ravulizumabe., 2.920 horas quando comparado ao eculizumabe, devido à maior frequência de infusões deste último.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 05/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Saúde é direito de todos. Temos que cuidar de quem precisa. Por isso pagamos nosso imposto.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O alto custo e a raridade dessa doença faz com que estas pessoas que convivem com a doença tenham que usar o medicamento pro resto da vida. Sendo assim, não podem ficar dependentes de plano de saúde custeado pelas empresas, mas sim pelo SUS que garante o cuidado integral a pessoa, principalmente por essa doença ser rara. Ademais, não tem condições de pagar pelo medicamento sem o 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:
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou portadora de HPN, e a inclusão do Ravulizumabe no SUS representa um avanço fundamental no manejo da doença., Embora ambos os medicamentos tenham eficácia comprovada, a redução da frequência de infusão de quinzenal para bimestral traz benefícios terapêuticos e socioeconômicos expressivos. Isso diminui o absenteísmo laboral dos pacientes e de seus acompanhantes, reduz os custos com deslocamento — muitas vezes arcados pelo próprio Estado ou pelos municípios e desafia os centros de infusão do SUS., Além disso, o Ravulizumabe apresenta eficácia e segurança amplamente demonstradas em estudos clínicos internacionais desde 2019, o que reforça sua incorporação com base em melhor relação custo-benefício, maior eficiência do sistema de saúde e mais humanização do cuidado.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Faço o uso do Eculizumab. , Positivo: Minha qualidade de vida melhorou muito com o uso do Eculizumab pois não tenho tanta hemólise como antes. O que dificulta é a aplicação ser de 15 em 15 dias o que me atrapalha bastante. , Negativo: O aspecto negativo é de 15 em 15 dias meu deslocamento até o hospital de infusão ser distante da minha residência e eu ter que ficar com 1 dia livre para aplicação do medicamento. Uma vez que tenho que me deslocar e aguardar a infusão no hospital.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, SUS deve liberar o remédio para pessoas que tem a doença melhorem	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É de suma importância a incorporação de novos medicamentos para que os pacientes tenham cada vez mais qualidade de vida, visto que estudos são realizados e medicações são melhoradas, é essencial que os portadores dessa doença tenham acesso para uma tratamento de maior qualidade.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Inicialmente o controle da doença, contudo, com o passar dos anos, está ficando mais difícil esse controle, por isso a importância de novas tecnologias , Negativo: O uso a longo prazo acarretando em uma menor eficácia	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Medicamento é comprovadamente eficiente, amplia o bem estar do paciente e garante o mínimo: saúde e dignidade da pessoa humana, preceitos basilares da Constituição Federal.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um medicamento que pode transformar a qualidade de vida de quem convive com essa doença, porém, por ser de alto custo, se torna inviável para grande maioria das pessoas.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente com HPN, tenho 23 anos e apoio a incorporação do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana ao SUS. Mesmo em tratamento com eculizumabe, continuo apresentando fadiga, dores de cabeça e outros sintomas que afetam significativamente minha qualidade de vida. Além disso, a necessidade de infusões frequentes, somada aos exames e consultas constantes, traz um grande impacto para minha rotina. Ter acesso a novas opções terapêuticas significa a possibilidade de um tratamento mais adequado às necessidades de cada paciente, com melhor controle da doença e maior qualidade de vida. Para quem convive diariamente com a HPN, essa incorporação representa um avanço essencial e pode transformar a vida de muitos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Em avaliação, nenhuma., Positivo e facilidades: Não tive experiência., Negativo e dificuldades: Não tive experiência.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe (Soliris), Positivo: Controle do risco trombótico., Negativo: Não houve melhora nos sintomas. Continuo com anemia severa, necessidade transfusional periódica, fadiga extrema e qualidade de vida bastante impactada, não me permitindo fazer atividades cotidianas ou manter o convívio social.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Nem todos tem condições financeiras de arcar, sendo essencial que o SUS disponibilize.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Todos devem ter acesso a um tratamento adequado a sua condição.	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:
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu sou a favor da incorporação ao SUS, sou portador de HPN e a medicação Iptacopana está me ajudando muito mesmo, não tenho mais crises de Hemólise, e voltei a ter uma vida ativa novamente com esse novo medicamento, sou muito grato a Deus, e a todos que estão me ajudando, a equipe médica do HC Hospital das Clínicas de Ribeirão Preto, e a Farmacêutica Novartis, que me fornece mensalmente a medicação Iptacopana, só assim voltei ter a vida que eu tinha antes do HPN.	2ª - Sim, Qual: A medicação Iptacopana da Farmacêutica Novartis., Positivo e facilidades: Não tive mais nenhuma crise de Hemólise as, taxas de Hemoglobina subiram, e hoje estão como de qualquer pessoa saudável sem problemas de saúde., Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo, somente positivo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe da Soliris., Positivo: No começo me ajudou muito, mas com o passar dos anos, comecei a ter escape de Hemólise e fiquei em altos e baixos na minha saúde por anos., Negativo: Escape de Hemólise, internações, transfusões de sangue e todos mal estar que a doença provoca que é horrível, falta de ar, fadiga, coração acelerado, fraqueza extrema, dor no corpo, confusão mental, dor nos rins, dor de cabeça, urina escura.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Extrema importância	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com pessoa portadora da doença e esse medicamento mudou completamente a qualidade de vida dela. Deu mais autonomia, liberdade e coragem para ela encarar os desafios. Incorporar ao SUS terá efeitos muito positivos e garantirá maior dignidade a pessoa humana portadora da doença.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda evolução, pode salvar uma vida diferente. Pessoas da minha família já foram salvas por essa evolução, então sempre que conseguimos evoluir em algo, tenho certeza que pode salvar uma pessoa diferente.	2ª - Sim, Qual: Já fiz cirurgia, meu irmão passa com psicóloga pelo SUS no postinho e toma medicamentos que são fornecidos pelo SUS. Meu vô tem diabetes e tbm toma medicamentos fornecidos pelo SUS. , Positivo e facilidades: Meu irmão tem evoluído bastante, e a diabetes do meu vô está controlada tomando os remédios certinho., Negativo e dificuldades: Até o momento nenhum.	3ª - Sim, Qual: Já precisei de um remédio que não era daqui do Brasil, e pela exportação ficaria muito caro, impossibilitando o começo do tratamento. Porém com a ajuda do SUS, consegui o remédio e estou fazendo o tratamento., Positivo: Consigo fazer o tratamento., Negativo: Por enquanto não tenho nenhum aspecto negativo.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, é de extrema importância que esse tratamento específico e de auto custo seja incorporado para q quando surjam casos,o sus seja rapido na liberação,para, assim possibilitar o mais rápido qualidade de vida ao paciente.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tenho uma amiga muito íntima que faz uso desses medicamentos e são muito caros. É muito difícil para ela fazer o tratamento. Se os remédios forem fornecidos pelo Sus, todas as pessoas terão melhores resultados em seus tratamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tem que ser disponibilizada pois quem sofre com essas doenças e necessita dos medicamentos ou procedimentos, sabem o quanto é necessário até mesmo quem tem parentes ou conhecidos, que acompanha ou ouve falar vê o quanto as pessoas sofrem pois dependem do uso do medicamentos para poder ter uma vida melhor e conseguir fazer e correr atrás das necessidades do dia a dia como trabalhar e ter um vida melhor mesmo com a doença. A minha irmã depende do medicamento FABHALTA-IPTACOPANA para conseguir ficar melhor com a doença dela rara HPN, e conseguir realizar os tratamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O sus deve se atualizar para atender sempre aos brasileiros que necessitam	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É importante permitir o cuidado das pessoas que apresentam essa enfermidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, São medicamentos necessários para o tratamento, para a manutenção da vida de quem porta a doença.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Trata-se de doença grave. Com comprometimento da vida do paciente e potencial risco de óbito. ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Corticoterapia em dose imunossupressora , Durante anos foi a terapêutica disponível. , Com resposta nula. Considerando não ter efeito sobre a cascata do complemento nesta doença. , Positivo: Os inibidores de complemento mudaram a história da HPN , oferecendo real possibilidade terapêutica. , Medicamentos caros e de difícil acesso para os pacientes do SUS. , Com a Disponibilização do eculizumabe para tratamento dessa doença o cenário mudou favoravelmente. , Negativo: Ainda com o uso dos inibidores de C5 (eculizumabe e ravulizumabe), parte dos pacientes permaneceu com hemólise extra vascular e anemia persistente com, necessidade transfusional, além da fadiga.	4ª - Minha opinião é referente a segunda linha de tratamento: atuo no interior e a mobilidade dos pacientes para grande centro para terapia infusional é bastante difícil. A Iptacopana, além de agir de forma proximal na cascata do complemento. Reduzindo a necessidade transfusional com a redução da hemólise. Reduzindo a hemólise e assim impactando positivamente na qualidade de vida . Estudos Appoint PHN e Apply PNH , feitos com pacientes previamente tratados com inibidor de C5 que persistiam com anemia: controle da hemólise, ganho da hemoglobina e consequente redução da necessidade transfusional.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha esposa e também a nossa. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A vida da minha amiga mudou desde que trocou as idas ao hospital pelo medicamento em comprimido Fabhalta - Iptacopana para tratar a HPN. Ganhou saúde e liberdade.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento dá maior qualidade de vida para as pessoas com HPN, diminuindo as idas ao hospital e, consequentemente, o fluxo de atendimento deste.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação desse medicamento pelo SUS, pois a HPN é uma doença rara, grave e que pode causar complicações importantes, comprometendo a qualidade de vida e colocando a vida dos pacientes em risco., , O tratamento é de alto custo, o que torna inviável o acesso para a maioria das pessoas sem o apoio do sistema público de saúde. Garantir esse medicamento pelo SUS significa oferecer mais dignidade, reduzir complicações, internações e permitir que os pacientes tenham mais segurança e qualidade de vida., , Acredito que pessoas com doenças raras também merecem acesso aos melhores tratamentos disponíveis, independentemente da sua condição financeira. Por isso, sou favorável à incorporação desse medicamento ao SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um remédio de altíssimo custo e faz toda a diferença na vida de quem precisa. Poderá salvar muitas vidas ou pelo menos, dar mais qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com pessoa que possui HPN e a medicação proporciona mais qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A inclusão de novas tecnologias representa um avanço para a sociedade e para a ciência, promovendo melhorias na saúde dos pacientes afetados pela doença e promovendo o desenvolvimento científico nacional, contribuindo para o fortalecimento do SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporada 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:
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para aqueles paciente com HPN que tem escape hemolítico	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Na minha percepção , a incorporação do ravulizumabe e da iptacopana ao Sistema Único de Saúde representa um avanço fundamental no cuidado dos pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna, permitindo a oferta de estratégias terapêuticas complementares e adequadas aos diferentes perfis clínicos da doença., , O ravulizumabe constitui uma evolução natural da terapia anti-C5, mantendo eficácia e segurança comparáveis ao eculizumabe, porém com importante benefício operacional decorrente do prolongamento do intervalo entre as infusões. A possibilidade de administração a cada oito semanas reduz significativamente a carga assistencial, diminui o impacto do tratamento sobre a vida profissional e social dos pacientes e contribui para maior adesão e qualidade de vida, sem comprometer o controle da doença., , Por sua vez, a iptacopana representa uma inovação terapêutica particularmente relevante para pacientes que permanecem com anemia residual e hemólise extravascular apesar do tratamento adequado com inibidores de C5. Seu mecanismo de ação proximal permite controle mais abrangente da ativação do complemento, promovendo aumento sustentado dos níveis de hemoglobina, redução da dependência transfusional, melhora da fadiga e recuperação da capacidade funcional. Além disso, a administração oral proporciona maior autonomia e reduz a necessidade de deslocamentos frequentes aos centros de infusão., , Dessa forma, a incorporação dessas duas tecnologias não deve ser entendida como concorrente, mas sim complementar. O ravulizumabe amplia a conveniência e reduz a carga terapêutica para pacientes com adequado controle da doença, enquanto a iptacopana oferece uma alternativa altamente eficaz para aqueles que permanecem sintomáticos ou com anemia residual sob bloqueio de C5. A disponibilização de ambas as estratégias no SUS permitiria uma abordagem mais individualizada, alinhada aos princípios da medicina de precisão e às necessidades reais dos pacientes brasileiros com HPN.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan, Positivo e facilidades: A droga é oral o que já é um aspecto muito interessante e o ponto principal é por que é um inibidor proximal do complemento com uma eficácia e redução importante da hemólise intravascular e extravascular com redução importante dos sintomas., Negativo e dificuldades: Não encontrei aspectos negativos	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho que as pessoas portadoras dessa,doença rara têm direito a um tratamento pelo 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:
Empresa 06/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, A manutenção do eculizumabe como primeira linha de tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é recomendada. 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 contraste com alternativas ainda sob proteção patentária e, portanto, sem biossimilares, como o crovalimabe, ravulizumabe, iptacopana e pegcetacoplana. , A ampliação do arsenal terapêutico é desejável, mas deve ser racional, complementar e segmentada. Ravulizumabe e crovalimabe podem oferecer conveniência posológica ou operacional, pegcetacoplana e iptacopana podem ter papel em subgrupos com anemia persistente, hemólise extravascular, resposta subótima, refratariedade ou intolerância. Contudo, conveniência de produto, maior intervalo entre doses, autoadministração ou via oral não devem ser confundidos com superioridade clínica global nem justificar troca automática de pacientes estáveis., Pacientes em uso de eculizumabe com controle da hemólise, estabilidade clínica e hematológica, boa tolerabilidade e adesão não devem ser submetidos à troca terapêutica por conveniência ou decisão administrativa. Mudanças de tratamento devem ser baseadas em critérios clínicos objetivos e avaliação especializada. Recomenda-se manter o eculizumabe como terapia preferencial de primeira linha, enquanto os demais medicamentos, caso incorporados, devem ter uso restrito, protocolizado e monitorado., 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 e a implementação da PDP do eculizumabe em um futuro próximo, entende-se que as evidências apresentadas não permitem conclusões favoráveis quanto ao impacto orçamentário frente a opção já incorporada.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Vide Anexo.	5ª - Vide 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:
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Seria muito importante, uso desde 2019 e tenho uma qualidade de vida muito melhor!	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: O fato de não ter efeitos colaterais e que por ser de 2 em 2 meses facilita muito a vida, Negativo e dificuldades: Não tem.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acompanhe nas redes sociais , temos pessoas que necessitam demais desta terapia	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os comentários a seguir são embasados em estudos publicados., O uso de Iptacopana nos pacientes apresenta melhora na adesão ao tratamento por ser uma terapia oral., Melhora na satisfação dos pacientes, conveniência na administração e controle clínico na redução dos sintomas., Melhora hematológica: melhora nos níveis de Hb, LDH e alcance em resposta ótima., Não houve interrupção no tratamento devido adversos graves, trombose ou episódios de hemólise de ruptura., , Referência: Orland, M., Gurnari, C., Sanikommu, S., Maciejewski, J., & Dingli, D. (2026). Switching patients with PNH from pegcetacoplan to iptacopan: a case series. Hematology, volume 31, número 1, artigo 2618403.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tudo o que puder ser feito para melhorar a nossa saúde pública e acesso para quem precisa, é importante que seja realizado.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A PTI Brasil manifesta seu apoio à incorporação de novas tecnologias para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), compreendendo que o acesso à inovação em saúde representa um avanço fundamental para pacientes que convivem com doenças raras e condições hematológicas crônicas. , A disponibilização de diferentes opções terapêuticas no SUS permite um cuidado mais individualizado, considerando as necessidades clínicas de cada pessoa, melhora da qualidade de vida, redução de complicações associadas à doença e promoção de maior equidade no acesso ao tratamento. , Como associação de pacientes, acreditamos que a incorporação de terapias comprovadamente seguras e eficazes fortalece o cuidado integral, amplia perspectivas e reafirma o compromisso do sistema público de saúde com a vida e a dignidade das pessoas que dependem dessas tecnologias., A incorporação de novas tecnologias para HPN é respaldada por estudos clínicos de fase 3 que demonstram benefícios relevantes para os pacientes, incluindo melhor controle da hemólise, aumento dos níveis de hemoglobina, redução ou eliminação da necessidade de transfusões e melhora de desfechos relacionados à qualidade de vida, como fadiga. , Estudos como PEGASUS, APPLY-PNH, APPOINT-PNH e COMMODORE 2 evidenciam que diferentes mecanismos de inibição do complemento podem ampliar as opções terapêuticas e permitir maior individualização do cuidado, especialmente para pacientes com resposta insuficiente ou necessidades clínicas não plenamente atendidas pelas terapias atualmente disponíveis.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Novas terapias são fundamentais para tratamento desta doença rara e com importante morbi-mortalidade. , As novas opções terapêuticas em questão demonstraram eficácia, segurança , melhor ajuste posológico para pacientes que se necessitam de deslocamento para centros de infusão.	2ª - Sim, Qual: CROVALIMABE , RAVULIZUMABE, Positivo e facilidades: AUTONOMIA DO PACIENTE , MAIOR INTERVALO DE INFUSÃO, MELHOR CONTROLE DE HEMÓLISE POR CARACTERÍSTICAS FARMACOLÓGICAS, Negativo e dificuldades: EM COMPARAÇÃO AO MEDICAMENTO ATUALMENTE DISPONÍVEL (ECULIZUMABE) NÃO VEJO COMPARAÇÃO DESFAVORÁVEL.	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: PRIMEIRO TRATAMENTO MEDICAMENTOSO EFETIVO, Negativo: INTERVALO MENORES QUE NOVAS OPÇÕES EM ANÁLISE	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicação de extrema importância para salvar vidas de pacientes com HPN	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, minha opinião é que a disponibilização de medicamentos pelo SUS é muito importante, porque se trata de uma doença rara e grave, e os tratamentos costumam ter custo muito elevado e os paciente terá mais qualidade de vida .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que a incorporação dessas novas opções terapêuticas seja importante, principalmente para os pacientes que não apresentam resposta satisfatória às terapias atualmente disponíveis ou que necessitam de alternativas mais adequadas ao seu perfil clínico.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: melhora importante do controle da hemólise, redução da necessidade transfusional e da qualidade de vida desses pacientes, Negativo: necessidade de infusão intravenosa a cada 14 dias impacta significativamente a rotina dos pacientes, especialmente daqueles que residem distante dos centros de tratamento. Além disso, alguns permanecem com anemia, fadiga ou necessidade transfusional, evidenciando que nem todos obtêm controle completo da doença.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Importante para os pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor da incoorporação de Ravulizumabe para 1ª linha de tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) e o cloridrato de iptacopana para 2ª linha de tratamento para pacientes que mesmo em uso de inibidor de C5 (~40%) apresentam resposta hematológica incompleta, anemia resisual, necessidade transfusional, fadiga e baixa qualidade de vida. , Justificativa detalhada no arquivo anexado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pessoas com a doença, enfrentam dificuldade pelo alto custo do medicamento., Por ser doença rara, não representará alto custo ao governo, mas possibilitará sobrevida de várias pessoas, já a doença é limitante e fatal.	2ª - Sim, Qual: Fabhalta - Iptacopana , Positivo e facilidades: Fabalta - Iptacopana, para tratar HPN, Negativo e dificuldades: Não conheço nenhum	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devido ao alto custo e gravidade dessa condição, acredito que deva ser incorporado ao SUS	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris por infusão , Positivo: Menor necessidade de transfusões, menos anemia, Negativo: A doença não fica controlada 100%, apenas aliviam os sintomas e facilita a logística (transfusões, deslocamentos)	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito ser importante para o tratamento de quem possui as doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença rara, mas com mecanismo causal bem definido. Durante muito anos tratamso os paciente sem abordar a via patológica. Desde a incorporação do eculizumabe obtivemos um grande avanço no tratamento. Mas, há pacientes que ainda não respondem ou que perdem resposta, gerando um verdadeiro problema, pois não há outras opções. De sorte que, incorporar medicamentos alternativos é necess'ário.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: melhora de parte dos pacientes., Negativo: o fato de haverem paciente que não respondem	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Mesmo com a disponibilidade de tratamento atualmente incorporado ao SUS, parte dos pacientes permanece com sintomas persistentes e necessidade de novas opções terapêuticas. [cdd.org.br], A incorporação dessas tecnologias ampliará as possibilidades terapêuticas, permitindo maior individualização do tratamento e melhor adequação às necessidades de cada paciente. Além dos benefícios clínicos já demonstrados, destaca-se a diversidade de vias de administração disponíveis, incluindo opções orais, subcutâneas e endovenosas, favorecendo a autonomia dos pacientes e a adesão ao tratamento. , Outro aspecto relevante é a redução da frequência de administração de algumas dessas terapias quando comparadas ao tratamento atualmente disponibilizado no SUS, diminuindo a necessidade de deslocamentos frequentes aos serviços de saúde. Esse benefício é particularmente importante para pacientes que residem distantes dos centros de referência, reduzindo o impacto do tratamento sobre a rotina familiar, profissional e social. , A disponibilização de diferentes mecanismos de ação também representa um avanço importante para pacientes que apresentam resposta insuficiente ou persistência de sintomas com as terapias atualmente utilizadas, possibilitando melhor controle da doença, redução da carga de sintomas e potencial melhora dos desfechos clínicos e da qualidade de vida. , Dessa forma, considero que a incorporação do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana contribuirá para a ampliação do acesso a tratamentos inovadores e mais adequados às necessidades dos pacientes com HPN, promovendo maior equidade, qualidade de vida e cuidado centrado no paciente no âmbito do SUS.,	2ª - Sim, Qual: Como farmacêutica, já tive experiência profissional com pacientes em uso de ecilizumabe, medicamento atualmente disponibilizado no SUS para o tratamento da HPN. Na prática assistencial, observei os desafios relacionados à necessidade de infusões frequentes e ao impacto que o tratamento pode gerar na rotina dos pacientes e seus familiares. Nesse contexto, a disponibilização de novas opções terapêuticas, com diferentes mecanismos de ação, vias de administração (oral, subcutânea e endovenosa) e intervalos de administração mais prolongados, representa um importante avanço para promover maior conforto, autonomia, adesão ao tratamento e qualidade de vida dos pacientes., Positivo e facilidades: Na prática assistencial, foi possível observar uma mudança significativa na evolução da doença, com melhora do controle clínico, redução das complicações associadas à HPN e impacto positivo na qualidade de vida dos pacientes., Antes da disponibilização dessa terapia, as opções de tratamento eram limitadas e muitos pacientes conviviam com sintomas importantes e elevado risco de complicações decorrentes da doença. A incorporação do ecilizumabe representou um marco no tratamento da HPN, modificando o curso da doença e proporcionando resultados clínicos relevantes., Negativo e dificuldades: Embora o ecilizumabe tenha representado um importante avanço no tratamento da HPN e tenha modificado de forma significativa o curso da doença para muitos pacientes, a experiência prática também evidencia algumas limitações. Por ser um medicamento administrado exclusivamente por via endovenosa, com infusões realizadas a cada 14 dias, o tratamento exige deslocamentos frequentes aos serviços de saúde, impactando a rotina dos pacientes e de seus familiares., Como farmacêutica, observei que essa frequência de administração pode representar um desafio, especialmente para pacientes que residem longe dos centros de referência, trabalham, estudam ou possuem dificuldades de locomoção. Além do tempo dedicado às infusões, há o impacto relacionado às ausências no trabalho, na escola e em atividades sociais, o que pode comprometer a qualidade de vida mesmo quando a doença está clinicamente controlada.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um medicamento que pode ajudar muito a vida de quem possui essa condição, garantindo a 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , Facilidade e qualidade de vida, é uma melhor distribuição de remédios para quem mais necessita.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, É um remédio de alto custo e ele é o que ajuda na doença grave que é HPN, então sou favorável e apoio ele entrar na lista do SUS!!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Para facilitar a vida dos pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Durante minha formação em hematologia durante a residência pude acompanhar pacientes em uso de Eculizumabe e Ravulizumabe. O primeiro medicamento citado realmente mudou a sobrevida e qualidade de vida dos pacientes, porém ir ao centro de infusão a cada 14 dias é extremamente desafiador para vários pacientes que moram afastados. A segunda medicação além de não ter o inconveniente de várias idas ao centro de infusão a longo prazo se torna uma medicação mais barata já que o paciente fará uso por toda vida.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe e Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Na melhora da qualidade de vida do paciente, Negativo e dificuldades: No eculizumabe a quantidade de idas ao centro especializado e hemólises de escape. Com o ravulizumabe nenhuma	3ª - Não	4ª - pacientes em uso de Ravulizumabe apresentam menos chance de hemólise de escape, diminuindo a chance de transfusões e trombozes	5ª - A longo prazo o Ravulizumabe é uma terapia mais barata do que o Eculizumabe
