



RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

informações sobre recomendações de incorporação
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

IPTACOPANA

para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna
previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL

2025 Ministério da Saúde.

É permitida a reprodução parcial ou total desta obra, desde que citada a fonte e que não seja para venda ou qualquer fim comercial.

A responsabilidade pelos direitos autorais de textos e imagens desta obra é do Ministério da Saúde.

Elaboração, distribuição e informações

MINISTÉRIO DA SAÚDE

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde – SECTICS

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS

Coordenação de Incorporação de Tecnologias – CITEC

Esplanada dos Ministérios, bloco G, Edifício Sede, 8º andar CEP: 70058-900 - Brasília/DF

Tel.: (61) 3315-2848

Site: gov.br/conitec/pt-br

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

Melina Sampaio de Ramos Barros

Dyana Helena de Souza

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

IPTACOPANA

para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 16/09/2025 para o iptacopana (FABHALTA®):

Tratamento de pacientes adultos com:

- Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN).
- Glomerulopatia por complemento 3 (C3G).

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e mantendo hemoglobina sérica inferior a 10 g/dL.

Recomendação inicial da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente a incorporação de iptacopana para o tratamento de pacientes portadores de HPN previamente tratados com inibidores de C5 e anemia residual persistente.

*De acordo com o §6º do art. 32 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, o pedido de incorporação de uma tecnologia em saúde deve ter indicação específica. Portanto, a Conitec não analisará todas as hipóteses previstas na bula em um mesmo processo.

O que é Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)?

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença causada por uma mutação genética adquirida que afeta o sistema complemento, parte do sistema de defesa do corpo. Essa alteração leva à destruição prematura de algumas células sanguíneas, as hemárias (glóbulos vermelhos). Ao serem destruídas, ocorre a eliminação de substâncias pelo organismo, como a hemoglobina - proteína rica em ferro presente nas hemárias e responsável pelo transporte de oxigênio no sangue. Assim, um dos sinais característicos da doença é a eliminação em excesso de hemoglobina pela urina (hemoglobinúria), deixando-a escura. A perda crônica de hemoglobina causa deficiência de ferro e anemia.



As manifestações da doença incluem cansaço, pele amarelada, dificuldade para engolir