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Medicamento de muita valia para os pacientes, baixo risco de reações, ótimos efeitos . Adesão mais alta que a medicação endovenosa. Custo benefício excelente	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe e o Iptacopana , Positivo e facilidades: Melhor adesão , Facilidade para compra da medicação , Baixo efeitos colaterais , , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Ótimos efeitos da medicação, melhora significativa da doença , Negativo: Burocracia para importação da medicação, prazo de entrega . Infusões a casa 15 dias	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Algo que deve ser implementado com urgência, muitos cidadãos brasileiros precisam desse tratamento. Nossos impostos são para isso, cuidar dos nossos.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação da tecnologia no SUS é urgente. Os portadores dessa condição precisam de condições de saúde que os possibilitem ter mais qualidade de vida e que tornem o dia-a-dia delas um pouco menos difícil e dolorido. Viver com medo, mesmo com acesso aos medicamentos disponíveis, não deveria ser uma opção.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris (eculizumabe), por infusão., Positivo: Menos episódios de anemia, menor necessidade de transfusões de sangue e maior qualidade de vida., Negativo: Apesar de ajudar bastante, o medicamento não controla a doença por completo. Por isso a importância de mais opções no SUS.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Hospital Universitário Pedro Ernesto, que é um centro de referencia para atendimento e tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna, é a favor da inclusão do inibidor do complemento ravulizumabe para primeira linha de tratamento e o cloridrato de iptacopana para a 2ª Linha de tratamento. No nosso serviço acompanhamos no momento 9 pacientes com HPN que fazem tratamento com eculizumabe,, Justificativa em anexo	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe e Iptacopan, Positivo e facilidades: Eculizumabe, Ravulizumabe e Iptacopan - Todos com boa resposta em relação ao controle da hemolise intravascular tirando o paciente do risco iminente de morte, Negativo e dificuldades: eculizumabe - posologia, taxa de hemólise de escape e possibilidade de hemolise extravascular	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Seria de extrema importância para o acesso dos pacientes necessitados.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana ao Sistema Único de Saúde (SUS) representa uma evolução no manejo da Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN). Conforme apontam as evidências do relatório, o avanço central dessas tecnologias orbita em torno da expressiva melhoria na qualidade de vida, comodidade posológica e eficácia no controle da hemólise. O ravulizumabe e o crovalimabe, inibidores de C5 de ação prolongada, reduzem a carga de infusões hospitalares, o que impacta diretamente a rotina de pacientes acompanhados em centros especializados, muitos dos quais residem longe do hospital de referência. Por sua vez, a pegcetacopana (anti-C3) e o iptacopana (inibidor oral do Fator B) permitem controlar a hemólise extravascular mediada por C3 — uma falha terapêutica comum e debilitante nos pacientes em uso isolado de anti-C5 clássicos, que persistiam dependentes de transfusões de repetição. Sob o prisma da economia da saúde, a sustentabilidade dessa incorporação justifica-se pela drástica redução de custos indiretos: menos dias de internação por crises hemolíticas, menor necessidade de suporte transfusional, prevenção de eventos trombóticos catastróficos e diminuição do absenteísmo laboral. Garantir o acesso universal a esses novos moduladores do complemento no SUS é cancelar o princípio da integralidade, estendendo aos pacientes da rede pública terapias capazes de frear a progressão da doença com perfis de segurança robustos e maior conveniência.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Eficácia na redução da hemólise intravascular, diminuindo a fadiga crônica, a necessidade de transfusões, , Redução do risco de trombose, , Ganho em Sobrevida, , Segurança e Experiência Clínica, Negativo: Inconveniência Posológica , , Hemólise Extravascular Residual	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporado ao SUS porque pode ampliar o acesso a um tratamento inovador para pacientes com HPN, uma doença rara, grave e potencialmente fatal.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , Sou favorável à incorporação/manutenção da incorporação do ravulizumabe e à incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacopana para o tratamento da HPN, Considero que essas tecnologias representam avanço significativo no tratamento da doença e possibilitam atender à heterogeneidade da doença e as especificidades e necessidades de cada paciente., , A HPN é uma doença rara, crônica, multissistêmica e potencialmente fatal. Ela acomete cada paciente de maneira diferente, com manifestações clínicas, gravidade e respostas terapêuticas distintas. Essa heterogeneidade, inclusive reconhecida no próprio relatório da CONITEC, demonstra que uma única opção terapêutica não é suficiente para atender adequadamente todos os pacientes., No que diz respeito ao ravulizumabe, entendo fundamental a manutenção de sua incorporação. O ravulizumabe é um inibidor de C5 reconhecido mundialmente como padrão ouro pela literatura científica e pelas diretrizes internacionais para o tratamento da HPN. , Também sou favorável à incorporação do crovalimabe, outro inibidor de C5 que representa mais uma possibilidade terapêutica para determinados perfis de pacientes. , Também considero fundamental a incorporação da iptacopana e da pegcetacopana como opções para pacientes que continuam apresentando atividade da doença, especialmente hemólise persistente, apesar do tratamento com inibidores de C5. Estima-se que uma parcela desses pacientes continue apresentando anemia, fadiga importante, necessidade de transfusões e outras manifestações que comprometem significativamente sua qualidade de vida., ,	2ª - Sim, Qual: ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana., Positivo e facilidades: Ravulizumabe: maior intervalo entre as infusões (realizado a cada 8 semanas), o que reduz significativamente o impacto do tratamento na vida dos pacientes, permitindo menor afastamento do trabalho, dos estudos e da convivência familiar, além de reduzir os frequentes deslocamentos aos centros de infusão, que muitas vezes exigem viagens de centenas de quilômetros. Também diminui a necessidade de utilização da estrutura hospitalar e dos serviços de infusão, reduzindo a sobrecarga do sistema de saúde e o desgaste físico relacionado aos acessos venosos repetidos. Além disso, a maior duração de ação do ravulizumabe (8 semanas) proporciona maior estabilidade terapêutica., , A iptacopana representa uma alternativa oral, administrada a cada 12 horas, para pacientes que continuam com sintomas graves da doença mesmo com a utilização de inibidores de C5, oferecendo praticidade para pacientes que podem se beneficiar dessa estratégia terapêutica., O pegcetacopana também representa um importante avanço para pacientes que mesmo em uso de inibidores de C5 continuam com homolise extravascular. Além de possibilitar administração domiciliar por via subcutânea (duas vezes por semana), apresenta tempo de permanência prolongado no organismo (aproximadamente 8 dias) e permite ajuste individualizado da dose em situações clínicas específicas, proporcionando maior flexibilidade terapêutica quando necessário. Essas características podem ser extremamente importantes para determinados pacientes que necessitam de um acompanhamento mais individualizado., , O tratamento adequado representa investimento em saúde, menos gastos com intercorrências, internações, afastamento do trabalho, melhorando assim significativamente a qualidade de vida do paciente e por consequência uma economia para a saúde pública., , Negativo e dificuldades: Com a utilização adequada das tecnologias em avaliação, respeitando a diversidade de apresentação da doença e as especificidades de cada paciente, entendo que não existem pontos negativos importantes a serem	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro tratamento, inibidor de C5 disponibilizado para a HPN. Ele mudou a história natural da doença e representou ganhos importantes na saúde destes pacientes, representando menos intercorrências em razão da doença (hemólises, anemias, trombozes ...) e a diminuição significativa de riscos de óbito., Negativo: Eculizumabe - aspectos negativos: , , Infusões em curto espaço de tempo (a cada 14 dias) o que dificulta muito a vida de muitos pacientes, principalmente aqueles que residem distantes dos centros de infusão., , O tempo de vida no organismo, : muitos pacientes relatam que dias antes da próxima infusão já começam a sentir os sintomas da doença.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "A HPN é uma doença hematológica crônica, rara, adquirida, que se apresenta com anemia, hemólise e risco de trombose e consequências fatais, além de associação com outras doenças hematológicas, como AA e SMD. É doença extremamente grave e potencialmente fatal (mortalidade de cerca de 50% em 10 anos, mesmo com tratamento de suporte). O tratamento atualmente disponível é a inibição do complemento terminal ao nível de C5 (Eculizumabe), que é capaz de controlar a hemólise intravascular. Porém, grande parte dos pacientes permanecem com hemólise extravascular através do depósito de C3 nas hemácias. Cerca de 70% dos pacientes em uso de Eculizumabe permanecem com anemia e até 36% com necessidade transfusional. Essas são as chamadas ""necessidades não atendidas pela inibição de C5"". Os chamados inibidores proximais do Complemento que estão em análise vem atender a estas necessidades. Neste contexto, tais tecnologias tiveram sua eficácia e segurança comprovadas por estudos pivotais (Ravulizumabe-301 e 302, Cromalimabe - Commodore 1 e 2, Pegcetacoplan - Prince e Pegasus e Iptacopana - Apply e Appoint). Assim, tais dados suportam a proposta de incorporação de Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana para o tratamento de pacientes com HPN. "	2ª - Sim, Qual: Pegcetacoplan e Ravulizumabe , Positivo e facilidades: Menor hemólise extra vascular, consequentemente menor anemia, necessidade transfusional e sintomas como fadiga. , Negativo e dificuldades: Reações infusionais leves	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Menor hemólise intravascular , Negativo: Persistência da hemólise extra vascular	4ª - O Pegcetacoplan, pela sua capacidade de se ligar à proteína C3 proximal do complemento, é capaz de controlar tanto a hemólise intra, quanto a hemólise extravascular, atendendo a essas necessidades. O estudo Pegasus demonstrou superioridade do Pegcetacoplan quando comparado ao Eculizumabe e à inibição do C5. O pegcetacoplan foi superior ao Eculizumabe com relação à alteração no nível de hemoglobina desde a visita basal até a semana 16, com uma diferença média ajustada (mínimos quadrados) de 3,84 g por decilitro ($P<0,001$). No total, 35 pacientes (85%) recebendo pegcetacoplan em comparação a 6 pacientes (15%) recebendo eculizumabe não precisaram mais de transfusões. As pontuações da Avaliação Funcional da Terapia para Doença Crônica-Fadiga melhoraram em relação à visita basal no grupo de Pegcetacoplan. O perfil de segurança do Pegcetacoplan também se mostrou muito positivo. Estes dados suportam a proposta de incorporação Pegcetacopana para o tratamento de pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidores do complemento e que persistem anêmicos e sintomáticos. Hillmen P at all, The New England Journal Medicine 2021. Pegcetacoplan X Eculizumabe in Paroxysmal Nocturnal	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:
Gestores do SUS 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Defendo a incorporação criteriosa e escalonada dessas tecnologias porque a HPN é doença rara, grave, crônica e de alto impacto clínico, funcional e social., A manutenção exclusiva do eculizumabe não atende todos os pacientes, especialmente aqueles com barreiras logísticas, infusões frequentes ou resposta clínica inadequada., Crovalimabe e iptacopana podem ampliar o acesso, reduzir carga assistencial e oferecer alternativas conforme o perfil clínico do paciente., A incorporação não deve ser irrestrita, mas condicionada a critérios objetivos, negociação de preço, farmacovigilância e monitoramento em mundo real.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Sim. Acompanhei o tratamento de pacientes com eculizumabe para hemoglobinúria paroxística noturna, tecnologia já consolidada no SUS como referência para o bloqueio terminal do complemento. A experiência demonstra benefício clínico relevante, mas também evidencia limitações operacionais importantes, especialmente pela necessidade de infusões intravenosas frequentes, deslocamentos recorrentes e maior dependência de centros de infusão., Positivo: A incorporação apresenta como aspectos positivos a ampliação das alternativas terapêuticas para uma doença rara, grave e de alto impacto clínico e social. Permite individualizar a linha de cuidado, contemplando pacientes com dificuldade de acesso a centros infusionais, limitações relacionadas às infusões frequentes ou resposta inadequada ao tratamento atual. , Negativo: Como aspectos negativos, há preocupação com o alto custo dessas tecnologias e com o impacto orçamentário para o SUS, especialmente se houver incorporação ampla e sem critérios rígidos. Também existe risco de sobreposição indiscriminada entre medicamentos de mecanismo semelhante, sem ganho clínico proporcional.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tema muito interessante e de suma importância para pessoas portadores dessa doença, que necessitam do medicamento para sobreviver e não tem condições de comprar.	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:
Gestores do SUS 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Secretaria de Estado da Saúde de Goiás manifesta-se favoravelmente à incorporação das novas tecnologias para o tratamento da Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN), considerando as necessidades assistenciais observadas na prática do SUS e a experiência da gestão estadual na assistência farmacêutica e na judicialização dessa doença rara., , Atualmente, o Estado acompanha 36 pacientes com HPN, sendo 24 atendidos regularmente pelo Componente Especializado da Assistência Farmacêutica com eculizumabe e outros 12 pacientes em tratamento por determinação judicial, dos quais cinco utilizam ravulizumabe, cinco eculizumabe e dois iptacopana. Assim, aproximadamente um terço dos pacientes necessita recorrer à judicialização para acesso ao tratamento considerado mais adequado pelo médico assistente., , Essa realidade demonstra que a população com HPN apresenta perfis clínicos distintos e que um único medicamento não é capaz de atender todas as necessidades terapêuticas. Conforme demonstrado no relatório técnico da CONITEC, permanecem pacientes com anemia residual, hemólise extravascular, fadiga persistente, necessidade transfusional e limitações decorrentes do esquema de administração do eculizumabe. A incorporação de novas opções terapêuticas amplia a possibilidade de individualização do tratamento, favorece melhores resultados clínicos, melhora a qualidade de vida dos pacientes e reduz desigualdades de acesso atualmente resolvidas por via judicial.	2ª - Sim, Qual: Como representante institucional, a SES possui experiência direta com:, , eculizumabe (CEAF), , ravulizumabe (judicialização), , iptacopana (judicialização)., Positivo e facilidades: A experiência da Secretaria de Estado da Saúde de Goiás no acompanhamento de pacientes em uso de ravulizumabe e iptacopana por determinação judicial, bem como de pacientes em uso de eculizumabe no âmbito do CEAF, evidencia que a ampliação das opções terapêuticas permite maior individualização do tratamento conforme o perfil clínico dos pacientes. Observa-se potencial para melhor controle da doença em pacientes que apresentam resposta inadequada ao bloqueio terminal do complemento, além da possibilidade de redução da carga relacionada ao tratamento com esquemas de administração mais convenientes, favorecendo a adesão, a qualidade de vida e a continuidade terapêutica. Sob a perspectiva da gestão, a existência de diferentes alternativas terapêuticas também amplia a capacidade de atendimento das necessidades clínicas dos pacientes e reduz a dependência da judicialização como principal mecanismo de acesso às terapias mais recentes., Negativo e dificuldades: Os principais desafios observados não estão relacionados à efetividade clínica das tecnologias, mas às dificuldades de acesso decorrentes da ausência de incorporação ao SUS. Atualmente, parte dos pacientes somente obtém acesso por via judicial, o que resulta em aquisições individualizadas, menor previsibilidade orçamentária, maior complexidade logística e desigualdade no acesso ao tratamento. Além disso, por se tratarem de medicamentos de alto custo destinados a uma doença rara, é fundamental que sua utilização ocorra mediante critérios clínicos bem definidos em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas, com monitoramento sistemático da efetividade e da segurança, garantindo o uso racional dos recursos públicos.	3ª - Não	4ª - A Secretaria de Estado da Saúde de Goiás apresenta contribuição técnica favorável à incorporação das tecnologias avaliadas, considerando as evidências clínicas disponíveis, as necessidades não atendidas dos pacientes com HPN e a experiência da gestão estadual na assistência farmacêutica. Os fundamentos técnicos e a análise detalhada das evidências clínicas encontram-se descritos no documento técnico anexo.	5ª - A Secretaria de Estado da Saúde de Goiás apresenta contribuição técnica relativa aos aspectos econômicos da incorporação, especialmente quanto aos impactos da judicialização, organização da assistência farmacêutica e racionalização do acesso aos medicamentos. A fundamentação técnica detalhada encontra-se apresentada no 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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou a favor da incorporação para a pessoa que está passando pelo tratamento possa ter mais segurança e confiança no processo que já doloroso e difícil, constante e permanente. Como pessoa que convive com uma pessoa em tratamento vejo a necessidade que ela tem de ter outras alternativas e possibilidades, que torne mais tranquilo o tratamento, que traga mais expectativas de sucesso, que permita ter mais esperança em conseguir se tratar de forma mais segura e mais tranquila, de ter uma vida mais leve na questão de ter que viver em constante tratamento. Sou a favor que o SUS proporcione a essas pessoas alternativas maiores de tratamento e acompanhamento de sua saúde e possa diante de tantos desafios que essas pessoas necessitam enfrentar de forma involuntária ter maior qualidade de vida.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O medicamento em comprimido Fabhalsa - Iptacopana para tratar a HPN, precisa ser incorporado a rede SUS, pois há inúmeras pessoas portadoras desta doença que não possuem condições de estarem comprando.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe,, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacoplana. Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública. Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento. ,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste, com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes. Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais, qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade de viver com muito mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu papel importante de salvar vidas. , , Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras opções de tratamento. ,	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe,, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacoplana. Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública. Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravolisumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste, com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes. Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais, qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade de viver com muito mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras opções de tratamento.	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:
Empresa 06/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, . A manutenção do eculizumabe como primeira linha de tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é recomendada. 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 contraste com alternativas ainda sob proteção patentária e, portanto, sem biossimilares, como o crovalimabe, ravulizumabe, iptacopana e pegcetacoplane. , A ampliação do arsenal terapêutico é desejável, mas deve ser racional, complementar e segmentada. Ravulizumabe e crovalimabe podem oferecer conveniência posológica ou operacional, pegcetacoplane e iptacopana podem ter papel em subgrupos com anemia persistente, hemólise extravascular, resposta subótima, refratariedade ou intolerância. Contudo, conveniência de produto, maior intervalo entre doses, autoadministração ou via oral não devem ser confundidos com superioridade clínica global nem justificar troca automática de pacientes estáveis., Pacientes em uso de eculizumabe com controle da hemólise, estabilidade clínica e hematológica, boa tolerabilidade e adesão não devem ser submetidos à troca terapêutica por conveniência ou decisão administrativa. Mudanças de tratamento devem ser baseadas em critérios clínicos objetivos e avaliação especializada. Recomenda-se manter o eculizumabe como terapia preferencial de primeira linha, enquanto os demais medicamentos, caso incorporados, devem ter uso restrito, protocolizado e monitorado., 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 e a implementação da PDP do eculizumabe em um futuro próximo, entende-se que as evidências apresentadas não permitem conclusões favoráveis quanto ao impacto orçamentário frente a opção já incorporada.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - contribuição técnica anexa	5ª - contribuição técnica anexa

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, os estudos de mundo real demonstraram que há eficácia e comodidade de aplicação quando comparado com outros correspondentes.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: a tecnologia empregada ao medicamento trás importantes resultados tanto em melhores resultados durante o tratamento quanto em menores chances de reações não desejadas durante o tratamento , Negativo: Quanto ao produto não há experiência negativa	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Primeira linha de tratamento: Ravulizumabe ou crovalimabe devem ser incorporados, Segunda linha de tratamento: Iptacopana deve ser incorporada, pegcetacopana não deve ser incorporada., Mais detalhes vide anexo	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, iptacopana e pegcetacopana, Mais detalhes vide anexo, Positivo e facilidades: Ultomiris e Piasky - melhor comodidade posológica vs. Soliris com não inferioridade. Controla hemólise intravascular porém geram hemólise extra vascular que em alguns casos (~40%) requerem uma segunda linha de tratamento com inibidor proximal, iptacopana- melhor comodidade posológica vs soliris com maior eficácia no ponto de vista de controle da hemólise e melhora da qualidade de vida vs todos inibidores de C5 (soliris, ultomiris, corvalimab) e segurança similar, pegcetacopana - proposta de comodidade posológica, mais eficaz do ponto de vista de controle da hemólise vs inibidores de c5 porém com maior risco de segurança (hemólise de escape), Mais detalhes vide anexo, Negativo e dificuldades: Soliris - infusão a cada 14 dias com não uniformidade de farmacocinética (perto das infusões muitos pacientes já estão tendo sinais de hemólise). , ultomiris - controla apenas hemólise intravascular, corvalimabe- controla apenas hemólise intravascular, iptacopana - requer adesão do paciente (não tem sido um problema até hoje na minha experiência), 'Pegcetacopana - possui um disco que não é de fácil uso pelo paciente, já experienciei mal funcionamento do disco que levou a desperdício de medicação e paciente ficou sem tratamento, além de ter altas taxas de hemólise de escape por farmacocinética, Mais detalhes vide anexo	3ª - Sim, Qual: soliris - eculizumabe, Positivo: controlou a mortalidade da doença ao controlar a hemólise intravascular e melhorou a qualidade de vida do paciente vs sem tratamento, representou uma mudança drástica no tratamento da HPN mas hoje se tornou menos eficaz e cômodo frente às novas terapias disponíveis e em discussão, Mais detalhes vide anexo, Negativo: soliris - infusão a cada 14 dias, não controla a hemólise intravascular	4ª - Mais detalhes vide anexo	5ª - Mais detalhes vide anexo - não foi considerada o aumento da dose prevista em bula para pegcetacopan
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou paciente de HPN e sei que a doença age de forma distinta em cada paciente, sendo assim essencial a disponibilidade de mais de um tratamento.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Desde que comecei a usar a medicação minha vida voltou ao normal, não preciso me preocupar com viagens para realizar a infusão, e nem de curva de ação do medicamento, já que agora eu carrego ele comigo todos os dias e tomo nos horários corretos. Fisiologicamente eu nunca estive tão bem, e isso graças a medicação que devolveu minha hemoglobina e diminuiu minha hemólise , Negativo e dificuldades: Não apresentei nenhum efeito adverso e não tenho nenhum ponto negativo sobre ele	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Ele me mantinha bem nos primeiros dias após a infusão, e não me deixava piorar, mas minha hemoglobina não passava de 11.0, Negativo: Era necessário viajar ~4 horas de carro para chegar ao centro especializado para realizar a infusão e voltar por mais ~4hrs para casa, isso de 15 em 15 dias. Além disso, meu hemograma não era bom, minha hemoglobina não passava de 11.0 e apenas no dia da infusão chegava a ~10.8, mas após alguns dias já voltava para 9.0/8.0, o que não me deixava viver minha vida bem.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os portadores de HPN precisam destes medicamentos, novas tecnologias, integralizafos no Sus , o Ravulizumab o paciente tem a possibilidade de usar de 2 em 2 meses, i que facilitaria suas vidas, nao precisando viajar quilometros quinzenalmente para fazer a infusao. Outros medicamentos podem ser usados em casa. E todos ja tem sua eficácia comprovada	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Meu filho usa o eculizumab o que lhe proporciona uma vida normal, exames normais, bem estar e qualidade de vida, Positivo: Meu filho depois que passou a usar o eculizumab passou a ter uma vida normal, trabalhando, exames normais, evita internações, constituiu familia., Negativo: A dificuldade para conseguir o medicamento. Iniciou via judicial, hoje utiliza o Sus. No momento ponto negativo e que Minas Gerais existem 4 hospitais que faz a infusao do medicamento. Quinzenalmente, meu filho viaja 1200 km, para fazer a infusão. Perde um dia de trabalho, corre risco de vida nas estradas. Por isso a necessidade de inclusão destes outros medicamentos que vai proporcionar aos portadores de HPN poder ter melhores condições para fazer seu tratamento em suas redidencias ou em espaço de tempo maiores	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Manifesto meu posicionamento favorável à incorporação das tecnologias avaliadas na Consulta Pública nº 49 e, especialmente, à manutenção do ravulizumabe no Sistema Único de Saúde (SUS). Como o próprio relatório da CONITEC demonstra que ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana possuem características complementares, atendendo diferentes perfis de pacientes. Enquanto os inibidores de C5 apresentam resultados semelhantes em pacientes estáveis, a pegcetacoplane e a iptacopana oferecem benefícios adicionais para aqueles que permanecem com anemia ou resposta inadequada ao tratamento., , Em relação ao ravulizumabe, é importante destacar que essa tecnologia já foi incorporada ao SUS e representa um importante avanço para as pessoas que vivem com HPN. Seu esquema de infusão em intervalos maiores reduz deslocamentos frequentes aos centros de tratamento, diminui o impacto na rotina, favorece a permanência no trabalho, reduz o desgaste físico e melhora significativamente a qualidade de vida. Esses benefícios foram reconhecidos também nos relatos apresentados à CONITEC pelos próprios pacientes. A eventual perda dessa tecnologia representaria um retrocesso para pessoas que já alcançaram estabilidade clínica e melhor qualidade de vida com seu uso., , Além disso, a incorporação do crovalimabe, da pegcetacoplane e da iptacopana ampliará as possibilidades terapêuticas no SUS, permitindo que o tratamento seja mais individualizado e adequado às necessidades de cada paciente. Por esses motivos, solicito que a CONITEC reconsidere sua recomendação preliminar, mantendo o ravulizumabe no SUS e incorporando as demais tecnologias, garantindo mais opções de tratamento, equidade no acesso e melhor qualidade de vida às pessoas que convivem com a 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:
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Ultomiris ou Crovalimabe - devem ser incorporados em primeira linha, Iptacopana de ver incorporado para pacientes que permanecem anêmicos hb<10g/dl mesmo em tratamento de inibidores de c5 (segunda linha), empavelli - não deve ser incorporado por riscos de segurança	2ª - Sim, Qual: ultomiris, soliris, pegcetacoplan e iptacopana, Positivo e facilidades: inibidores de C5 são efetivos em contralar hemólise intravascular porém não controlam hemólise extra fazendo com que 40% dos pacientes permaneçam anêmicos. Crovalimab e ultomiris possuem melhor comodidade posológica sendo a de crovalimab melhor que ultomiris., Inibidores proximais são mais efetivos e controlam a hemólise intra e extravascular com uma melhor comodidade posológica., Vide anexo com mais detalhes, Negativo e dificuldades: Vide anexo com mais detalhes	3ª - Sim, Qual: solliris, Positivo: controle intravascular que mudou o curso da doença, normalizando as taxas de mortalidade, Negativo: IV a cada 14 semanas, controle parcial da hemólise	4ª - Vide anexo com mais detalhes	5ª - Vide anexo com mais detalhes
Organização da Sociedade Civil 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Casa Hunter entende que as tecnologias avaliadas representam avanços relevantes para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) e podem contribuir para responder às diferentes necessidades clínicas e assistenciais dos pacientes., A HPN é uma doença rara e heterogênea, e parte dos pacientes permanece com necessidades não plenamente atendidas, incluindo anemia residual, fadiga persistente, necessidade transfusional e limitações importantes em sua autonomia funcional e qualidade de vida., A Casa Hunter reconhece as preocupações da CONITEC quanto à sustentabilidade do Sistema Único de Saúde e às incertezas relacionadas ao melhor posicionamento econômico de algumas das tecnologias avaliadas. Entretanto, entende que essas incertezas não eliminam a existência de pacientes que permanecem parcial ou inadequadamente controlados nem reduzem a importância de discutir alternativas terapêuticas capazes de responder às suas necessidades., Por esse motivo, a Casa Hunter apoia a incorporação segmentada das tecnologias em avaliação, acompanhada de critérios de elegibilidade, monitoramento estruturado de resultados, geração de evidências em mundo real e reavaliação periódica, como estratégia para conciliar sustentabilidade, utilização racional dos recursos públicos e melhoria dos desfechos clínicos e funcionais das pessoas que vivem com HPN., O racional técnico e institucional que fundamenta esta recomendação é apresentado de forma detalhada no relatório de contribuição anexado.,	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe,, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacopana. Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública. Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste, com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes. Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens diminuíam, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais, qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade de viver com muito mais tranquilidade. , , Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a hemólise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em, toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras opções de tratamento. ,	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como hematologista responsável pelo serviço de HPN de serviço de referência, temos cerca de 40 pacientes em tratamento com medicamentos inibidores de complemento, hoje temos avaliado cerca de 15% dos pacientes com necessidade não atendida de anemia persistente (hb inferior a 10), sendo observada a completa melhora quando troca para iptacopana oral monoterapia., Além disso, a dificuldade de adesão ideal pela posologia de tecnologia IV a cada 14 dias tem se resolvido com ravulizumabe ou crovalimabe.	2ª - Sim, Qual: crovalimabe, ravulizumabe e iptacopana, Positivo e facilidades: crovalimabe: bom controle da hemólise, redução dos sintomas e das transfusões, melhora da morbidade (trombose e lesão renal), boa adesão e boa posologia., ravulizumabe: bom controle da hemólise, redução dos sintomas e das transfusões, melhora da morbidade (trombose e lesão renal), boa adesão e boa posologia., iptacopana: resolução da anemia por hemólise extra-vascular e comodidade de uso., Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, Qual: eculizumabe, Positivo: segurança, Negativo: dificuldade de manter adesão ideal por uso 14/14 dias, pacientes atrasam por dificuldade de transporte, presença de hemólise de escape em cerca de 10% e hemólise extravascular em 10%.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Relatório de Recomendação Preliminar da Conitec não questionou a eficácia clínica da pegcetacoplana e reconheceu seu papel no tratamento de pacientes com anemia persistente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - No relatório do NATS observou-se uma inversão da interpretação da análise de custo-utilidade pois as células referentes ao custo incremental e ao QALY incremental estão invertidas. Quem apresentou custo incremental de R\$ 651.607,86 e RCUI de R\$ 51,9 milhões por QALY é a iptacopana, e não a pegcetacoplana.

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou Hematologista desde 2022 e desde então acompanho pacientes com HPN. Pacientes no SUS , além de demora diagnóstica, possum dificuldade ao não responder a única terapia possível no SUS que é o inibidor de C5 Eculizumabe. Assim, pacientes refratários a essa medicação, principalmente aquilçes com escape hemolítico, não possuem outras estratégias terapêuticas possíveis. A medicação que possui perfil diferente do Eculizumabe seria o Iptacopana pois é um inibidor do fator B, atuando de forma mais proximal na via do complemento o que abrangeria os pacientes refratários a terapia com Eculizumabe. Além do conforto terapêutico do Iptacopana, por ser via oral , diferentemente do Eculizumabe que é poir via intravenosa, possibilitando o paciente realizar o tratamento sem necessidade de deslocar-se para um centro infusional e maior liberdade e qualidade de vida. Há dois estudos que mostram a eficácia e segurança do Iptacopana APPLY-PNH e APPOINT-PNH. A incorporação do Iptacopana contemplaria redução de transfusões, naqueles pacientes que mesmo em uso de eculizumabe fica transfusão-dependentes, reduziria deslocamento do paciente ao centro de infusão, diminuiria custos da infusão endovenosa (cadeira de infusão, equipe especializada, cateteres de infusão) e traria melhor qualidade de vida ao paciente que permaneceria com medicação oral e fácil administração.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe , Positivo e facilidades: Menor necessidade de ida ao centro de infusão. Eculizumabe infusão mensal. Ravulizumabe infusão a cada 8 semanas. Maior liberdade ao paciente e menor custo aos centros de infusão. , Negativo e dificuldades: alto custo financeiro da medicação.	3ª - Não	4ª - O estudo APPLY-PNH foi um ensaio clínico de fase III, multicêntrico, aberto e randomizado, desenvolvido para avaliar a eficácia e a segurança do iptacopana em pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) que permaneciam com anemia residual apesar do tratamento estável com eculizumabe ou ravulizumabe. O racional do estudo baseou-se na persistência da hemólise extravascular, mesmo após o bloqueio terminal do complemento, justificando a avaliação de um inibidor do fator B da via alternativa (PEFFAULT DE LATOUR et al., 2024)., Foram incluídos pacientes adultos com HPN e hemoglobina inferior a 10 g/dL, apesar do uso estável de inibidores de C5 por pelo menos seis meses. Os participantes foram randomizados para receber iptacopana em monoterapia ou permanecer com o tratamento anti-C5, tendo como desfechos principais o aumento da hemoglobina sem necessidade de transfusão e a obtenção de hemoglobina ?12 g/dL (PEFFAULT DE LATOUR et al., 2024)., Os resultados demonstraram superioridade do iptacopana em relação à manutenção da terapia com inibidores de C5. Observou-se aumento significativo da hemoglobina, redução da necessidade transfusional, melhora dos marcadores laboratoriais de hemólise e redução da reticulocitose, além de melhora clinicamente relevante da fadiga avaliada pelo	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:
				questionário FACIT-Fatigue (PEFFAULT DE LATOUR et al., 2024)., Do ponto de vista fisiopatológico, os achados reforçam que a anemia residual observada durante o bloqueio de C5 está relacionada principalmente à hemólise extravascular mediada pela deposição de C3 sobre as hemácias. A inibição do fator B pelo iptacopana reduz a ativação da via alternativa do complemento, controlando simultaneamente a hemólise intravascular e extravascular (PEFFAULT DE LATOUR et al., 2024)., PEFFAULT DE LATOUR, R. et al. Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. The New England Journal of Medicine, Boston, v. 390, n. 11, p. 994-1008, 2024. DOI: 10.1056/NEJMoa2308695.,	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Será muito importante, pois minha irmã faz outro tratamento que ela vai ao hospital duas vezes ao mês	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Não sei relatar , Negativo e dificuldades: Não há o que relatar	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O ravulizumabe para mim foi algo que me proporcionou e tem me garantido uma qualidade de vida muito boa.	2ª - Sim, Qual: Com o ravulizumabe, desde de 2019 e hoje não sinto cansaço, fadiga e nem mal estar. A qualidade de vida é outro, Positivo e facilidades: Faço uso do ravulizumabe de 2 em 2 meses, me sinto bem. Dependendo do transporte da prefeitura.?, Negativo e dificuldades: Nenhum aspectos negativos	3ª - Não	4ª - Participei do estudo e tive importante melhora da anemia, Não tive mais cansaço e nem eventos adversos. Iniciei em 2019.	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença grave e rara, mesmo em tratamento com Eculizumabe ainda o paciente tem sintomas da anemia HPN!, Causando hemolise, trombose, correndo grave risco de vida!!	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe aspectos positivos que ajuda segurar por 14 dias!, Positivo: Aspectos positivos que ajuda por 14 dias manter hemoglobina, mas tenho que ficar de olho, fazer exames pra não deixar ficar baixo exame, mesmo tomando eculizumabe, faço enfusao de 2 bolsas sangue!, Negativo: Marcador hemolise e aspectos negativos que não controla escape, hemolise.	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 06/07/2026	1ª - Não tenho opinião formada, Não tenho opinião formada.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobínúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Apresentou hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada e confirmou o diagnóstico., , Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS e esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. , , Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e houve uma mudança muito clara. A qualidade de vida melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso., ,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Melhora clínica, melhor qualidade de vida, maior tempo entre as administrações, Negativo e dificuldades: Processo de importação demorado, atraso na medicação.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Devido a dificuldade de minha irmã para enfrentar o tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 06/07/2026	1ª - Não acho que deve ser incorporada no SUS, Ver arquivo anexo.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Ver arquivo anexo.	5ª - Ver arquivo 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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pacientes com HPN por muitas vezes se apresentam sem acesso a medicação, devido a medicação disponível pelo SUS apresentar posologia de difícil adaptação. Sendo assim, é necessário que as novas medicações sejam incorporadas para que haja maior tolerabilidade dos pacientes e melhor tratamento com menos recidiva sintomática.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento é restrito aos pacientes que necessitam. Meu pai teve Síndrome Mielodisplásica SMD e como a tecnologia não havia sido incorporada no SUS só teve acesso ao medicamento por doação 6 meses após o seu falecimento. Acredito que essas e outras tecnologias tivessem sido incorporadas no SUS ele teria chance de mais algum tempo e qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Gestores do SUS 06/07/2026	1ª - Não tenho opinião formada, A SECRETARIA DE ESTADO DA SAÚDE CONTRIBUI COM O ESTUDO DA UNICAMP ANEXO	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, ontribuição técnica — CP nº 49/2026 (Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacopana e iptacopana para HPN), , Posicionamento: Discordo parcialmente da recomendação preliminar desfavorável, especialmente no que se refere ao ravulizumabe e ao crovalimabe., 1. Sobre o ravulizumabe — o intervalo posológico não deve ser tratado como mera conveniência, A justificativa histórica da Conitec para o parecer desfavorável ao ravulizumabe é que, sendo da mesma classe do eculizumabe (inibidor de C5), a diferença se resume à frequência de administração (8 em 8 semanas vs. 2 em 2 semanas), sem ganho incremental de eficácia ou segurança que justifique o diferencial de custo. Na prática clínica, entretanto, esse intervalo tem impacto direto sobre um desfecho que os modelos de custo-utilidade tradicionais não capturam adequadamente: a capacidade produtiva do paciente., A maioria dos pacientes com HPN acompanhados está em idade produtiva e ativamente empregada. O regime de infusão quinzenal do eculizumabe implica, no mínimo, 26 deslocamentos anuais a um centro de infusão, com afastamento do trabalho que se estende por todo o dia considerando tempo de deslocamento, espera e infusão — versus 6 a 7 episódios anuais com o ravulizumabe. Esse diferencial não é conveniência: é redução objetiva de absenteísmo, de perda de renda e de sobrecarga em cuidadores, com repercussão direta sobre adesão terapêutica a longo prazo, especialmente relevante numa doença crônica que exige terapia continuada por décadas. Sugiro que a reavaliação econômica incorpore explicitamente custos indiretos (perda de produtividade, deslocamento, cuidador) na análise de impacto orçamentário, e não apenas o custo direto da droga — o que tende a reequilibrar a	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe e crovalimabe, Positivo e facilidades: Ravulizumabe:, , Intervalo de 8 semanas reduz afastamentos do trabalho e deslocamentos, frente às infusões quinzenais do eculizumabe — impacto relevante numa população majoritariamente em idade produtiva e empregada., Concentração sérica mais estável ao longo do intervalo, com percepção de controle hemolítico mais constante., Menos visitas agendadas favorece maior adesão terapêutica., , Crovalimabe:, , Via subcutânea com possibilidade de autoaplicação elimina a necessidade de deslocamento a centro de infusão na maior parte das doses., Ganho de autonomia e menor tempo total dedicado ao tratamento, com repercussão direta na rotina laboral., Perfil de segurança consistente com a classe dos anti-C5, sem sinais inesperados., Negativo e dificuldades: Custo	3ª - Não	4ª - , Ravulizumabe e crovalimabe no tratamento da HPN, Como hematologista com experiência acompanhando pacientes em uso dessas duas terapias, entendo que a recomendação preliminar desfavorável não reflete adequadamente o ganho real que elas trazem à vida de quem convive com a HPN — uma doença crônica, rara e que atinge principalmente pessoas jovens e em plena vida produtiva., O ravulizumabe manteve, nos estudos pivotais frente ao eculizumabe, eficácia e segurança não inferiores tanto em pacientes virgens de tratamento quanto naqueles já em terapia prévia, com a vantagem do intervalo estendido de 8 semanas. Na prática, isso significa menos dias perdidos de trabalho, menos deslocamentos e maior estabilidade terapêutica — não apenas conveniência, mas qualidade de vida e sustentabilidade do tratamento a longo prazo., O crovalimabe, por sua vez, trouxe algo ainda mais transformador: a possibilidade de autoaplicação subcutânea, validada em estudos de fase 3 frente ao eculizumabe, com eficácia comparável e perfil de segurança consistente com a classe. Isso devolve autonomia ao paciente, reduz a dependência de estrutura de infusão e é especialmente relevante num país de dimensões continentais como o Brasil, onde o acesso a centros especializados é desigual., Peço que a Conitec reconsidere a recomendação preliminar, incorporando à	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:
				análise econômica os custos indiretos evitados (afastamento laboral, deslocamento, dependência de estrutura de infusão), que hoje não são capturados pelos modelos tradicionais de custo-utilidade, mas que fazem diferença concreta na vida desses pacientes., Referências:, , Lee JW et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in adult patients with PNH naïve to complement inhibitors: the 301 study. Blood. 2019., Kulasekararaj AG et al. Ravulizumab vs eculizumab in C5-inhibitor-experienced adult patients with PNH: the 302 study. Blood. 2019., Röth A et al. Crovalimab vs eculizumab em pacientes com HPN virgens de inibidor de complemento:	

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à manutenção da incorporação do ravulizumabe e à incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacopana para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), por entender que essas tecnologias ampliam e fortalecem a linha de cuidado da doença., A HPN é uma doença rara, grave e heterogênea., Os pacientes apresentam manifestações clínicas e respostas terapêuticas diferentes, o que torna essencial a existência de múltiplas opções de tratamento, conforme reconhecido no próprio relatório da CONITEC. O ravulizumabe representa um importante avanço em relação ao eculizumabe por exigir infusões apenas a cada oito semanas, maior tempo de duração no organismo, reduzindo deslocamentos, impacto na rotina, utilização da estrutura hospitalar e proporcionando maior estabilidade terapêutica. Além disso, sua incorporação já foi aprovada pela CONITEC há mais de dois anos, devendo ser mantida., O crovalimabe amplia o acesso ao tratamento por permitir administração subcutânea, inclusive em domicílio após treinamento, beneficiando especialmente pacientes que tem dificuldade de locomoção.	2ª - Sim, Qual: Já a iptacopana e a pegcetacopana oferecem alternativas para pacientes que permanecem com atividade da doença, anemia e hemólise persistente apesar do tratamento com inibidores de C5. A iptacopana traz a comodidade da administração oral, enquanto a pegcetacopana permite tratamento subcutâneo domiciliar e maior flexibilidade terapêutica por meio do ajuste individualizado da dose. Essas tecnologias não competem entre si, mas se complementam, permitindo que o tratamento seja individualizado conforme as necessidades de cada paciente. Isso representa equidade, melhora da qualidade de vida e uso mais eficiente dos recursos públicos, com potencial para reduzir complicações, transfusões e internações. Por essas razões, manifesto-me favoravelmente à manutenção da incorporação do ravulizumabe e à incorporação do crovalimabe, da iptacopana e da pegcetacopana no SUS., Positivo e facilidades: A utilização do tratamento correto em razão das especificidades da doença contribuiu significativamente para a recuperação de diversos pacientes, que deixaram de ter problemas com o deslocamento a cada 14 dias para realizar a infusão, indo apenas a cada 8 semanas e tendo ainda uma resposta terapêutica muito melhor em razão de vida muito mais no organismo, no caso do Ravulizumabe. Com relação a pacientes que ainda tinham manifestações graves da doença, mesmo em uso de inibidores de C5, pudemos presenciar uma resposta muito favorável quando passaram a fazer uso do pegcetacopana e do iptacopana. Esses pacientes tiveram redução significativa de hemólise, de necessidade de transfusões, redução da fadiga e do risco de trombose em outras situações., Negativo e dificuldades: Os principais aspectos negativos são: infusão a cada 14 dias, o tempo de duração no organismo extremamente curto. Muitos pacientes relatam sintomas da doença dias antes de chegar a data da próxima infusão. Problemas de deslocamento aos centros de infusão em períodos tão curtos e em muitos casos, pacientes tendo que percorrer distâncias extremamente longas, perdendo um ou dois dias a cada ciclo, o que impacta negativamente em sua vida, seja nos estudos, trabalho, familiar...., Dificuldade de acesso venoso para as constantes infusões e ainda a resposta inadequada para um sub grupo de pacientes que necessitam dos inibidores próximos para controle efetivo da doença, principalmente da hemólise extra vascular.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Crovalizumabe, Pegcetacopana., Positivo: Como dito, representou um marco para o tratamento da HPN, pois foi o primeiro tratamento disponível para uma doença rara, extremamente grave e potencialmente fatal., Restabelecendo a saúde de centenas de pacientes ao longo dos anos. Estes pacientes não tinham nenhum tratamento disponível e com o advento do Eculizumabe passam a ter uma melhora de saúde significativa e uma redução grande de óbito., Negativo: Sobre o Eculizumabe:, Os principais aspectos negativos são: infusão a cada 14 dias, o tempo de duração do medicamento no organismo extremamente curto. Muitos pacientes relatam sintomas da doença dias antes de chegar a data da próxima infusão. Problemas de deslocamento aos centros de saúde de infusão em períodos tão curtos e em muitos casos, pacientes tendo que percorrer distância extremamente longas, perdendo um ou dois dias a cada ciclo (até quatro dias no mês, até 48 dias no ano) o que impacta negativamente em sua vida, seja nos estudos, manutenção do trabalho, familiar ..., Dificuldade de acesso venoso para as constantes infusões e ainda a resposta inadequada	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como médico especialista no tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), manifesto-me favoravelmente à incorporação das tecnologias avaliadas para o tratamento dessa condição, com destaque para o ravulizumabe como opção de primeira linha e para a iptacopana como alternativa de segunda linha, considerando a perspectiva analisada nesta consulta pública., , A HPN é uma doença hematológica rara, grave e crônica. Seu tratamento tem como principais objetivos controlar a hemólise, reduzir o risco de eventos tromboembólicos potencialmente fatais e restituir dignidade e qualidade de vida aos pacientes. Embora a alternativa atualmente disponível tenha representado um avanço relevante, ela ainda se mostra insuficiente diante das diversas necessidades clínicas não atendidas. Nesse contexto, a incorporação dessas novas tecnologias pode contribuir de forma significativa para preencher lacunas terapêuticas importantes., , A recomendação preliminar desfavorável da Conitec fundamentou-se, majoritariamente, em incertezas econômicas e em preocupações relacionadas à sustentabilidade do cenário de preços. No entanto, espera-se que a aprovação desses tratamentos favoreça uma alocação mais eficiente de recursos, com redução de desperdícios associados a internações, complicações e falhas terapêuticas., , Diante do exposto, entendo que os benefícios clínicos esperados — incluindo aumento de sobrevida, independência transfusional, controle da hemólise e ganho expressivo de qualidade de vida — superam as barreiras administrativas e econômicas apontadas. Assim, apelo a esta Comissão para que revise o parecer preliminar e vote favoravelmente à incorporação do ravulizumabe e da iptacopana, garantindo aos pacientes com HPN acesso a um tratamento integral, moderno e humanizado no SUS.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe., Positivo e facilidades: Pacientes que migraram do eculizumabe para o ravulizumabe enfatizaram o impacto positivo do maior intervalo entre as infusões, o que trouxe possibilidade de estabilidade profissional e liberdade de rotina, além de reduzir custos e impacto logístico., Negativo e dificuldades: Com base na minha experiência e na análise dos dados clínicos e relatos apresentados, não houve nenhum aspecto negativo importante que desabonasse o uso das tecnologias em avaliação.	3ª - Não	4ª - Primeiramente, há uma lacuna na discussão laboratorial sobre o controle biológico da doença, dados de extensão do estudo pivotal APPLY-PNH (PEFFAULT DE LATOUR et al., 2024) demonstram que a monoterapia oral com iptacopana promove um aumento expressivo e sustentado no tamanho do clone total de eritrócitos PNH concomitante a uma drástica redução na deposição de fragmentos de C3 na superfície das hemácias, o que comprova cientificamente a resolução da hemólise extravascular. Adicionalmente, a análise falha ao não diferenciar a gravidade biológica das crises de escape (breakthrough hemolysis), enquanto inibidores proximais de C3 (HILLMEN et al., 2021) tendem a registrar escapes agudos e clinicamente violentos com picos massivos de lactato desidrogenase (LDH) decorrentes da destruição de um clone grande, os dados de acompanhamento da iptacopana mostram eventos de escape com repercussão clínica em menor frequência (apenas 3,2%), sendo majoritariamente leves a moderados e manejados com sucesso sem a necessidade de interrupção do fármaco. Outro ponto técnico omisso refere-se à possibilidade de ampliação futura do perfil elegível com base em critérios mais sensíveis de resposta hematológica (RISITANO et al., 2019), uma vez que dados de vida real e estudos de coorte retrospectivos (DEBUREAUX et al., 2021)	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:
				demonstram que de 20% a 25% dos pacientes mantêm um quadro de anemia residual persistente e fadiga crônica debilitante sob o tratamento padrão com anti-C5, mesmo quando apresentam métricas laboratoriais historicamente consideradas aceitáveis.	

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O crovalimabe redefine o cuidado da HPN ao transformar o fardo das infusões hospitalares quinzenais em uma aplicação subcutânea mensal e domiciliar. Esta inovação devolve aos pacientes a autonomia e o direito de não viver em função da doença, eliminando a rotina exaustiva de deslocamentos e faltas ao trabalho. Além do impacto na qualidade de vida, a tecnologia substitui as punções venosas repetitivas por injeções subcutâneas de baixo volume, preservando a integridade vascular e garantindo o conforto físico a longo prazo. , A incorporação do crovalimabe otimiza a infraestrutura assistencial do SUS ao desonerar leitos e recursos humanos para o atendimento de outras patologias. O tratamento racionaliza os custos diretos de aquisição do medicamento e as despesas indiretas com logística, armazenamento e Tratamento Fora de Domicílio (TFD). , Com a nova proposta de preço apresentada nesta contribuição e considerando as análises apresentadas pelo NATS no relatório de recomendação das tecnologias de HPN, este tratamento proporcionará economia imediata (desde o primeiro ano) e sustentada ao longo dos demais anos para o sistema de saúde brasileiro, em comparação à eculizumabe e ravulizumabe.,	2ª - Sim, Qual: Crovalimabe., Positivo e facilidades: ? Crovalimabe apresenta meia-vida funcional prolongada, permitindo que a dose de manutenção seja realizada a cada 4 semanas.; ? Maior comodidade posológica: com uma formulação de alta concentração, crovalimabe pode ser administrado por via subcutânea em um volume baixo, eliminação da necessidade de acessos intravenosos recorrentes, preservando a integridade vascular, , ? Inibição rápida, completa e sustentada da via terminal do complemento devido à ligação ao C5 de alta afinidade e eliminação eficiente do mesmo, prevenindo o acúmulo de C5 livre na circulação, , ?Eficácia no Controle da Doença: O crovalimabe foi não-inferior ao eculizumabe no estudo COMMODORE 2 (pacientes virgens de tratamento), com controle de hemólise de 79,3% (vs. 79,0%) e prevenção de transfusão de 65,7% (vs. 68,1%) com crovalimabe (vs. eculizumabe). No COMMODORE 1, cujos pacientes receberam tratamento prévio com eculizumabe ou ravulizumabe e migraram para o novo tratamento (switch), o crovalimabe manteve o controle de hemólise e a isenção de transfusões em 92,9% e 79,5% dos pacientes, respectivamente., ? Prevenção de Hemólise Breakthrough (BTH): No estudo COMMODORE 2, a taxa de hemólise de escape (BTH) foi numericamente inferior com crovalimabe (10,4%) comparada ao eculizumabe (14,5%)., ? Preferência do Paciente: A maioria dos participantes (84-96%) que trocaram de tratamento preferiram o crovalimabe ao eculizumabe devido à maior facilidade de tratamento, menos visitas hospitalares associadas ao tratamento, tempos de administração mais curtos e melhor qualidade de vida., Pacientes Carreadores de Polimorfismo de C5 (Variantes Genéticas) em pacientes Pediátricos e Adolescentes., ? O bloqueio incompleto de C5 e a atividade hemolítica residual com eculizumabe: Os estudos clínicos com crovalimabe confirmam que pacientes que migraram de altas doses de eculizumabe para o crovalimabe conseguiram superar a lacuna da inibição residual, mantendo um controle robusto da doença sob o regime posológico padrão., Negativo e dificuldades: Não estar disponível no SUS ainda.	3ª - Não	4ª - ? Inibição rápida, completa e sustentada da via terminal do complemento devido à ligação ao C5 de alta afinidade e eliminação eficiente do mesmo, prevenindo o acúmulo de C5 livre na circulação, , ?Eficácia no Controle da Doença: O crovalimabe foi não-inferior ao eculizumabe no estudo COMMODORE 2 (pacientes virgens de tratamento), com controle de hemólise de 79,3% (vs. 79,0%) e prevenção de transfusão de 65,7% (vs. 68,1%) com crovalimabe (vs. eculizumabe). No COMMODORE 1, cujos pacientes receberam tratamento prévio com eculizumabe ou ravulizumabe e migraram para o novo tratamento (switch), o crovalimabe manteve o controle de hemólise e a isenção de transfusões em 92,9% e 79,5% dos pacientes, respectivamente., ? O bloqueio incompleto de C5 e a atividade hemolítica residual com eculizumabe: Os estudos clínicos com crovalimabe confirmam que pacientes que migraram de altas doses de eculizumabe para o crovalimabe conseguiram superar a lacuna da inibição residual, mantendo um controle robusto da doença sob o regime posológico padrão (COMMODORE 1 / COMPOSER)., ? Prevenção de Hemólise Breakthrough (BTH): No estudo COMMODORE 2, a taxa de hemólise de escape (BTH) foi numericamente inferior com crovalimabe (10,4%) comparada ao eculizumabe (14,5%)., ? Segurança e	5ª - Com a nova proposta de preço apresentada nesta contribuição e considerando as análises apresentadas pelo NATS no relatório de recomendação de crovalimabe, este tratamento proporcionará economia imediata (desde o primeiro ano) e sustentada ao longo dos demais anos para o sistema de saúde brasileiro, em comparação à eculizumabe e ravulizumabe., Considerando o preço vigente de eculizumabe, crovalimabe apresenta uma redução de 24% no custo de tratamento no ano 1 e de 36% nos anos subsequentes. Ainda, mesmo nos cenários exploratórios de preço de eculizumabe (desconto vs preço atual e preço internacional acrescidos dos devidos impostos), crovalimabe mantém a competitividade, apresentando custos similares no primeiro ano de tratamento, seguido de um custo 15% menor nos anos subsequentes, e um maior custo de tratamento no ano 1, seguido de custos similares nos anos subsequentes, respectivamente., Ao atualizar as análises de impacto orçamentário, considerando o preço atual de eculizumabe e a nova proposta de preço de crovalimabe, a incorporação de crovalimabe pode gerar economia na magnitude

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:
				Transição (Switch): Perfil favorável e sem infecção meningocócica. A troca de eculizumabe por crovalimabe gerou Reações de Complexos Imunes Transitórios (TICRs) foram leves/moderadas, se resolvem rapidamente. Pacientes que nunca foram tratados previamente com um inibidor de C5 ou pacientes cujo tratamento prévio com inibidor de C5 já foi depurado do organismo não estão suscetíveis ao desenvolvimento dessas reações., ? A eficácia do crovalimabe de resgatar o controle da doença em populações específicas foi validada em seu programa de desenvolvimento clínico: Pacientes Carreadores de Polimorfismo de C5 (Variantes Genéticas) em pacientes Pediátricos e Adolescentes.,	de R\$353 milhões acumulados em cinco anos, variando entre uma economia de R\$ 28 milhões no primeiro ano e de R\$104 milhões no quinto ano.,

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As evidências apresentadas no documento em anexo demonstram que ravulizumabe oferece benefícios clínicos que vão além da não-inferioridade estabelecida nos estudos pivotais vs. eculizumabe — incluindo controle sustentado da hemólise intravascular, baixa incidência de hemólise de escape (1,8%), redução de aproximadamente 5 vezes no risco de mortalidade e melhora significativa na qualidade de vida com apenas 6,5 infusões anuais. Esses resultados, consolidados em 6 anos de seguimento com mais de 400 pacientes (24), fundamentam o reconhecimento de ravulizumabe como padrão de tratamento de primeira linha em cerca de 70 países, com taxas de adoção superiores a 70% na Europa e na América Latina (31, 32)., A AstraZeneca reafirma seu compromisso com a sustentabilidade do SUS, apresentando proposta com desconto de 65,68% sobre o preço fábrica. Além disso, a empresa afirma o interesse em fazer uma Parceria de Desenvolvimento Produtivo (PDP) com o Ministério da Saúde para ambas as moléculas, ravulizumabe e eculizumabe, contribuindo também para o fortalecimento da soberania nacional e assegurando a manutenção do padrão de cuidado para os pacientes brasileiros., O novo PCDT de HPN, aprovado pela Conitec em fevereiro de 2025 (38), já prevê ravulizumabe como tratamento preferencial de início de tratamento e aguarda apenas publicação em Diário Oficial da União. Considerando que a maioria dos pacientes depende exclusivamente do SUS (62%) e 81% utilizam o sistema público em algum grau e que a incorporação foi decidida há mais de dois anos, a concretização desta incorporação representa um ganho muito importante para o paciente e familiares.,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - "1. Novas evidências de diferenciação clínica entre inibidores de C5 — Dados robustos publicados em 2025 demonstram que ravulizumabe e eculizumabe não são clinicamente equivalentes: ravulizumabe apresenta inibição sustentada do complemento terminal e incidência de hemólise de escape de apenas 1,8%, frente a 11–27% com eculizumabe, demonstrando ser superior ao eculizumabe, com significativamente menos pacientes apresentando hemólise de escape., , 2. Robustez de evidências a longo prazo (6 anos de seguimento) — Mais de 400 pacientes e 1.468 pacientes-ano de exposição confirmam controle duradouro da hemólise, redução de aproximadamente 5 vezes no risco de mortalidade e escores de qualidade de vida em conformidade com os valores normativos populacionais., , 3. Padrão de tratamento reconhecido mundialmente — Ravulizumabe é utilizado como primeira linha em cerca de 70 países, com taxas de adoção superiores a 70% na Europa e na América Latina, e o PCDT brasileiro aprovado em fevereiro de 2025 já o prevê como tratamento preferencial., "	5ª - 1.
Profissional de saúde 06/07/2026	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 - VIDE 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:
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O Estado tem o dever de prover todos os recursos necessários para uma pessoa ter condições normais.	2ª - Sim, Qual: Crovalimabe, Positivo e facilidades: Só tem aspectos positivos, utilização do crovalimabe 1 vez ao mês, subcutâneo, podendo fazer de casa, meus exames estão excelentes, não tenho mais anemia, tenho uma vida normal onde posso cuidar da minha família e da minha filha. , Negativo e dificuldades: Nenhum aspecto negativo	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Remédio de resultados bons., Negativo: O Eculizumabe é ministrado 2 vezes ao mês, intravenoso, ou seja, tinha que ir ao hospital 2 vezes ao mês, perdendo dia de trabalho, com o eculizumabe meus exames não eram tão bons.	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, No Brasil, um país continental, onde a população tem limitações sociais, ter opções terapêuticas que atendam suas necessidades é essencial , Podemos apoiar o uso de ravulzumabe e Fabhalta o primeiro representa a melhor opção dando qualidade de vida pelo período de infusão a cada 8 semanas o que é essencial ao paciente, evita deslocamentos curtos, falta aos estudos e trabalho. Parece simples mas pessoas são demitidas simplesmente pelo fato de necessitar ausentar-se para infusão, paciente falta a infusão por não ter dinheiro pro transporte, e olhe que estamos falando de uma doença ultra rara e que pode ser fatal., Quanto ao FABHALTA estudos mostram como o doente melhora dos sintomas clínicos, combate a hemólise extra vascular que era um problema que há alguns anos não tínhamos nem conhecimento, sem falar que a medicação oral o que é uma maravilha em termos evolução tecnológica.	2ª - Sim, Qual: Ravulzumabe que está no rol dos planos saúde, Positivo e facilidades: 1-controle da doença com qualidade de vida, mesma eficácia do soliris com espaçamento de infusões, tempo é ganho de saúde e de cuidado., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Diante da dificuldade enfrentada pelo paciente para se ter acesso a medicação	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - O valor da medicação é cara e a maioria dos pacientes não tem condições financeiras de ter acesso
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hoje os pacientes com diagnóstico de anemia aplásica com clone HPN ou somente HPN não tem condições de serem tratados no SUS na minha cidade pois não tem centros de infusão para eculizumabe com espaço para novos pacientes, assim eles tratam somente com transfusão . São fadados ao não tratamento . Por dificuldade de infusão ev	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A ampliação das opções terapêuticas para a Hemoglobulinúria Paroxística Noturna (HPN) permite que a escolha do tratamento seja cada vez mais alinhada às necessidades e preferências de cada paciente. Mais do que diferenças de eficácia, aspectos relacionados à forma de administração, frequência das doses, autonomia e impacto na rotina podem influenciar significativamente a experiência do tratamento e a adesão a longo prazo. Essas diferentes características de formas de administração do ravulizumabe (infusões intravenosas), do crovalimabe (dose inicial intravenosa com manutenção por aplicações subcutâneas mensais), do iptacopana (via oral) e do pegcetacopana (subcutâneo) - demonstram que não existe uma única estratégia terapêutica ideal para todos. A disponibilidade de múltiplas opções de medicamentos fortalece a medicina centrada no paciente ao permitir que a decisão terapêutica considere, além da eficácia e da segurança, fatores como estilo de vida, preferências individuais, capacidade de autoadministração, acesso aos serviços de saúde e potencial impacto na qualidade de vida e na adesão ao tratamento.	2ª - Sim, Qual: Medicamento, Positivo e facilidades: Melhoria na qualidade de vida das pessoas favorecidas pelo medicamento, redução dos sinais e sintomas da doença e diminuição de intercorrências devido a doença. , Negativo e dificuldades: O público favorecido pelo PCDT foi menor do que a quantidade de pacientes que necessitam do medicamento por outras particularidades que não estejam contemplados no protocolo.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A HPN é uma doença de evolução e resposta terapêutica irregular. Ocasionalmente o tratamento com eculizumab hoje disponível no SUS falha no controle da doença. Necessitamos dessas novas medicações para melhor .anexo dos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Participação de reuniões clínicas e relatos de casos sobre os medicamentos eculizumab, ravulizumab, pegcetacopana e crovalimabe, Positivo e facilidades: Possibilidade de melhor controle da anemia com redução de necessidade transfusional e melhora na qualidade de vida...seja pela facilidade posologica frente ao eculizumab ou pela diferença na ação resgatando os pacientes sem resposta, Negativo e dificuldades: Se bem empregadas não há ponto negativo....Seguir protocolo.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A realidade dos pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) no Brasil evidencia a necessidade de ampliar o acesso, no SUS, a opções terapêuticas que atendam às diferentes manifestações da doença e às necessidades clínicas dessa população. A experiência clínica demonstra que a escolha do tratamento influencia não apenas o controle da doença, mas também a qualidade de vida dos pacientes. Nesse contexto, o ravulizumabe se destaca como uma opção adequada para a primeira linha de tratamento. Em comparação ao eculizumabe, sua administração menos frequente reduz deslocamentos para infusão, diminui o impacto na rotina e favorece maior autonomia, mantendo eficácia no controle da hemólise. Entretanto, parte dos pacientes tratados com inibidores de C5 continua apresentando necessidades não atendidas. Estima-se que mais de 40% não alcancem resposta hematológica completa, permanecendo com anemia, necessidade de transfusões e sintomas como fadiga e dificuldade de concentração. Essas limitações afetam atividades profissionais, relações sociais e independência. A hemólise extravascular residual observada nesses pacientes representa um desafio terapêutico e justifica a disponibilidade de uma segunda linha com mecanismo de ação distinto. Nesse cenário, a iptacopana surge como alternativa relevante para pacientes sintomáticos ou com resposta inadequada aos inibidores de C5. Além da administração oral, a iptacopana demonstrou eficácia e segurança em estudos clínicos. Em contraste, o pegcetacoplan apresenta desafios relacionados à necessidade de infusão contínua, uso de dispositivos específicos e preocupações quanto ao risco infeccioso associado à inibição do C3. Diante dessas evidências, considero apropriada a incorporação do ravulizumabe como primeira linha e da iptacopana como segunda linha para pacientes com resposta inadequada aos inibidores de C5 no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - As evidências disponíveis demonstram que a iptacopana oferece benefícios clínicos relevantes para pacientes com HPN, especialmente aqueles que permanecem anêmicos ou sintomáticos apesar do uso de inibidores de C5. Nos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH, os resultados foram mantidos até 48 semanas. No APPLY-PNH, 86% dos pacientes apresentaram aumento de hemoglobina ?2 g/dL e 68% alcançaram Hb ?12 g/dL, no APPOINT-PNH, esses percentuais foram de 97% e 79%, respectivamente. Não houve descontinuações relacionadas a eventos adversos, e os episódios de hemólise de escape foram predominantemente leves ou moderados (Risitano et al., 2025). Os benefícios clínicos foram acompanhados de melhora significativa da qualidade de vida. A fadiga, um dos sintomas mais limitantes da HPN, apresentou redução relevante: 51% dos pacientes tratados com iptacopana alcançaram melhora clinicamente importante na escala FACIT-Fatigue, em comparação com 11% dos pacientes mantidos em inibidores de C5. Além disso, o aumento da hemoglobina esteve associado à redução da fadiga relatada pelos pacientes (Blood Advances, 2025). A perspectiva dos pacientes reforça a relevância desses resultados. Dados apresentados no EHA 2025 mostraram que muitos indivíduos ainda convivem com carga importante de sintomas durante o	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:
				tratamento, além de preferência por terapias mais práticas, especialmente opções orais e passíveis de administração domiciliar (Röth et al., 2025). Em análise comparativa indireta ajustada (MAIC), a iptacopana demonstrou maior incremento de hemoglobina em relação ao pegcetacoplan, com diferença média de até 1,31 g/dL, além de maior probabilidade de independência transfusional, fortalecendo seu potencial benefício em pacientes com anemia residual após uso de inibidores de C5 (Kulasekararaj et al., 2026). Em conjunto, essas evidências apoiam a incorporação da iptacopana como opção de segunda linha para pacientes com HPN e resposta inadequada aos inibidores de C5 no SUS.	

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Meu posicionamento é favorável a incorporação de cloridrato de iptacopana para 2ª linha de tratamento da HPN, por ser a melhor opção aos pacientes, segundo os dados científicos de : 1. Eficácia hematológica e independência transfusional, 2. Hemólise de escape e gravidade dos eventos, 3. Sustentabilidade no SUS e eventos adversos graves, 4. Posologia, armazenamento e aplicabilidade prática no Brasil. Nos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH, os resultados observados inicialmente foram consistentes e mantidos até 48 semanas de acompanhamento. No estudo APPLY-PNH, 86% dos pacientes apresentaram aumento de hemoglobina de pelo menos 2 g/dL e 68% alcançaram níveis de Hb $\geq$ 12 g/dL. No estudo APPOINT-PNH, esses percentuais foram de 97% e 79%, respectivamente. Os investigadores relataram ausência de descontinuações relacionadas a eventos adversos, e os episódios de hemólise de escape observados foram predominantemente leves ou moderados (Risitano et al., Lancet Haematology, 2025). Um aspecto relevante é a ocorrência de hemólise de escape. Os dados disponíveis sugerem uma frequência menor de hemólise de escape com iptacopana em longo prazo, em torno de 11% em 4 a 5 anos, E por fim, além dos aspectos de eficácia e segurança dos estudos pivotais, iptacopana é oral e não exige refrigeração ou manejo complexo para o pacientes, facilitando adesão e administração do tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - "Meu posicionamento é favorável a incorporação de cloridrato de iptacopana para 2ª linha de tratamento da HPN, por ser a melhor opção aos pacientes, segundo os dados científicos de : 1. Eficácia hematológica e independência transfusional, 2. Hemólise de escape e gravidade dos eventos, 3. Sustentabilidade no SUS e eventos adversos graves, 4. Posologia, armazenamento e aplicabilidade prática no Brasil. Nos estudos APPLY-PNH e APPOINT-PNH, os resultados observados inicialmente foram consistentes e mantidos até 48 semanas de acompanhamento. No estudo APPLY-PNH, 86% dos pacientes apresentaram aumento de hemoglobina de pelo menos 2 g/dL e 68% alcançaram níveis de Hb $\geq$ 12 g/dL. No estudo APPOINT-PNH, esses percentuais foram de 97% e 79%, respectivamente. Os investigadores relataram ausência de descontinuações relacionadas a eventos adversos, e os episódios de hemólise de escape observados foram predominantemente leves ou moderados (Risitano et al., Lancet Haematology, 2025). Um aspecto relevante é a ocorrência de hemólise de escape. Os dados disponíveis sugerem uma frequência menor de hemólise de escape com iptacopana em longo prazo, em torno de 11% em 4 a 5 anos, E por fim, além dos aspectos de eficácia e segurança dos estudos pivotais, iptacopana é oral e não exige refrigeração ou manejo complexo para o	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:
				pacientes, facilitando adesão e administração do tratamento. Brodsky RA, Peffault de Latour R, Rottinghaus ST, et al. Characterization of breakthrough hemolysis events observed in the phase 3 randomized studies of ravulizumab versus eculizumab in adults with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Haematologica. 2021, 106(1):230-237. "	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Comente sobre a sua opinião., Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza , e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que , pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacoplana. Cada pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública. , Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a , realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada , 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste , com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes. Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade de viver com muito mais tranquilidade. , , Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a , hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo. ,	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe / Solires, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu papel importante de salvar vidas. , Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em , toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras , opções de tratamento.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Consulta Pública nº 49 posicionou pegcetacoplane como opção de segunda linha para pacientes com HPN e falha terapêutica a inibidores de C5, ao lado da iptacopana. A recomendação preliminar desfavorável foi fundamentada em preocupações com sustentabilidade orçamentária diante de eventual queda no preço do eculizumabe. Esta contribuição questiona a premissa econômica dessa preocupação e apresenta os dados do próprio relatório que sustentam a incorporação da pegcetacoplane., , A elegibilidade à pegcetacoplane é definida por critério clínico objetivo — hemólise extravascular mediada por C3 persistente a despeito do bloqueio de C5 — não por comparação de preços. Essa limitação resulta da ausência de inibição de C3 pelos inibidores de C5, uma consequência biológica intrínseca ao seu mecanismo de ação. Nenhuma redução no preço do eculizumabe altera sua incapacidade estrutural de bloquear C3. A queda de preço do eculizumabe beneficia os pacientes da primeira linha, não reduz a população que necessita de segunda linha., , O próprio relatório da CP nº 49 demonstra que a incorporação da pegcetacoplane gera economia acumulada de R\$ 79,8 milhões ao SUS em cinco anos no cenário com preço atual do eculizumabe. Na análise de custo-efetividade das tecnologias de segunda linha, a iptacopana apresentou RCUI de R\$ 51.936.499/QALY frente à pegcetacoplane, ao custo adicional de R\$ 651.607 por ano para ganho de apenas 0,01 QALY por paciente. Adicionalmente, nos cenários de preço reduzido do eculizumabe, o impacto incremental da iptacopana supera o da pegcetacoplane, posicionando esta última como a opção de segunda linha com maior resiliência orçamentária frente ao cenário de entrada de biossimilar., , Incorporar a pegcetacoplane significa estruturar o acesso a uma terapia clinicamente necessária e economicamente superior dentro do conjunto avaliado, para pacientes que já estão no SUS sem resposta adequada ao tratamento disponível.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Novas opções terapêuticas para pacientes refratários, com melhor intervalo entre doses	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Medicamento , Positivo: Controle de doença em muitos pacientes , Negativo: Alguns poucos pacientes refratários	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 com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Embora os inibidores de C5 tenham reduzido drasticamente a hemólise intravascular e melhorado a sobrevida na HPN, cerca de um terço dos pacientes manifesta anemia persistente e fadiga crônica, sendo esta uma necessidade médica não atendida. Esse quadro decorre da hemólise extravascular, desencadeada pela opsonização de C3 na membrana eritrocitária — um efeito colateral paradoxal do próprio bloqueio de C5., O Sistema Único de Saúde (SUS) carece de terapias aprovadas que atuem especificamente nesse mecanismo proximal de destruição celular., A pegcetacoplana atua como um inibidor do complemento proximal, oferecendo uma abordagem farmacológica distinta dos anticorpos anti-C5.. Os dados clínicos demonstram incremento nos índices de hemoglobina, melhora na qualidade de vida e redução do suporte transfusional para pacientes refratários à terapia padrão., É uma importante alternativa estratégica para o subgrupo com anemia sintomática mediada por C3., A aplicação subcutânea é, realizada duas vezes por semana (com duração de 30 a 60 minutos por infusão), demandando bombas de infusão específicas, mas previne que os pacientes necessitem se deslocar para os centros de referência, fator importante num país com dimensões continentais e uma população muito carente,, ,	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Mudaram o panorama da doença , Negativo: falha em resolver a anemia em 30% dos casos	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Estou apoiando essa causa porque tenho uma amiga muito querida que convive com a HPN e eu tenho acompanhado um pouco da trajetória dela. Mesmo depois de encontrar um tratamento que salvou sua vida, ela ainda convive com o medo de que uma simples gripe ou infecção possa desencadear uma piora importante da doença. É muito difícil imaginar que algo tão comum para a maioria das pessoas possa representar um risco tão grande para alguém., , Ver de perto essa realidade me fez entender como é importante que pacientes com HPN tenham acesso a mais opções de tratamento. Cada pessoa responde de uma forma, e ampliar essas alternativas pode significar mais segurança, mais autonomia, menos internações e uma qualidade de vida muito melhor. Por isso, sou favorável à incorporação desses tratamentos no SUS, para que pessoas como a minha amiga possam viver com mais tranquilidade, esperança e dignidade., ,	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação da pegcetacoplana no SUS, pois ela atende uma necessidade clínica ainda não contemplada em pacientes com resposta insuficiente aos inibidores de C5, ampliando as possibilidades terapêuticas e contribuindo para um cuidado mais efetivo e centrado no paciente.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana., Positivo e facilidades: No caso do ravulizumabe, entendo que sua permanência no SUS deve ser assegurada. Além de já integrar as opções aprovadas pela própria CONITEC, trata-se de uma terapia que reduz substancialmente a frequência das infusões em comparação ao eculizumabe, passando de aplicações quinzenais para intervalos de oito semanas. Essa característica representa menor impacto na rotina das pessoas, reduz a necessidade de deslocamentos aos centros especializados e favorece maior continuidade do tratamento. Reavaliar uma tecnologia já incorporada também gera insegurança para pacientes e equipes assistenciais., Além disso o mesmo, por ter um vida mais longa no organismo, assegura uma resposta muito mais significativa se comparado ao Eculizumabe. , O crovalimabe também pode ampliar essas possibilidades ao oferecer administração subcutânea mensal. Essa alternativa pode ser especialmente benéfica para pacientes que residem em municípios distantes dos serviços de referência ou que enfrentam dificuldades lide locomoção para comparecer regularmente às infusões intravenosas. Já a iptacopana e a pegcetacoplana atendem uma demanda clínica importante dos pacientes que permanecem com atividade da doença mesmo durante o uso de inibidores de C5. A persistência de anemia, hemólise extravascular, fadiga e necessidade de transfusões demonstra que ainda existem necessidades não plenamente atendidas pelas terapias atualmente disponíveis. Nesse contexto, a iptacopana representa uma alternativa relevante por ser administrada por via oral, proporcionando praticidade para alguns pacientes. A pegcetacoplana, por sua vez, oferece administração subcutânea domiciliar (2 vezes na semana), uma vida longa no organismo (aproximadamente 8 dias) e é o único que permite modulação de dose em situações específicas, ampliando as possibilidades de individualização da terapia conforme a evolução clínica., , Negativo e dificuldades: Não considero que haja efeitos negativos relevantes decorrentes da incorporação das tecnologias. Seu uso é destinado a pacientes com indicação clínica específica e ocorre sob acompanhamento especializado, permitindo que a escolha do tratamento seja individualizada e adequada às necessidades de cada paciente.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi a primeira terapia específica para HPN e representou um grande avanço no tratamento da doença. Sua introdução modificou a história natural da HPN, reduzindo a hemólise, a necessidade de transfusões e o risco de complicações graves, além de aumentar a sobrevida e melhorar significativamente a qualidade de vida dos pacientes., Negativo: Embora o eculizumabe tenha representado um marco no tratamento da HPN, sua administração por infusão intravenosa a cada 14 dias pode gerar impacto importante na rotina dos pacientes, exigindo deslocamentos frequentes aos centros de infusão e maior organização da vida pessoal, familiar e profissional. Além disso, alguns pacientes permanecem com anemia residual, fadiga e necessidade de transfusões, evidenciando que o bloqueio de C5 nem sempre controla completamente a doença, especialmente a hemólise extravascular.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana pode contribuir muito em relação à qualidade de vida dos pacientes. é necessário ampliar o acesso considerando que a HPN é grave e debilitante.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A SPSP entende que a incorporação de novas opções terapêuticas para a hemoglobinúria paroxística noturna deve considerar, além das evidências de eficácia, segurança e custo-efetividade, aspectos relacionados à organização da assistência e às necessidades dos pacientes. A disponibilização de diferentes inibidores do complemento C5, com esquemas de administração distintos e eficácia clínica comparável, amplia as possibilidades de individualização do tratamento, permitindo adequar a terapia às características clínicas e ao contexto assistencial de cada paciente, com potencial para otimizar a utilização dos recursos do SUS e favorecer o acesso ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - O estudo de Reiss et al. demonstrou que o eculizumabe, o qual já faz parte do nosso PCDT para o tratamento da HPN, é seguro e eficaz para o tratamento de crianças e adolescentes, permitindo o controle da hemólise de forma similar ao observado em adultos. Porém, a necessidade de aplicação intravenosa a cada 2 semanas pode dificultar a adesão ao tratamento, uma vez que o uso deve ser realizado em unidades ambulatoriais. A eficácia e a segurança do ravulizumabe foram demonstradas em estudo clínico de fase 3 conduzido em pacientes menores de 18 anos, tanto em indivíduos virgens de tratamento quanto naqueles previamente tratados com eculizumabe. Também na pediatria mostrou ser capaz de inibição completa e sustentada do componente terminal do complemento (C5), controlar a hemólise, levar a independência transfusional e estabilização da anemia e aliviar sintomas com melhorias na qualidade de vida e nos escores de fadiga. O perfil de segurança foi consistente com o que já é observado em adultos. Foram registrados poucos casos de hemólise intravascular de escape, embora, no estudo, essas ocorrências não tenham sido causadas por falha ou insuficiência na inibição do fator C5 pelo medicamento. Durante o período analisado, não houve registro de mortes, infecções por meningococo ou eventos adversos que forçassem a interrupção definitiva da medicação. Nos estudos de fase 3 do	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:
				programa COMMODORE, o crovalimabe demonstrou eficácia no controle da hemólise intravascular, redução da necessidade transfusional, diminuição dos níveis de desidrogenase láctica e melhora da fadiga e da qualidade de vida. Por se ligar a um epítipo distinto da proteína C5, o crovalimabe mostrou-se eficaz em pacientes portadores do polimorfismo C5 R885H, que apresentam resposta limitada ao eculizumabe e ao ravulizumabe. A segurança é semelhante à dos demais inibidores do C5. As fontes estão relacionadas no anexo.	
Pessoa com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Como paciente diagnosticada com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), manifesto meu total apoio à incorporação de novas tecnologias para o tratamento desta patologia no sistema público de saúde., , Antes de iniciar a medicação, apresentei um quadro grave de trombose, que evoluiu para uma embolia pulmonar, colocando minha vida em risco iminente. Após o início do tratamento com o medicamento, meu quadro clínico apresentou uma estabilização significativa. Não vivenciei novos episódios de trombose, os sintomas graves da doença foram controlados e meus exames laboratoriais se normalizaram, permitindo o resgate da minha qualidade de vida e segurança física., , Diante do sucesso do meu tratamento, ressalto que a ampliação das opções terapêuticas disponíveis no sistema de saúde é fundamental. Garantir o acesso a novas alternativas de medicamentos oferece maior segurança aos pacientes, permitindo a individualização do tratamento e o manejo adequado de uma doença tão complexa e limitante.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eu uso o Soliris (Eculizumabe) , Positivo: Os aspectos positivos que eu pude notar ao tomar o Soliris, foi que após a infusão meus exames (indicadores) normalizaram, plaquetas subiram, LDH abaixou, hemácias e leucócitos melhoraram. E o mais importante não tive mais trombose. , , Negativo: Aspecto negativo, é o tempo curto entre as infusões, sendo necessário organizar a rotina, se tivesse outras opções poderia ser mais fácil a logística.	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Toda medicação que melhore a qualidade de vida do doente, deve ser incorporada.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris, Positivo: Melhorou a qualidade de vida do doente. Com a medicação o doente passou a ter vida normal. , Negativo: O doente viaja 12 horas de 15 em 15 dias. Toma a medicação em Juiz de fora mg.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tive oportunidade de acompanhar pacientes antes da incorporação de Eculizumabe e era muito triste não conseguir efetivamente interferir na história natural da doença. Os tratamentos de suporte são frustrantes, paliativos, e fatalmente, rapidamente, os pacientes evoluíam com piora clínica e qualidade de vida muito ruim. , A incorporação de Eculizumabe ao tratamento de HPN mudou completamente a história dos pacientes. , No entanto, se conhece muito bem o mecanismo de anemia em parte dos pacientes em tratamento, a hemólise extravascular. , Sabe-se também a dificuldade dos pacientes para receberem a medicação, relacionadas às grandes distâncias que tem que percorrer a cada 2 semanas para os centros de tratamento. , Há custos diretos e indiretos relacionados à frequência das infusões, que poderiam ser reduzidos aumentando o intervalo entre as aplicações. , Há muitos pacientes que se tratam há mais de 10 anos, sentem-se bem, mas não conseguem ter uma vida próxima do normal, como o tratamento adequado poderia proporcionar, uma vez que não conseguem trabalhar nem estudar, pois precisam se deslocar até 800 km, no caso da Bahia, por exemplo, a cada 2 semanas para serem tratados adequadamente.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Melhora significativa na qualidade de vida, redução de sintomas como dor e cansaço, redução de internações, ausência de novos eventos trombóticos, insuficiência renal e redução de anemia e consequente redução de transfusões. , Não foram mais reportados óbitos relacionados à atividade da doença, entre os pacientes em tratamento que acompanhei. , Negativo e dificuldades: Necessidade de retornos frequentes para infusão - 2 semanas., Em torno de 30% dos pacientes apresentam algum grau de anemia durante o tratamento.	3ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo: Menos infusões por ano gera economia direta e indireta: , Comodidade para o paciente, pois há maior intervalo entre aplicações e portanto menor frequência de deslocamento. Como consequência, há menos custo ao paciente e melhor qualidade de vida. , Desonera prefeituras, pois há menos gastos com transporte dos pacientes para infusão. , Diminui custos com a infusão - material, equipe de enfermagem, custos de sala de infusão. Desafoga centros de infusão, libera leitos para outros tratamentos. Menos gastos com internações. , Menos frequência de hemólise de escape, portanto mais segurança, menor risco de trombose e lesão renal, menos anemia. , Negativo: Não diminui hemólise extravascular, por ser inibidor de complemento terminal, em torno de 30% dos pacientes apresentam algum grau de anemia durante o tratamento, assim como os outros inibidores de C5.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há apenas um único tratamento disponível incorporado ao SUS. Trata-se de uma doença complexa tanto do ponto de vista clínico como sócioeconômico. Pois, o fato de ser uma doença incurável que, se não tratada, leva o paciente ao óbito, associado à necessidade de tratamento contínuo por tempo indeterminado traz consequências que impactam não apenas o sistema econômico do país, mas a vida útil de cada paciente. Pessoas que em seus anos economicamente ativos ficam com dificuldade de conseguir um emprego ou se manter empregado, bem como afeta a capacidade do indivíduo estudar ou se manter regular nas suas atividades acadêmicas, uma vez que, hoje em dia, precisam se ausentar quinzenalmente das suas atividades diárias para ir ao hospital a fim de realizar a infusão. , Ir infundir eculizumab a cada 15d significa: - Perder 6 a 24h do seu dia, a depender da sua distância ao centro de infusão, DE 15/15d., - Dependendo de TFD, que muitas vezes não dá auxílio alimentação. Tenho paciente que viaja 17h para ir e 17h para retornar do centro de infusão, imagina ESSA situação por TODA vida!, - Torcer p/ ter quadro infeccioso APENAS na 1ª semana após a infusão do eculizumab, pois, como a meia-vida é de 7 dias, na 2ª semana há um risco grande de escape hemolítico, às vezes severo, farmacodinâmico., - Ter a data da medicação adiada com frequência quando cai no feriado, resultando em hemólise farmacocinética porque a meia vida do eculizumab é curta e, no D13, d14 já está com DHL alto. , - Aceitar que, apesar de não ter mais possibilidade de ir à óbito pela doença, terá que aceitar a fadiga crônica, “brain fog”, dispneia ao esforço (nos casos de pacientes que persistem com Hg < 10 em uso de eculizumab). Será que não morrer é realmente o SUFICIENTE para TODOS nós?!? Ou será que quem depende SUS é o nicho da população que merece viver assim?	2ª - Sim, Qual: Tenho experiência com as seguintes drogas: ravulizumab, pegcetacopan e iptacopan. , , Positivo e facilidades: ""-O ravulizumab é intravenoso a cada 8 semanas. Observo que os pacientes permanecem com DHL normal até o dia da próxima infusão, fato que não ocorre com essa linearidade e certeza nos pacientes de eculizumab. Com isso, a Hg sobe um pouco, reticulócito e DHL sempre baixos (na ausência de HEV). Permite que haja uma conciliação do tratamento com o trabalho e viagens, bem como reduz o risco de hemólise farmacodinâmica., , -Iptacopan é um inibidor do fator B, oral, que utilizo em pacientes que estão em HEV e mantinham Hg menor que 10 com muitos sintomas. Os pacientes apresentam boa adesão à medicação, principalmente por que a resposta é tão boa e traz uma sensação de bem-estar e normalidade ao paciente que eles ESQUECEM NUNCA O REMÉDIO. Paciente com Hg anterior de 8 foi para 12,5Hg e outro com Hg em 14,3. Ambos voltaram a trabalhar, estudar, jogar bola com os filhos., , -Pegcetacopan, inibidor do C3, o qual tenho experiência em 4 pacientes em uso ""quase regular"", visto que há descontinuação em alguns, com idas e vindas da medicação que atrasa por ser judicializada. É, também, um excelente medicamento. A via subcutânea não foi um atrapalho para a administração de nenhum paciente independente do nível intelectual. Não houve reclamação de dor local ou problemas com o kit de infusão. Os níveis de Hg ficam entre 11 a 13 g/dL com melhora da qualidade de vida e relatam gostar de ser 2 x por semana, mas realizando em casa a infusão., , -Não tenho experiência com crovalimab. Todas as novas tecnologias são seguras, tem estudos fase 3 com N robusto e tempo de acompanhamento prolongado., , O uso dessas novas tecnologias trouxe os pacientes de volta à uma VIDA NORMAL, FELIZ E PRODUTIVA., , ", Negativo e dificuldades: Até o momento, o problema com as novas tecnologias tem sido a necessidade de judicialização para promover o acesso. Tal fato demanda tempo sem tratamento ideal e algumas interrupções da medicação por problemas de compra das mesmas.	3ª - Não	4ª - Sou hematologista atuante no cuidado de pacientes com HPN e coordeno o ambulatório de HPN do HEMOPE, apresento contribuição técnica sobre ravulizumab, pegcetacopan e iptacopan. , A HPN é uma doença grave e com complicações sérias por HIV. Portanto, é necessário um bloqueador de C5 de ação prolongada, o mais prolongado possível, como o ravulizumab, para prevenir escapes hemolíticos farmacocinéticos ou farmacodinâmicos e restaurar a normalidade da vida desses indivíduos com mais saúde, melhor hemoglobina, e, menos viagens. A infusão a cada 8 semanas reduz deslocamentos, o que impacta muito mais os pacientes do SUS que moram longe do centro de infusão., O iptacopan e o pegcetacopan, por atuarem na parte proximal do complemento são importantes para tratar aqueles pacientes em uso de inibidor de C5 que apresentam resposta subótima ou parcial por causa da HEV. O iptacopan por ser oral, não precisa de geladeira ou treinamento para infusão talvez se adapte melhor ao SUS que se caracteriza por uma população heterogênea em níveis de acesso à educação, transporte e disponibilidade de acondicionamento da droga. Ambas melhoram a Hg e a qualidade de vida dos pacientes, porém as taxas de escape hemolítico IV foi maior nos estudos do pegcetacopan comparado aos descritos ao do iptacopan, apesar do follow-up dos estudos do peg	5ª - Incorporação de ravulizumab como alternativa mais eficiente e menos onerosa ao eculizumab: menos TFD, menos sobrecarga do centro de infusão, Serão apenas 6 visitas ao ano no hospital para realizar o tratamento, ou seja, reduz custos indiretos. Além de menor escape hemolítico - > que resulta em menos transfusão., (Coyle et al., 2021 (Pharmacoeconomics) — análise de custo-efetividade comparando ravulizumab vs eculizumab. , Os inibidores do complemento proximal apresentam estudos fármaco-econômicos incipientes por serem tecnologias novas. Contudo, a maior autonomia do paciente, a independência do centro transfusional, a melhora da anemia e retorno às atividades regulares do paciente e prevenção de transfusões, com certeza resultarão em um grande impacto econômico e social para os pacientes com HEV na HPN.

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:
				serem maior. , Além dos estudos pivotais de cada droga, as diretrizes internacionais (Parker et al., Blood 2005, Brodsky, Blood 2021) reforçam o papel central da inibição do complemento e justificam a avaliação de terapias com diferentes mecanismos., Estudos pivotais: Kulasekararaj AG et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in PNH: the 301 study. Blood. 2019, 133(6):530–539 / Hillmen P et al. Pegcetacoplan versus eculizumab in PNH (PEGASUS trial). N Engl J Med. 2021, 384:1028–1037. / Kulasekararaj AG et al. Iptacopan monotherapy in PNH: results from the APPLY-PNH trial. N Engl J Med. 2022, 387:2220–2231.	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com paciente portador de HPN e veja a luta dele para sobreviver, sempre com medo.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Ainda está no início, espero que ele tenha uma resposta boa, Negativo: Ainda não tenho como informar	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, TRATO HPN DESDE 2013. JA ACOMPANHEI MAIS DE 18 PACIENTES COM HPN. 2 OBITOS NA TENTATIVA DE TRANSPLANTE E UM COM AVC ISQUEMICO GRAVE POR FALTA DE ECULIZUMABE. , 40% DO MEU AMBULATORIO ATUALMENTE COM RESPOSTA PARCIAL AO ECULIZUMABE MANTENDO NECESSIDADE TRANSFUSIONAL E QUEIXA DE FADIGA CRONICA. ESSES PACIENTES JOVENS, ECONOMICAMENTE ATIVOS, TEM SUA CAPACIDADE DE VIDA LIMITADA DEVIDO A DOENCA, ASSIM COMO SEUS FAMILIARES. ALEM DISSO PRECISAM SE LOCOMOVER POR QUILOMETROS PARA CONSEGUIREM INFUNDIR A MEDICACAO. , HA 9 MESES TIVE A OPORTUNIDADE DE TRATAR UM PACIENTE COM IPTACOPAN. EM 1 MES GANHO DE 4 PONTOS NA HEMOGLOBINA, PACIENTE DESCREVE QUE NUNCA SE SENTIU TAO BEM. , OUTRO PACIENTE DO PRIVADO INICIOU RAVULIZUMABE. SEM INTERCORRENCIAS E CONSEGUE MANTER SUAS ATIVIDADES PROFISSIONAIS (QUE INCLUIAM VIAGENS INTERNACIONAIS COM DURACAO DE MAIS 3 SEMANAS). , E TENHO AINDA PACIENTE QUE SAI DO PARA PARA CHEGAR EM GOIANIA QUINZENALMENTE, NESSE PACIENTE CROVALIMABE OU RAVULIZUMABE SERIA EXCELENTE. , PORTANTO, ACHO QUE TODAS AS MEDICACOES DEVAM SER INCORPORADAS PARA QUE PELO PERFIL DO PACIENTE POSSAMOS ESCOLHER O MELHOR TRATAMENTO, E DEVOLVER TODOS A SOCIEDADE. , O TRATAMENTO CORRETO E COMPRA CENTRALIZADAS DIMINUI CUSTOS, DIMINUI RISCOS PARA O PACIENTE E DEVOLVEM FAMILIAS PARA A SOCIEDADE. , DOENCAS RARAS TBM DEVEM SER VISTAS, ISSO SIM E EQUIDADE.	2ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE , RAVULIZUMABE , IPTACOPANA, Positivo e facilidades: QUE PACIENTES TEM FENOTIPOS E NECESSIDADES DIFERENTES. SOMENTE O ECULIZUMABE ESTAMOS SUBTRATANDO OS PACIENTES. REALMENTE NOS TIRAMOS OS PACIENTES DO RISCO TROMBOTICO MAS CAUSAMOS A HEMOLISE EXTRAVASCULAR E AGORA PRECISAMOS PENSAR E TRATAR ESSA INTERCORRENCIA. , Negativo e dificuldades: CUSTO. O CUSTO ALTO ATRASA A DISPONIBILIDADE E A FALTA DA MEDICACAO LEVA A OBITO	3ª - Sim, Qual: SOMENTE CROVALIMABE E PEGCETACOPLAN AINDA NAO USEI, MAS TIVE DISCUSOES COM MEDICOS DE TODO O BRASIL QUE TEM RESULTDOS EXCELENTE. , Positivo: QUE AS NOVAS TECNOLOGIAS SAO MELHORES QUE O ECULIZUMABE. , O ECULIZUMABE TEM O SEU PAPEL E VALOR, MAS EXISTE OPCOES MELHORES E MAIS ECONOMICAS. , Negativo: VIDE ACIMA	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 com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que esses tratamentos devem ser incorporados ao SUS porque, para alguns pacientes com HPN, o tratamento disponível hoje não controla a doença de forma suficiente. O Soliris é importante, mas não funciona bem para todos. Quando o paciente continua com anemia persistente, hemólise, necessidade de transfusões e sinais de falência da medula, isso não é apenas perda de qualidade de vida. É risco real de agravamento e morte., , Em alguns casos, a anemia persistente pode ser tão grave que o paciente passa a viver em situação de risco contínuo, dependendo de transfusões, internações e acompanhamento hospitalar frequente. A HPN também pode estar associada à aplasia medular, o que torna o quadro ainda mais sério. Para esses pacientes, ter outra opção de tratamento pode significar continuar vivo., , Por isso, o SUS não pode oferecer apenas uma alternativa. Pacientes diferentes respondem de formas diferentes. Quem não responde adequadamente ao Soliris precisa ter acesso a outros medicamentos que possam controlar melhor a doença e evitar uma evolução grave., , A incorporação desses tratamentos é necessária porque, para muitos pacientes, ela representa a possibilidade de sobreviver quando o tratamento atual não é suficiente. Não se trata apenas de melhorar a rotina. Trata-se de vida.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Soliris - Eculizumab. Tratamentos complementares - ladogal para tentar melhorar a anemia e diminuir as transfusões e testosterona tb., , Mesmo usando Soliris corretamente, minha resposta não é completa. Eu continuo com anemia persistente, fraqueza, cansaço intenso e muita dor, principalmente nas pernas, na lombar, na cabeça e no pescoço. Esses sintomas não ficam só no desconforto do dia a dia. Em vários momentos, eles me levam ao hospital, com necessidade de atendimento, investigação, acompanhamento mais próximo e internações recorrentes., , Quando tenho infecções, inflamações ou qualquer descompensação, meu quadro pode piorar bastante. A anemia se torna mais difícil, a fraqueza aumenta, a dor fica mais intensa e muitas vezes eu não consigo me recuperar sozinha em casa. Nesses períodos, preciso recorrer ao hospital e, em algumas situações, acabo internando., , Por isso, considero que minha resposta ao Soliris é parcial. Ele foi importante e continua tendo papel no meu tratamento, mas não controla totalmente a HPN no meu caso. Eu sigo com anemia persistente, dor importante, cansaço extremo, idas frequentes ao hospital e internações recorrentes. Para pacientes que continuam assim mesmo em tratamento, outras opções terapêuticas no SUS podem significar vida. Não se trata apenas de qualidade de vida., Positivo: O Soliris foi muito importante no meu tratamento. Ele ajudou a controlar parte da hemólise e provavelmente reduziu riscos graves da HPN, especialmente o risco de complicações como trombose. Também me ajudou a atravessar muitos anos de doença com algum grau de controle, evitando que o quadro ficasse ainda mais grave., , Percebo que ele tem efeito no meu corpo, porque sem tratamento a doença poderia ser muito mais perigosa. Ele ajuda a segurar parte da atividade da HPN e foi uma opção essencial durante muito tempo., , Negativo: Mesmo com o Soliris, minha doença não fica completamente controlada. Eu sigo com anemia persistente, fraqueza, cansaço intenso e muita dor, principalmente nas pernas, lombar, cabeça e pescoço. Além disso, já fiz e continuo precisando fazer muitas transfusões. Isso trouxe outra complicação importante: sobrecarga de ferro. Minha ferritina está muito alta, já tenho ferro	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:
			acumulado no fígado e isso já está afetando meu coração., , Ou seja, não é apenas uma questão de sintomas ou de qualidade de vida. A anemia persistente e a necessidade recorrente de transfusões estão gerando complicações sérias no meu corpo. Mesmo em tratamento, continuo indo ao hospital, tenho internações recorrentes e vivo com risco de piora. Por isso, considero que minha resposta ao Soliris é parcial. Ele ajuda, mas não é suficiente para controlar adequadamente a doença no meu caso., , Para pacientes que continuam com anemia persistente, transfusões recorrentes e sobrecarga de ferro mesmo em tratamento, novas opções terapêuticas podem significar vida. Não se trata apenas de ter mais conforto ou praticidade. Trata-se de evitar agravamento, lesão em órgãos, internações e risco de morte., ,		

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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A Abrale entende que o processo de avaliação conduzido pela Conitec deve reconhecer que a HPN exige uma abordagem terapêutica individualizada. As tecnologias atualmente avaliadas possuem mecanismos de ação distintos, indicações específicas e potencial para atender diferentes perfis de pacientes ao longo da evolução da doença. Por esse motivo, não devem ser analisadas sob uma lógica de competição ou substituição entre si, mas como alternativas complementares dentro de uma linha de cuidado estruturada. Diferenciar adequadamente as terapias indicadas para primeira linha daquelas destinadas aos pacientes que permanecem com anemia residual, hemólise persistente ou resposta inadequada ao tratamento é fundamental para assegurar que cada pessoa receba a opção terapêutica mais apropriada à sua condição clínica, promovendo maior efetividade, cuidado integral e melhor qualidade de vida., A HPN permanece sendo uma doença de elevada complexidade clínica, cujo impacto ultrapassa os aspectos laboratoriais e compromete profundamente a vida dos pacientes. Os relatos apresentados nesta contribuição, aliados aos resultados do estudo Panorama da HPN no Brasil, evidenciam que viver com a doença significa conviver diariamente com fadiga intensa, limitações físicas, perda de produtividade, insegurança quanto ao futuro, dificuldades para manter vínculos profissionais e longos deslocamentos para realização do tratamento. Esses desafios reforçam que a avaliação das tecnologias deve considerar não apenas os desfechos clínicos, mas também os impactos sociais, econômicos e funcionais vivenciados pelos pacientes. a avaliação conjunta das tecnologias não deve restringir o acesso às diferentes alternativas terapêuticas disponíveis, mas reconhecer que mecanismos de ação distintos respondem a necessidades clínicas distintas. A ampliação do arsenal terapêutico fortalece a individualização do cuidado, amplia as possibilidades de resposta clínica e aproxima a tomada de decisão centrada no paciente. ,	2ª - Sim, Qual: A Abrale possui experiência com todas as tecnologias, mas fará o destaque de todas individualmente em formulários separados. , Neste formulário abordará a tecnologia Ravulizumabe. , A Abrale entende que a avaliação conjunta dessas tecnologias exige cautela. Embora todas sejam destinadas ao tratamento da HPN, elas apresentam mecanismos de ação distintos, perfis de utilização diferentes e potencial para atender grupos específicos de pacientes ao longo da jornada da doença. Dessa forma, a análise não deve ser conduzida sob a lógica de substituição entre tecnologias, mas sim sob a perspectiva da complementaridade terapêutica e da necessidade de individualização do cuidado., Positivo e facilidades: Inicialmente é fundamental destacar que o ravulizumabe já teve sua incorporação aprovada pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 10, de 5 de março de 2024, para o tratamento da HPN conforme protocolo clínico do Ministério da Saúde. No entanto, apesar da decisão favorável e da formalização da incorporação, os pacientes ainda não tiveram acesso efetivo à tecnologia, uma vez que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da HPN permanece sem publicação final. Esse cenário gera preocupação entre pacientes e organizações da sociedade civil, pois evidencia um descompasso entre a incorporação formal da tecnologia e sua efetiva disponibilização na rede pública. Para as pessoas que vivem com HPN, especialmente aquelas que enfrentam limitações relacionadas à frequência das infusões, à distância dos centros especializados e à necessidade de conciliar tratamento e vida profissional, o acesso ao ravulizumabe representa uma demanda concreta e já reconhecida pelo próprio Ministério da Saúde. Nesse contexto, o ravulizumabe representa um avanço clínico significativo ao reduzir o número médio de infusões de aproximadamente 26 aplicações anuais para apenas seis infusões por ano, mantendo eficácia semelhante ao tratamento de referência. Essa mudança reduz expressivamente o impacto do tratamento sobre a vida cotidiana, favorece a permanência no mercado de trabalho, diminui custos indiretos relacionados aos deslocamentos, preserva o acesso venoso e amplia a autonomia dos pacientes durante o acompanhamento de uma doença crônica., Esses benefícios foram claramente evidenciados durante as reuniões da Conitec. Ana Luísa, paciente com HPN há dez anos, relatou que, precisava reorganizar completamente sua rotina a cada duas semanas para realizar as infusões, acumulando aproximadamente 26 ausências anuais no trabalho. Após iniciar o ravulizumabe, esse número foi reduzido para cerca de sete ausências por ano, permitindo maior estabilidade. , , Negativo e dificuldades: '-	3ª - Sim, Qual: Serão apresentadas em formulário específico. , Positivo: Embora todas sejam destinadas ao tratamento da HPN, elas apresentam mecanismos de ação distintos, perfis de utilização diferentes e potencial para atender grupos específicos de pacientes ao longo da jornada da doença. Dessa forma, a análise não deve ser conduzida sob a lógica de substituição entre tecnologias, mas sim sob a perspectiva da complementaridade terapêutica e da necessidade de individualização do cuidado. A Abrale reconhece que o processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde deve considerar critérios de eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário. Entretanto, entende que esses critérios devem ser interpretados à luz da necessidade clínica existente e do impacto da doença na vida dos pacientes. Nesse sentido, pedimos encarecidamente que a análise da CONITEC reflita os riscos a que estão expostas as pessoas com HPN quando não dispõem de uma linha de cuidado capaz de atender às diferentes necessidades clínicas que surgem ao longo da evolução da doença, garantindo opções terapêuticas compatíveis com cada fase e perfil de tratamento., , , Negativo: '-	4ª - "Em 2024, a Abrale publicou o estudo ""Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico"" , desenvolvido a partir da análise de dados do Sistema Único de Saúde e da realização de grupo focal com pacientes de diferentes regiões do país. Os resultados demonstram que a HPN permanece associada a elevado consumo de recursos assistenciais e importantes impactos sociais., Entre 2018 e 2023 foram registrados 14.659 procedimentos ambulatoriais para aproximadamente 464 pacientes estimados, correspondendo a uma média de 32 procedimentos por paciente. No mesmo período ocorreram 444 internações para cerca de 256 pacientes, com média de duas hospitalizações por pessoa. O tempo médio de permanência hospitalar foi de aproximadamente uma semana, sendo que 5% dos pacientes necessitaram de internação em Unidade de Terapia Intensiva (UTI) e 18 pacientes evoluíram para óbito durante a internação, demonstrando que a doença continua associada a importante morbimortalidade., O estudo também evidenciou que aproximadamente metade dos pacientes precisou se deslocar para outro município para realizar seu tratamento. São Paulo concentrou o maior número de procedimentos e internações, seguido por Paraná e Rio Grande do Sul, revelando desigualdades na distribuição da assistência especializada. O perfil	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:
				sociodemográfico demonstra que a maioria dos pacientes é composta por mulheres (53%) e por adultos entre 30 e 39 anos, justamente a fase de maior produtividade profissional. Assim, além dos impactos clínicos, a HPN compromete diretamente a capacidade laboral, a renda familiar, a participação social e a saúde mental. ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE LINFOMA E LEUCEMIA (ABRALE). Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico. São Paulo: 2024. "	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hj só tem o eculizumabe , e precisa incorporar remédio para cada tipo de paciente , condições diferentes , dando tbm ao paciente intervalo maior de idas ao hospital , mais dignidade mais tempo a mãe com filhos e esposo	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Tratamento e melhora do paciente, menos anemia mais disposição , Negativo: Paciente tem que está mais tempo para tomar medicação, TFD com viagens de 17 horas , risco de trombose devido tempo viajando	4ª - Paciente se sente muito bem quando toma a medicação, mas pelo fato de viajar 17 horas fica com muito risco de trombozes , acidentes , 3 dias para tomar a medicação	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com Eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., Neste ano, ela começou o tratamento com Ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso., O processo de importação pelo SUS facilita a aquisição da medicação pelo paciente em várias dimensões, tais como: maior rapidez na obtenção, possibilidade de redução nos custos, entre outros, muitas vezes, inclusive, permitindo o acesso ao medicamento, que sem a mediação do SUS, muitos não teriam nem como ter acesso à medicação, , Isso pode trazer qualidade de vida em situações, muitas vezes, desesperadoras e desesperanças.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe - Minha amiga toma a cada oito semanas, e se sente super bem., Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também, pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao SUS , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Favorável. A incorporação dos inibidores proximais (pegcetacopana, iptacopana) e de ação prolongada (ravulizumabe, crovalimabe) no SUS atende a critérios de superioridade clínica e sustentabilidade. Moléculas proximais bloqueiam as hemólises intra e extravascular, eliminando a anemia residual e a refratariedade transfusional associadas ao eculizumabe. Os novos inibidores de C5 otimizam a farmacocinética, conferindo maior estabilidade no controle trombótico e menor ônus infusional. A maior previsibilidade posológica do ravulizumabe e a via oral do iptacopana geram economia direta ao reduzir gastos hospitalares com infusões frequentes, transporte de pacientes e manejo de reações adversas. Ao mitigar crises hemolíticas e internações por eventos trombóticos de alto custo, a incorporação reduz os gastos globais com a assistência ao paciente crônico com HPN.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, pegcetacopana e iptacopana, Positivo e facilidades: O bloqueio mais abrangente e específico da cascata do complemento, em especial a mitigação da hemólise extravascular proporcionada pelas moléculas de ação proximal, traduz-se em incrementos consistentes nos níveis de hemoglobina, reduzindo a refratariedade e a dependência transfusional frequentemente observadas com a terapia padrão. Secundariamente, a alta estabilidade farmacocinética, garantida pelos inibidores de meia-vida estendida, reduz drasticamente o risco de hemólise de escape e de eventos tromboembólicos agudos. Sob a ótica do manejo crônico, a expressiva otimização posológica das novas terapias, seja pela inovação e comodidade da via oral ou pelo maior espaçamento entre as infusões intravenosas, resulta em melhor adesão terapêutica. Esse fator desonera o paciente, promovendo menor exposição ao ambiente hospitalar, redução de complicações relacionadas a acessos venosos repetidos e diminuição significativa do absenteísmo laborativo e social., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe promoveu uma mudança importante na vida dos paciente com HPN, reduzindo drasticamente a letalidade da doença. Dados de mundo real demonstram que a sobrevida global dos pacientes responsivos equiparou-se à da população saudável de mesma faixa etária., Negativo: Apesar de seu impacto histórico, o eculizumabe impõe limitações no manejo da doença. Fisiopatologicamente, o bloqueio exclusivo da via terminal (C5) frequentemente desencadeia a emergência de hemólise extravascular compensatória mediada por C3b, o que perpetua a anemia residual crônica e a dependência transfusional. Somado a isso, sua meia-vida restrita predispõe os pacientes ao risco de hemólise de escape e exige infusões intravenosas a cada 14 dias. , A atual ausência de alternativas terapêuticas no Sistema Único de Saúde para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna, além do eculizumabe, cria uma falha assistencial para pacientes com resposta subótima. Quando o indivíduo desenvolve hemólise extravascular, anemia crônica grave ou refratariedade clínica ao tratamento padrão, os médicos não dispõem de nenhuma outra linha de resgate farmacológico financiada pelo Estado capaz de modificar o curso da doença. Esse cenário de monopólio terapêutico condena uma parcela significativa dos pacientes à permanente dependência de hemotransfusões, a internações recorrentes por crises hemolíticas e a um elevado grau de morbidade incapacitante. Portanto, a inexistência de opções para contornar as falhas biológicas do medicamento atual evidencia que a incorporação de inibidores de nova geração e de ação proximal não representa um mero luxo tecnológico, mas uma urgência clínica para garantir a integralidade do cuidado e a preservação da vida no sistema público.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acho um direito primordial e talvez o mais importante é que todos tenham acesso aos métodos modernos de tratamento	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Estou no início do tratamento mas os exames já foram com taxas bem melhores, Negativo e dificuldades: Nenhuma	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 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Existem necessidades não-atendidas entre pacientes com HPN, mesmo em uso regular da primeira linha de tratamento. Isso porque cerca de 40% dessa população pode ainda manter dependência transfusional e outros sintomas que limitam a qualidade de vida, repercutindo nas atividades profissionais, acadêmicas e sociais., A combinação de drogas potencializa a eficácia dos esquemas terapêuticos por atuar em mecanismos de ação distintos, com boa tolerância e menos hemólise de escape.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: O eculizumabe foi a primeira terapia específica que permitiu uma melhora da sobrevida dos pacientes acometidos., Negativo: Uma parcela dos pacientes apresentava perda de resposta, hemólise de escape e retorno da necessidade transfusional, com piora da qualidade de vida e fadiga crônica para desempenho das atividades de vida diária.	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 06/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com Eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., Neste ano, ela começou o tratamento com Ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas, e se sente muito bem. , Positivo e facilidades: Melhora considerável de saúde e também, pelo Ravulizumabe ser a cada 8 semanas, melhorou a rotina dela procurar o centro de infusão e fazer exames a cada 8 semanas. , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa última vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao SUS , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Convivo com uma pessoa que tem HPN e vejo de perto como essa, doença afeta a vida dela. Mesmo com tratamento, o cansaço, a fraqueza, e as dificuldades continuam fazendo parte da rotina, além das, constantes idas aos centros de tratamento, que são desgastantes. Por, isso, acredito que o SUS precisa oferecer diferentes opções de, tratamento. O crovalimabe é uma alternativa importante por permitir a, aplicação em casa, mas isso não diminui a importância do ravulizumabe,, que também traz excelentes resultados. Também é fundamental que, pacientes que não respondem totalmente aos tratamentos atuais tenham, acesso a outras opções, como a iptacopana e a pegcetacopana. Cada, pessoa com HPN responde de um jeito, e ter mais alternativas significa, dar ao médico a possibilidade de escolher o tratamento mais adequado, para cada paciente, melhorando a qualidade de vida e reduzindo, internações, transfusões e o desgaste dos deslocamentos. Também, quero registrar minha indignação com a decisão de a Conitec voltar a, reavaliar o ravulizumabe e submetê-lo novamente à consulta pública., Esse medicamento já deveria estar disponível no SUS. É um grande, retrocesso e passa a impressão de que não estão considerando a, realidade e a urgência vividas pelos pacientes que dependem desse, tratamento.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Convivo de perto com essa realidade e vi a diferença que o, ravulizumabe fez na vida dela. As infusões passaram a ser feitas a cada, 8 semanas, o que trouxe mais autonomia, organização da rotina e, qualidade de vida. Antes, quando fazia o tratamento disponível no SUS,, as idas frequentes para infusão eram muito mais desgastantes. Desde, que começou a usar o ravulizumabe, ela se adaptou muito bem ao, tratamento, manteve a doença controlada e ainda teve menos desgaste, com os acessos nas veias, já que as infusões são menos frequentes., Também penso em todos os pacientes que precisam viajar horas ou até, dias para receber o tratamento. Com o ravulizumabe, essas viagens, diminuem, reduzindo o cansaço, os gastos com transporte, alimentação, e hospedagem, além de permitir que as pessoas tenham mais tempo, para trabalhar, descansar e ficar com a família. Na prática, o, ravulizumabe não é apenas um medicamento. Ele representa mais, qualidade de vida, mais independência, mais dignidade e a possibilidade, de viver com muito mais tranquilidade., Negativo e dificuldades: O Ravulizumabe não atua em toda a cadeia, e por esse motivo, NÃO, atende a todos os pacientes como HPN, pois tem pacientes que a, hemolise ocorre em outras cadeias, necessitando de outro complemento, ou até outros medicamentos que estão aqui em estudo.	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe / Solires, Positivo: O eculizumabe foi o primeiro medicamento para esta doença, e teve seu, papel importante de salvar vidas., Negativo: O medicamento tem duração de apenas duas semanas, tornando, necessárias infusões a cada 14 dias. Essa frequência impacta, diretamente a rotina dos pacientes, com faltas ao trabalho,, deslocamentos constantes ao hospital, custos financeiros e menos, tempo para a convivência com a família. Além disso, ele não atua em, toda a cascata da doença e, para muitos pacientes, deixa de ser, suficiente ao longo do tempo, sendo necessária a utilização de outras, opções de tratamento.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Nova terapêutica para os pacientes que necessitam de novas linhas de tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Medicação robusta com bons estudos clínicos.	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito que o tratamento deva ser incorporado ao SUS, pois, estes novos medicamentos oferecem alternativas mais eficazes para o controle da destruição das hemácias em pacientes com HPN. Além de possibilitarem maior independência de transfusões e melhora na qualidade de vida, as novas vias de administração (subcutânea e oral) reduzem a carga assistencial e os custos operacionais em comparação às infusões intravenosas tradicionais. A incorporação garante o acesso equitativo a tratamentos modernos que atendem inclusive pacientes que não respondem adequadamente às terapias atualmente disponíveis no sistema público.	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, , As quatro terapias avaliadas - ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana - representam avanços significativos no tratamento da HPN, com benefícios clínicos robustos demonstrados em estudos de fase: Eficácia superior ou equivalente aos tratamentos existentes, perfis de segurança favoráveis e bem estabelecidos, maior conveniência (menor frequência de administração, via subcutânea ou oral), controle superior da anemia (especialmente pegcetacoplane e iptacopana), redução significativa de transfusões e complicações, melhora substancial da qualidade de vida e capacidade funcional. , , A incorporação destas terapias no SUS é justificada por ser uma necessidade médica não atendida: Pacientes com HPN no SUS têm acesso limitado a terapias modernas, existem evidências científicas robustas: Estudos de fase 3 multicêntricos demonstram benefícios consistentes, há custo-efetividade: redução de hospitalizações, transfusões e complicações compensa custos medicamentosos, garante equidade: garantir acesso a tratamentos que transformam prognóstico de doença rara., , 1.Long?term safety and efficacy of ravulizumab in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: 2?year results from two pivotal phase 3 studies., European Journal of Haematology. 2022. Kulasekararaj AG, Griffin M, Langemeijer S, et al., 2. Safety of Crovalimab Versus Eculizumab in Patients With Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria (PNH): Pooled Results From the Phase 3 COMMODORE Studies., European Journal of Haematology. 2025. Röth A, Fu R, He G, et al., 3.Pharmacokinetic Characterization and Exposure-Response Relationship of Crovalimab in the COMMODORE 1, 2 and 3 and COMPOSER Trials of Patients With Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria., British Journal of Clinical Pharmacology. 2025. Cosson V, Fu R, Kulasekararaj A, et al.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe , Positivo: Controle da doença - cessar hemólise, melhora da pancitopenia, não ocorrer mais eventos trombóticos , Negativo: A frequência na infusão é a cada 14 dias, que deve ser regrada e limita a vida do paciente, toma tempo de infusão e ida a um município referência para infundir. Geralmente os pacientes afetados são pessoas jovens, economicamente ativas e que necessitam cessar suas atividades laborais ou outras para deslocamento e tratamento. Também ocorre por vezes desabastecimento da medicação e os pacientes acabam ficando sem infundir o eculizumabe, ocorrendo escapes de hemólise, o que já vi ocorrer diversas vezes e em uma ocasião levou a hemólise grave e risco de vida.	4ª - Ravulizumabe demonstrou não-inferioridade ao eculizumabe com redução de 75% na frequência de administração (de quinzenal para bimensal), mantendo controle completo da hemólise por até 2 anos., Esta redução de visitas hospitalares representa economia substancial em infraestrutura, transporte e absenteísmo., Crovalimabe oferece vantagem única de administração subcutânea domiciliar após dose inicial, além de eficácia em pacientes com polimorfismo C5 que não respondem a outros inibidores., Os estudos COMMODORE demonstraram 79-85% de controle da hemólise e 66% de independência transfusional., Pegcetacoplane, como primeiro inibidor de C3, controla tanto hemólise intravascular quanto extravascular, demonstrando superioridade ao eculizumabe em pacientes com resposta subótima., Nos estudos, 63-72% dos pacientes alcançaram normalização da hemoglobina, com melhora significativa da fadiga e qualidade de vida., Iptacopana, primeira terapia oral, mostrou eficácia superior com 85% dos pacientes alcançando aumento de hemoglobina ?2 g/dL (vs 0% com anti-C5) e 95% de independência transfusional., A via oral elimina completamente custos de administração hospitalar., A incorporação destas terapias no SUS é justificada pela transformação do prognóstico da HPN, redução de complicações graves (trombose,	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:
				insuficiência renal), diminuição drástica de transfusões, melhora da qualidade de vida a níveis da população saudável, e potencial retorno à produtividade laboral. O investimento inicial é compensado pela redução de hospitalizações, transfusões e tratamento de complicações, além do impacto social positivo em pacientes predominantemente jovens., , 1.Ravulizumab for the Treatment of Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria., Expert Opinion on Biological Therapy. 2020. Lee JW, Kulasekararaj AG., 2.Pharmacological Therapies in Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria: Focus on Complement Inhibition.Drugs. 2025. Kelly RJ, Holt M, Szer J.Recent,	
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Concordo que deve ser incorporado para o paciente ter mais opções de tratamento fornecidos pelo SUS para sobreviver., O SUS precisa oferecer o que há de mais moderno e seguro para que os pacientes tenham a chance de viver com dignidade	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação dos medicamentos para a HPN no SUS é urgente porque salva vidas ao evitar complicações graves. Além disso, o tratamento devolve a autonomia aos pacientes, que deixam de depender de transfusões de sangue frequentes e podem voltar a viver com qualidade.	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:
Pessoa com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Sou favorável à incorporação do ravulizumabe ao SUS, pois participei do estudo clínico e tive uma experiência muito positiva com o tratamento. O medicamento trouxe mais estabilidade para a minha condição, sem efeitos colaterais significativos. Além disso, a administração a cada dois meses representa um grande benefício, pois reduz a necessidade de deslocamentos frequentes ao hospital, facilita minha rotina, melhora minha qualidade de vida e permite que eu mantenha minhas atividades pessoais com mais tranquilidade. Acredito que outros pacientes também deveriam ter acesso a esse tratamento.	2ª - Sim, Qual: Já fiz Eculizumabe e agora faço Ravulizumabe , Positivo e facilidades: Os principais aspectos positivos que percebi foram a eficácia do tratamento e a praticidade da administração a cada dois meses. Esse intervalo maior entre as infusões diminuiu o impacto do tratamento na minha rotina, reduziu o tempo dedicado aos deslocamentos e às internações para infusão, proporcionando mais autonomia e qualidade de vida. Durante todo o período em que utilizei o ravulizumabe, não apresentei efeitos colaterais relevantes e me senti seguro com o tratamento. Para mim, essa tecnologia representa um avanço importante no cuidado de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna., Negativo e dificuldades: Na minha experiência, não percebi aspectos negativos relevantes com o uso do ravulizumabe. O tratamento foi bem tolerado, não apresentei efeitos colaterais significativos e o intervalo de dois meses entre as infusões facilitou muito minha rotina. O único desafio é que ainda não está amplamente disponível para todos os pacientes, o que limita o acesso a um tratamento que pode proporcionar mais qualidade de vida.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Relato:, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Qual tecnologia você tem experiência?, Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , , Positivo e facilidades: Quais aspectos positivos?, Ela melhorou de saúde e também porque o Ravulizumabe por ser a cada 8 semanas, ajudou a melhorar a rotina dela em ter que procurar o centro de infusão para tomar a medicação , Negativo e dificuldades: Qual tecnologia você tem experiência?, Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , , Quais aspectos positivos?, , , Quais aspectos negativos?, O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Facilita o acesso do paciente ao atendimento	2ª - Sim, Qual: O uso da tecnologia na educação, que facilita conhecer e intervir, Positivo e facilidades: Facilitação da correção de atividades , Negativo e dificuldades: Acesso a Internet, aos dados e modificá-los	3ª - Sim, Qual: Em setores privados é prático a marcação de exames e consultas, Positivo: Facilidade nos acessos aos resultados, Negativo: Dificuldade com a internet	4ª - Não	5ª - Fica inviável o custeio das medicações, tendo muitos outros gastos atrelados a essa condição de saúde, e o Estado não arcar com essas despesas é sentenciar o paciente a morte

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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Pessoas tem essa necessidade e precisam desse suporte	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Relato:, Conviver com a hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , Positivo e facilidades: Ela melhorou de saúde e também porque o Ravulizumabe por ser a cada 8 semanas, ajudou a melhorar a rotina dela em ter que procurar o centro de infusão para tomar a medicação e fazer exames. , Negativo e dificuldades: O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Relato:, Conviver com a hemoglobínúria paroxística noturna (HPN) mudou completamente a vida da minha amiga. Ela é médica obstetra e, antes do diagnóstico, passou meses sofrendo com sintomas muito fortes, sem saber o que estava acontecendo. Nós vimos de perto o quanto ela piorou: teve uma hemólise grave, com hemoglobina muito baixa, exames alterados e um cansaço que não parecia ter fim. Chegou a ser internada, e foi um alívio quando um médico suspeitou de HPN e pediu o exame que confirmou o diagnóstico., Ela começou o tratamento com eculizumabe pelo SUS, e sabemos que esse medicamento foi essencial para salvar a vida dela. Mas a rotina era extremamente difícil. A cada 15 dias, precisava ir até o HEMOPE para receber a medicação, além de fazer exames e consultas frequentes. Para alguém que sempre teve uma rotina intensa na medicina, isso foi muito pesado., Neste ano, ela começou o tratamento com ravulizumabe pela saúde suplementar, e nós vimos uma mudança muito clara. A qualidade de vida dela melhorou muito. Além de se sentir melhor fisicamente, o fato de precisar receber a medicação apenas a cada oito semanas fez uma enorme diferença na rotina. Hoje ela consegue se organizar melhor e trabalhar com mais tranquilidade. , , A HPN é uma doença rara e diferente em cada pessoa. Por isso, é essencial que existam várias opções de tratamento, para que cada paciente possa receber o que realmente funciona para o seu caso.	2ª - Sim, Qual: Qual tecnologia você tem experiência?, , Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , , Quais aspectos positivos?, , Ela melhorou de saúde e também porque o Ravulizumabe por ser a cada 8 semanas, ajudou a melhorar a rotina dela em ter que procurar o centro de infusão para tomar a medicação e fazer exames. , , Quais aspectos negativos?, , O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também., Positivo e facilidades: Qual tecnologia você tem experiência?, , Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , , Quais aspectos positivos?, , Ela melhorou de saúde e também porque o Ravulizumabe por ser a cada 8 semanas, ajudou a melhorar a rotina dela em ter que procurar o centro de infusão para tomar a medicação e fazer exames. , , Quais aspectos negativos?, , O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também., Negativo e dificuldades: Qual tecnologia você tem experiência?, , Ravulizumabe- ela toma a cada oito semanas. Ela se sente super bem. , , Quais aspectos positivos?, , Ela melhorou de saúde e também porque o Ravulizumabe por ser a cada 8 semanas, ajudou a melhorar a rotina dela em ter que procurar o centro de infusão para tomar a medicação e fazer exames. , , Quais aspectos negativos?, , O processo de importação foi demorado nessa ultima vez e atrasou a medicação. Caso seja incorporado ao Sus , a medicação ficará com mais facilidade para fazer o processo de importação e o custo pode reduzir também.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Tudo que venha somar é extremamente possitivo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Os medicamentos são opções de tratamento, principalmente para pessoas que não tiveram a resposta completa com o Eculizumabe. Além disso, o Ravulizumbe já havia sido incorporado ao sus e agora voltou para a fase de pesquisa.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eu hj uso Eculizumabe , Positivo: Melhoras no exames e diminuição do risco de trombose , Negativo: No meu caso, tive melhora com o tratamento, mas minha resposta não foi completa, tenho a Hemólise clássica e a intravascular, frequentemente tenho crises que causam urina escura, cansaço e muitos outros sintomas. Além da necessidade de ir a cada 15 dias o ao hospital para realizar a infusão.	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, EXISTEM POUCAS OPÇÕES TERAPÊUTICAS PARA HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOTURNA E NOVAS OPÇÕES SÃO IMPORTANTES PARA CADA TIPO DE RESPOSTA. NOVAS MEDICAÇÕES LEVAM A MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA, A DIMINUIÇÃO DO NÚMERO DE APLICAÇÕES, A MELHORIA CLÍNICA E LABORATORIAL MAIS EFICAZ. MUITAS VEZES DE ACORDO COM CADA CASO, E RESPOSTA TERAPÊUTICA TERÍAMOS UM GRANDE AVANÇO NO TRATAMENTO DA HPN	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: GRANDE AVANÇO TERAPÊUTICO PROPORCIONANDO MELHORA DA QUALIDADE DE VIDA A LONGO PRAZO, DIMINUIÇÃO DAS TRANSFUSÕES E MELHORIA DOS EXAMES E QUADRO CLÍNICO., Negativo: '- PERSISTÊNCIA DA HEMÓLISE EM MUITOS CASOS, AINDA NECESSIDADE TRANSFUSIONAL EMBORA MAIS ESPORÁDICA, APLICAÇÃO A CADA 15 DIAS ENTRE OUTRAS.	4ª - RAVALIZUMABE DIMINUI O NÚMERO DE INFUSÕES PARA 1 VEZ AO MÊS, SENDO DROGA NOVA PODE TER MELHORA EM CERTOS CASOS. PEGCETACOPLAN EM ESTUDOS, TEM EVOLUÍDO COM GRANDE MELHORA DO NÍVEL DE HEMOGLOBINA E COM A DIMINUIÇÃO IMPORTANTE DA HEMÓLISE.	5ª - Não
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Deve ser incorporada no SUS para que os pacientes tenham outras opções de tratamento.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Minha esposa faz o uso do eculizumabe., Positivo: Melhorou as consequências relacionadas a doença, não teve mais trombose e melhoraram os exames laboratoriais relacionados a doença , , Negativo: Logística, pois tem que se deslocar ao hospital para tomar a medicação a cada 15 dias.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Há evidência científica robusta confirmando a eficácia dos medicamentos, com efeitos adversos manejáveis	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Melhora clínica significativa, Independência Transfusional, Melhora da qualidade de vida, , Negativo: Necessidade de manter as aplicações EV do medicamento a cada 15 dias	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:
Gestores do SUS 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Considerando o conjunto de evidências clínicas, segurança, operacionalização e sustentabilidade, o Núcleo de Medula Óssea/MGT/FHEMIG opina pela incorporação de ravulizumabe como tratamento de eleição para a primeira linha em HPN, reservando o eculizumabe/biossimilar para situações em que o ravulizumabe não esteja formalmente indicado em bula ou em circunstâncias clínicas individualizadas. Essa posição reconhece que eculizumabe e ravulizumabe têm eficácia e segurança semelhantes, mas atribui peso técnico à redução expressiva de infusões, ao menor impacto sobre trabalho e deslocamento, à potencial maior aderência e à experiência clínica mais madura com ravulizumabe em comparação às alternativas mais recentes de bloqueio de C5. Recomenda-se, contudo, que a incorporação seja acompanhada de negociação de preço compatível com a sustentabilidade do SUS. Para pacientes com resposta inadequada ao bloqueio de C5, este Núcleo reconhece que tanto pegcetacopana quanto cloridrato de iptacopana são, em geral, terapias seguras, cientificamente relevantes e potencialmente transformadoras. O cenário ideal seria dispor de ambas em segunda linha, pois cada paciente é único, a adesão pode variar conforme via farmacêutica, rotina familiar e capacidade de autocuidado, e pacientes graves, especialmente em terapia intensiva ou sem via oral segura, podem se beneficiar de uma opção injetável. Entretanto, ao buscar uma solução pública mais factível para um país de grandes contrastes – econômicos, educacionais, culturais e territoriais, com dificuldades de acesso a serviços de saúde – e, ao mesmo tempo, sustentável e que se faça plenamente presente na realidade cotidiana dos brasileiros portadores de HPN, o Núcleo opina pela incorporação do cloridrato de iptacopana como opção preferencial de segunda linha para pacientes adultos com HPN previamente tratados com inibidor de C5 e anemia residual/resposta inadequada.	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Aspectos positivos: redução drástica em mortalidade por eventos trombóticos e controle de hemólise intravascular, com mudança da história natural da HPN hemolítica. , Negativo e dificuldades: Persistência de hemólise extravascular, necessidade que os pacientes compareçam com mais frequência aos centros de referência, persistência de necessidade transfusional por parte dos pacientes devido à hemólise extra vascular e/ou hemólise de escape, morbidade por sintomas como fadiga, com grande impacto na vida diária devido ao não controle da hemólise extra vascular e anemia residual.	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Aplar as opções no SUS pode trazer mais segurança, independência e qualidade de vida para quem vive com HPN.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Pessoa com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Eu acho que deve ser incorporado no sus, pois são medicamento muito bom, facilita a vida de quem possui a doença HPN, pois algum medicamento o efeito não é não eficaz dependendo da pessoa portadora da doença., Eu fazia o uso do e ecolizumab , porém não fazia muito efeito, hoje com iptacopan uma droga muita boa, mudou minha vida e meus exames.	2ª - Sim, Qual: Iptacopana, Positivo e facilidades: Meu hemograma melhorou muito com o uso do iptacopana, os números foram excelentes., Com outras drogas não tinha um resultado bom como p iptacopana., Hoje voltei fazer atividade física. Melhorou muito a fadiga. , Fato de não precisar deslocar para fazer a infusão ou tomar medicamento em hospital, pois é um medicamento via oral. , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Não precisei mais fazer infusões de sangue , Negativo: Meu hemograma ainda continuava ruim, não subia plaquetas e nem hemoglobina	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, "Na análise apresentada a principal dúvida fica com relação a qual será o cenário com maior vantagem econômica. Análise mais que justa especialmente no cenário público, mas que não pode ser o impedimento para o acesso a estas alternativas terapêuticas. Conforme descrito no resumo executivo, ""prevaleceu a preocupação com a sustentabilidade econômica"". Considerando resultados de eficácia muito semelhantes do eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe, é de se esperar que seja possível estabelecer quais os limites para a decisão de escolha entre as drogas, quando na ausência de motivo médico claro. , , É possível criar modelos decisórios dinâmicos que permitam a maior economia nos diferentes cenários traçados por tão extensa análise feita pela equipe da CONITEC. Sabemos que entre a estatística e a prática clínica estão cidadãos que irão necessitar de opções terapêuticas para o melhor resultado."	2ª - Sim, Qual: Já acompanhei pacientes com uso de eculizumabe e pude presenciar a melhora clínica abissal que pode promover. Lembro que a HPN é patologia com taxa de morbimortalidade relevante., Positivo e facilidades: Controle dos eventos trombóticos. Clinicamente chama a atenção a melhora de eventos arteriais, especialmente em pacientes que mantiveram atividade trombótica na vigência de terapia anticoagulante. , A resolução da anemia e outras citopenias, queda do DHL, melhora dos demais sintomas sistêmicos com ênfase em fadiga e concentração. , Negativo e dificuldades: Com o passar do tempo, a necessidade de comparecimento frequente a um serviço de saúde passa a ser um fardo pesado. Exige disponibilizar um período para isso, em detrimento do seu trabalho e um gasto financeiro (transporte, alimentação). O tempo despendido neste processo é bastante variável a depender da distância casa-serviço de saúde, que pode ser inclusive em cidades diferentes, e burocracias adicionais neste local (exames, consulta e aplicação). , ,	3ª - Não	4ª - A evidência científica atual demonstra de forma consistente que essas terapias são eficazes no controle da hemólise, na redução da necessidade transfusional, na melhora dos níveis de hemoglobina, na redução dos marcadores laboratoriais de hemólise e na melhora da qualidade de vida dos pacientes. Os estudos pivotais demonstraram eficácia semelhante ou superior aos tratamentos atualmente disponíveis, com perfis de segurança aceitáveis e resultados consistentes em diferentes populações de pacientes. Além disso, esses medicamentos atendem necessidades clínicas distintas. , A disponibilidade de terapias com diferentes mecanismos de ação já é prática adotada internacionalmente. , Conforme já comentado, a principal limitação apontada nas avaliações parece estar relacionada ao impacto orçamentário e às análises de custo-efetividade, mais do que à demonstração de benefício clínico. Entretanto, em doenças raras e graves como a HPN, avaliações econômicas apresentam limitações metodológicas importantes, especialmente quando baseadas em pequenas populações e em horizontes temporais insuficientes para captar benefícios de longo prazo. A prevenção de trombozes, internações, transfusões repetidas, complicações relacionadas à doença e perda de produtividade pode reduzir custos diretos e indiretos que nem sempre são plenamente incorporados	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:
				aos modelos econômicos., Adicionalmente, a existência de diferentes opções terapêuticas favorece a competição entre tecnologias., Referências Bibliográficas, Kulasekararaj AG, et al. Ravulizumab versus eculizumab in complement inhibitor-naïve adults with PNH (Study 301). Blood. 2019., Lee JW, et al. Ravulizumab versus eculizumab in clinically stable patients with PNH (Study 302). Blood. 2019., Nishimura JI, et al. Crovalimab versus eculizumab in patients with PNH (COMMODORE 2). Lancet Haematology. 2024., Röth A, et al. Pegcetacoplan versus eculizumab in PNH (PEGASUS). New England Journal of Medicine. 2021.	
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HPN é uma doença rara e de alta mortalidade se não tratada com as drogas inibidoras do sistema de complemento, objeto dessa consultapública	2ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo e facilidades: Excelente controle da doença em paciente de altíssima morbidade, Negativo e dificuldades: a necessidade de aplicação quinzenal venosa por tempo indeterminado. A droga melhora grandemente os sintomas da doença mas cria limitação de qualidade de vida devido a frequência das aplicações.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, As medicações preenchem demandas de saúde não atendidas relacionadas à dificuldade de aderência a terapia endovenosa (Ravalizumab) devido restrição e perda de qualidade de vida pela frequência de aplicações, e também a demanda para redução de hemólise extravascular em pacientes que seguem hemolisando com consequência clínica mesmo em vigência de Eculisumab	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumab, Positivo: Realmente foi a primeira medicação que alterou desfechos em HPN, e inegavelmente fez e faz diferença na vida de muitos pacientes, Negativo: Sua posologia com aplicações quinzenais traz uma limitação de qualidade de vida dos pacientes (incluindo no que tange o mercado de trabalho), dificultando a aderência, além disso, por seu mecanismo de ação, acaba tendo escape de pacientes com um forte componente de hemólise extravascular	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O tratamento da hemogloblinúria paroxística noturna (HPN) tem como principais objetivos controlar a hemólise, prevenir eventos trombóticos, reduzir ou eliminar a necessidade transfusional, melhorar a qualidade de vida e preservar a sobrevida dos pacientes. A disponibilidade de diferentes mecanismos de ação e de esquemas terapêuticos amplia as possibilidades de individualização do tratamento, permitindo adaptar a estratégia terapêutica às características clínicas, laboratoriais e assistenciais de cada paciente. A ABHH entende que os inibidores do complemento terminal C5 devem ser considerados como a classe terapêutica de primeira linha para pacientes com HPN com indicação de bloqueio terminal do complemento, cabendo a seleção da tecnologia mais apropriada considerar, de forma integrada, a eficácia, a segurança, as características do esquema de administração, as necessidades clínicas e assistenciais dos pacientes, os aspectos logísticos relacionados à implementação no SUS e as análises econômicas conduzidas pela CONITEC., , LER NA ÍNTEGRA O PARECER ANEXO	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Curovalimabe, Pegcetacoplane e Iptacopane para o tratamento da Hemogloblinúria Paroxística Noturna (HPN), Positivo e facilidades: A ABHH considera que os inibidores do complemento terminal C5 — eculizumabe, ravulizumabe e curovalimabe — constituem a classe terapêutica de primeira linha para pacientes com hemogloblinúria paroxística noturna (HPN) com indicação de bloqueio do complemento terminal., As evidências atualmente disponíveis demonstram eficácia e segurança comparáveis entre esses agentes nos principais desfechos clínicos avaliados, incluindo o controle da hemólise intravascular, a redução da necessidade transfusional, a prevenção de eventos trombóticos e a melhora da sobrevida. Embora comparações diretas entre todas as tecnologias sejam limitadas, não há demonstração consistente de superioridade clínica de um medicamento em relação aos demais que justifique estabelecer uma hierarquia terapêutica dentro dessa classe farmacológica., Entretanto, com maior tempo de acompanhamento, evidências recentes têm sugerido vantagens clínicas do ravulizumabe em comparação ao eculizumabe. Em análise de longo prazo envolvendo pacientes dos estudos 301, 302 e do Registro Internacional de HPN, com até seis anos de seguimento, observaram-se menores taxas de hemólise de escape, maior independência transfusional, melhor controle da hemólise intravascular, além de benefícios relacionados à menor frequência de administração e à manutenção da resposta terapêutica. Esses resultados reforçam o potencial benefício clínico do ravulizumabe em relação ao eculizumabe ao longo do tratamento, embora devam ser interpretados no contexto do conjunto das evidências atualmente disponíveis. [Kulasekararaj A et al. Ann Hematol. 2025, 104:81–94.] , Na visão da ABHH, os três medicamentos devem ser compreendidos como opções terapêuticas de uma mesma classe farmacológica, permitindo a individualização do tratamento conforme as características clínicas, assistenciais e logísticas de cada paciente., , LER NA ÍNTEGRA O PARECER ANEXO, Negativo e dificuldades: Não há	3ª - Não	4ª - Embora apresentem mecanismos de ação semelhantes e eficácia clínica comparável, eculizumabe, ravulizumabe e curovalimabe diferem significativamente quanto à via de administração e à frequência do tratamento., O eculizumabe requer infusões intravenosas a cada duas semanas durante todo o tratamento. O tratamento com eculizumabe impõe uma rotina de aproximadamente 26 infusões por ano. O ravulizumabe mantém a administração intravenosa, porém amplia o intervalo entre as infusões para 8 semanas, reduzindo a necessidade de intervenções para cerca de 6 infusões por ano, o que pode contribuir para reduzir importantes gargalos logísticos, diminuir o absenteísmo e ampliar a adesão ao tratamento. O curovalimabe, por sua vez, permite manutenção por via subcutânea, com possibilidade de autoadministração mensal, de baixo volume e curta duração, após a fase inicial de escalonamento, podendo contribuir para reduzir dificuldades logísticas relacionadas aos deslocamentos frequentes., Na avaliação da ABHH, essas diferenças representam atributos relevantes para a prática clínica e para a organização da assistência, que vão além de aspectos meramente operacionais e devem ser considerados no processo de seleção da tecnologia mais apropriada para cada paciente., , LER NA ÍNTEGRA O PARECER ANEXO,	5ª - A ABHH reconhece que as análises econômicas e de impacto orçamentário constituem componentes fundamentais do processo de incorporação de tecnologias em saúde e que esses aspectos se encontram atualmente em apreciação pela CONITEC. Entretanto, entende que a avaliação das diferentes tecnologias deve contemplar também características inerentes aos respectivos esquemas terapêuticos, incluindo seu esquema de administração, uma vez que esses atributos podem influenciar a implementação da terapia, a utilização dos serviços especializados e a jornada assistencial dos pacientes ao longo de um tratamento contínuo.À luz desses aspectos, a incorporação do ravulizumabe ao Sistema Único de Saúde (SUS), em março de 2024, reflete o reconhecimento da importância de alternativas terapêuticas com características assistenciais distintas para o manejo da HPN. Além de sua eficácia clínica, essa incorporação considerou atributos relacionados ao esquema de administração e à organização da assistência. Na avaliação conduzida pela CONITEC, o ravulizumabe foi considerado uma tecnologia altamente custo-efetiva para o sistema público de saúde brasileiro, com projeção

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:
					de economia superior a R\$ 528 milhões em cinco anos, decorrente da otimização do uso de doses e da redução de complicações e internações relacionadas à hemólise de escape. [Portaria SECTICS/MS nº 10/2024] .A ABHH reconhece que a eventual disponibilidade de um biossimilar do eculizumabe poderá influenciar as análises econômicas atualmente conduzidas pela CONITEC. , , LER NA ÍNTEGRA O PARECER ANEXO
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, HÁ A NECESSIDADE DE TECNOLOGIAS QUE PREVINAM AS HEMÓLISES DE ESCAPE E QUE APRESENTM POSOLOGIA MAIS CÔMODA PARA O PACIENTE.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE, Positivo: HÁ A NECESSIDADE DE TECNOLOGIAS QUE PREVINAM AS HEMÓLISES DE ESCAPE E QUE APRESENTM POSOLOGIA MAIS CÔMODA PARA O PACIENTE., Negativo: NENHUMA	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O ravulizumabe seria uma excelente opção de primeira linha, trazendo menor risco de hemólise de escape que possa ocorrer entre as infusões de eculizumabe. O iptacopan seria a melhor opção caso paciente apresentasse hemólise de escape por ser extravascular, já que os inibidores de C5 não evitam este tipo de hemólise. Paciente com HPN se beneficiariam com esta possibilidade terapêutica. Iniciar com inibidor de C5 com posologia mais segura para evitar hemólise intravascular e Inibidor de C3 caso a hem, olise extravascular esteja presente e significativa.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Controle da hemólise intravascular com recuperação hematológica e de qualidade de vida., Negativo: Alguns pacientes ainda com hemólise extravascular não controlada pelo eculizumabe.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O uso de novas terapias para a hemoglobinúria paroxística noturna é extremamente relevante. Ressalta-se, sobretudo, acerca de novas opções terapêuticas, bem como da comodidade posológica, tal qual acontece com a apresentação oral do Inibidor do fator B, iptacopan.	2ª - Sim, Qual: Iptacopan. Já acompanhei 2 pacientes em uso. Os pacientes apresentaram melhora extremamente significativa, saindo de uma necessidade transfusional quinzenal para nenhuma necessidade transfusional num período de acompanhamento de 6 meses. Assim como melhora da fadiga e de outros sintomas. , Positivo e facilidades: 1. Comodidade posológica, 2. Acesso universal, sobretudo para áreas longíquas, 3. Melhora geral dos sintomas, 4. Diminuição da necessidade transfusional, Negativo e dificuldades: 1. Alto custo, 2. Possibilidade de hemólise se esquecer do uso	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:
Pessoa que convive ou cuida de alguém com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Acredito fortemente que essas medicações devem ser incorporadas ao programa, pois existem pacientes de HPN que o Eculizumabe sozinho não funciona ou é muito fraco e com esta inclusão muitos pacientes poderão voltar para as suas vidas normalmente e conseguirão ter uma melhor qualidade de vida.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença rara com alta morbimortalidade. Apesar de a incorporação do Eculizumab ter trazido grande avanço no tratamento dessa entidade, ainda há grandes desafios no manejo desses pacientes. Por se tratar de um tratamento contínuo, a infusão quinzenal do Eculizumab reduz adesão (e portanto eficácia) além aumentar os custos do tratamento. Além disso, ainda existe uma parcela importante de pacientes que mantém hemólise de escape. Por isso, o uso dessas tecnologias pode melhorar a qualidade do cuidado e da vida dos pacientes.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumab, Positivo e facilidades: Melhor controle de hemólise, melhor adesão, pacientes mais felizes e menos sintomáticos , Negativo e dificuldades: Nenhum	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:
Pessoa com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, Iptacopana - A administração por via oral traz benefícios que vão além da praticidade. Reduz significativamente custos relacionados a internações, materiais e procedimentos hospitalares, já que elimina a necessidade de infusões. Ademais, o tratamento se torna mais ágil e acessível, evitando deslocamentos frequentes às unidades de saúde, Outro ponto importante é a eficácia: o Iptacopana oferece maior cobertura contra as hemólises intra e extravascular, sendo a segunda muito comum em vários pacientes e não cobertas pelos outros remédios (mas cobertos também pelo Crovalimabe e pegcetacopana). 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 Eculizumab)., 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, Ravulizumabe - Pelos estudos atuais, tem resultados superiores ao Eculizumabe (medicamento utilizado por mim atualmente), com redução da hemólise (redução da destruição de células sanguíneas e risco de trombose, principal problema da doença) e muitos pacientes tiveram melhora na hemoglobina, da disposição e desnecessidade de fazer transfusões de sangue, Ademais, o intervalo de infusões é a cada seis semanas (enquanto o atual Eculizumab é de 14 dias), o que melhora a qualidade de vida dos pacientes, a possibilidade de pode viajar, e diminui a quantidade de deslocamentos até a unidade de saúde	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: ECULIZUMABE (SOLIRIS), Positivo: Com seu poder de diminuir a hemólise, visível pela expressiva redução da DHL, pude sobreviver a uma doença mortal, a HPN, voltar a ter vida, saúde e me livrar de internações em UTI, transfusões de sangue e plaquetas, infecções e de dores que eram tratadas com altas doses de morfina. Pude voltar ao trabalho após um total de 3 anos de licença médica e quase aposentadoria por invalidez, e me tornar um servidor público federal mais produtivo (Delegado de Polícia Federal), embora a rotina de infusões atrapalhe o pleno desempenho de minhas atividades que demandam atividades externas, e viagens pelo Brasil (e também ao exterior)., Negativo: Com o Eculizumabe/Soliris, que uso a cada 14 dias, tive boa resposta, mas tive que diminuir o período entre infusões para a cada 10 dias e depois a cada 12 dias, pois continuei tendo hemólise, o que fez com que eu tivesse maior necessidade de comparecer à clínica devido ao pequeno intervalo das infusões (que aumentaria para a cada 2 meses com o novo medicamento Ravulizumabe), Com o atual remédio Soliris, que custa o equivalente ao novo Ravulizumabe, os custos do governo são maiores (muito mais frascos, gastos com transportadoras devido à maior quantidade de entregas, custo de armazenamento), assim como o custo do uso e ocupação de instalações médicas (leitos/poltronas e serviços) das clínicas e hospitais ser maior devido a quantidade de infusões (ao invés de ir 1 vez à clínica a cada 2 meses com o novo remédio, hoje o paciente precisa ir no mínimo 4 vezes, 2 por mês). E não cobre hemólise extravascular!, A quantidade mensal de infusões do Soliris também atrapalha bastante os pacientes que trabalham, como é meu caso, pois precisam fazer infusões durante o expediente (poucos serviços médicos funcionam no final de semana) e há muita dificuldade ou mesmo impossibilidade de viagens obrigatórias do trabalho, que também é o meu caso. Outros pacientes já enfrentaram demissões por não poderem responder às necessidades do trabalho (viagens ou disponibilidade durante toda a semana), ou mesmo entram com pedidos de auxílio doença ou aposentadoria (tudo isso seria menos frequente com as infusões a cada 2 meses), Ainda, a infusão do Soliris, endovenosa, a cada 14 dias prejudica as	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:
			veias dos pacientes, que ficam fracas, enquanto no Ravulizumabe a infusão possui intervalo maior, preservando as veias e a saúde do paciente (já estou com as veias enfraquecidas, pele manchada com hematomas, às vezes três tentativas de pegar o acesso venoso e sem sucesso, veias estouram ou não refluem sangue)., Com o Iptacopana a vantagem é ainda maior, pois o remédio via oral evita todos estes problemas		
Profissional de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara, porém com impacto significativo na vida dos pacientes, afetando a qualidade de vida. A sua fisiopatologia implica em anemia hemolítica com acentuado risco trombótico, infecções e danos orgânicos. A implementação do eculizumabe ao arsenal terapêutico da doença ocasionou um avanço importante no tratamento da doença, entretanto o mecanismo de hemólise de escape, ainda compromete o controle da doença. , O surgimento de novas terapêuticas (pegcetacoplan e iptacopan) que promovem um melhor controle da hemólise intra e extravascular ajudarão em redução da necessidade transfusional e melhora da sintomatologia.	2ª - Não	3ª - Sim, Qual: Eculizumabe, Positivo: Redução da necessidade transfusional, melhora da anemia e da sintomatologia associada. , Negativo: Alguns pacientes ainda apresentam hemólise de escape.	4ª - A hemoglobinúria paroxística noturna é uma doença rara, porém com impacto significativo na vida dos pacientes, afetando a qualidade de vida. A sua fisiopatologia implica em anemia hemolítica com acentuado risco trombótico, infecções e danos orgânicos. A implementação do eculizumabe ao arsenal terapêutico da doença ocasionou um avanço importante no tratamento da doença, entretanto o mecanismo de hemólise de escape, ainda compromete o controle da doença. , O surgimento de novas terapêuticas (pegcetacoplan e iptacopan) que promovem um melhor controle da hemólise intra e extravascular ajudarão em redução da necessidade transfusional e melhora da sintomatologia. , , Fonte: Pegcetacoplan versus Eculizumab in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. N Engl J Med 2021, 384:1028-1037	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, A incorporação de um novo inibidor de C5 em primeira linha, ou também chamado de 1a opção de tratamento para todos os pacientes de HPN, como o Ravulizumabe pode melhorar muito os resultados já apresentados pelo que esta disponível no SUS (Eculizumabe),. Além de ter uma eficácia esperada para o tratamento da HPN, o Ravulizumabe pode aumentar em muito a qualidade de vida dos pacientes, pois irá facilitar a administração do medicamento, já que o que temos, o Eculizumabe, é aplicado a cada 15 dias, enquanto que o Ravulizumabe é a cada 8 semanas. Tenho uma paciente cirurgiã que nunca conseguiria desempenhar sua profissão se o Ravulizumabe não estivesse disponível para utilização. As respostas foram imediatas , rápidas (menos de 1 mês do tratamento) e a melhoria da qualidade de vida dela foi estupenda. Não conseguia parar de pé, andar longas distancias, e ao fazer exercícios tinha hemólise após. Hoje , após 2 meses de tratamento, ela tem vida normal consegue operar até 12 horas seguidas e já faz exercícios físicos na academia sem ter hemólise, ou queda das suas forças durante o dia a dia de trabalho e vida pessoal. Se ela tivesse que utilizar a medicação a cada 15 dias como o Eculizumabe, ela nunca desempenharia sua funções de forma adequada como faz hoje com o Ravulizumabe a cada 8 semanas. A contribuição que ela exerce em seu ambulatório de cirurgia assim como suas cirurgias de longa duração só pode ser possível com o Ravulizumabe que além de eficaz, seguro e logisticamente muito mais fácil de aplicação. Já tive pacientes de outras cidades, de longas distancias que faltavam as aplicações do Eculizumabe , devido a necessidade de aplicação a cada 15 dias. Suas vidas foram totalmente limitadas por esta necessidade de posologia muito frequente. Além disso, a aplicação de Ravulizumabe libera mais cadeiras para outras pessoas com outras patologias, não limitando os serviços com a obrigatoriedade de ocupação a cada 15 dias com o Eculizumabe .,	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe e Eculizumabe. A diferença é brutal a favor do Ravulizumabe. , Em breve terei experiência com o Iptacopan, que é oral e vem na segunda linha para ajudar e muito aqueles que escapam ao tratamento com os Inibidores de C5, com a recorrência das hemólises em 30 % dos casos. Neste contexto, a persistência de fadiga de anemia sintomática naqueles que nao responderam aos Inibidores de C5, ou apresentaram falha de terapia após 3 meses com as medicações (inibidores de C5) , dependência transfusional e marcadores de hemólise extra-vascular, se beneficiam muito com a IPTACOPANA Vio Oral de 12 em 12 hrs na 2a linha. Além de mostrar menos eventos adversos que o Pegcetacoplan, a Iptacopan não utiliza bomba de infusão , que com certeza é um limitador no uso domiciliar e hospitalar para os pacientes que dispõe da opção oral., Positivo e facilidades: Ravulizumabe : muito eficaz e logisticamente o melhor disparado em relação a logística de administração. Deveria ser a opção para todos os paciente de 1a linha., , IPTACOPANA: muito eficaz em aumentar a hemoglobina e facilidade de aplicação por ser oral, deveria ser a escolha da segunda linha , após o Ravulizumabe sempre., , Eculizumabe, já foi uma excelente opção enquanto nao surgiam os medicamentos acima mais eficazes e logisticamente superiores , hoje deve ser restrito em caso onde nao existe as 2 tecnologias acima e para paciente que logisticamente podem a cada 15 dias se disporem a deslocarem-se aos centros de infusão., Negativo e dificuldades: Eculizumabe , menos eficaz que o Ravulizumabe e logisticamente muito ruim para a grande maioria dos pacientes que a cada 15 dias tem que aplicar sua medicação., , Pegcetacoplan, utiliza bomba de infusão , que com certeza é um limitador no uso domiciliar e hospitalar para os pacientes que dispõe hoje d euma opção de 2a linha oral.	3ª - Não	4ª - Os estudos Pivotal de todos os medicamentos são já conhecidos e estão dentro da bula de cada produto. , Tudo que acima eu citei foi retirado da minha experiência como hematologista que tratei estes pacientes e ao estudar os estudos pivotais , tenho plenas condições de discorrer sobre o que afirmo acima.	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 com a condição de saúde 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O único medicamento atualmente disponível no SUS para HPN é o eculizumabe, que nao tem efeito completo em muitos pacientes, persistindo muitos sintomas em vários casos., Além disso, este medicamento disponível tem uma posologia muito cruel com os pacientes, prejudicando a manutenção de empregos e exigindo grandes sacrifícios para deslocamento a cada 2 semanas are centros de infusão, especialmente no caso de pacientes do interior que algumas vezes precisam viajar muitas horas para receber o medicamento por bia venosa na unidade de referência localizada na capital. Isso sem falar nos efeitos colaterais e problemas de acesso venoso, em funcao da alta frequência de infusoes. Os novos medicamentoa, alem de serem oportunidades de resposta melhor aos sintomas, melhoram a qualidade de vida em geral pois a administração é menos penosa.	2ª - Sim, Qual: Ravulizumabe, Positivo e facilidades: Nao.temho efeitos colaterais, nao tenho sintomas de HPN ativos , faço infusão a cada 9 semanas, o que nao impacta de forma relevante na minha rotina de trabalho. Minhas veias suportam as infusoes perfeitamente ja que ocorrem a cada 8 semanas, com um bom intervalo e recuperação. Vivo muito bem.usando ravulizumabe., Negativo e dificuldades: Nenhum	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 07/07/2026	1ª - Eu acho que deve ser incorporada no SUS, O ravulizumabe consolidou-se como uma terapia de primeira linha para HPN por combinar diversos benefícios, por meio do bloqueio sustentado e completo da proteína C5, com eficácia equivalente ou superior à do eculizumabe, sobretudo menor incidência de hemólise por escape farmacocinética, menor necessidade de transfusões, comodidade posológica (redução de aproximadamente 75% no número anual de infusões), com consequente melhora da qualidade de vida dos pacientes. Além disso, demonstrou perfil de segurança consistente e experiência favorável em estudos de vida real.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - O ravulizumabe consolidou-se como uma terapia de primeira linha para HPN por combinar: , -bloqueio sustentado e completo da proteína C5, , -eficácia equivalente ou superior à do eculizumabe, , -menor incidência de hemólise por escape farmacocinética, , - menor necessidade de transfusões, , -redução de aproximadamente 75% no número anual de infusões, , - maior comodidade posológica e melhor qualidade de vida para os pacientes, , -perfil de segurança consistente e experiência favorável em estudos de vida real., Referências: , -Fattizzo B, Pedone GL, Metafuni E, et al., Characterization of Breakthrough Hemolysis in Patients With Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: An International Multicenter Experience. American Journal of Hematology. 2025, 100:1963-1971. doi:10.1002/ajh.70032., - Notaro R, Luzzatto L. Breakthrough Hemolysis in PNH with Proximal or Terminal Complement Inhibition. New England Journal of Medicine. 2022, 387:160-166., doi:10.1056/NEJMra2201664., - Kulasekararaj AG, Hill A, Rottinghaus ST, et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in C5 inhibitor-experienced adults with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (Study 302). Blood. 2019, 133:540-549., - Lee JW, Sicre de Fontbrune F, Wong Lee Lee L, et al. Ravulizumab (ALXN1210) vs eculizumab in complement inhibitor-naïve adults with PNH (Study 301). Blood.	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:
				2019, 133:530-539., - Brodsky RA, Peffault de Latour R, Rottinghaus ST, et al. Long-term efficacy and safety analyses dos estudos 301 e 302 (Blood, European Journal of Haematology e outros seguimentos de extensão)., - Röth A, et al. Dados de vida real comparando ravulizumabe e eculizumabe em utilização de recursos de saúde e necessidade transfusional. J Manag Care Spec Pharm. 2023., - Tomazos I, et al. Análise econômica e utilização de recursos em pacientes com HPN tratados com ravulizumabe versus eculizumabe. Hematology. 2025.	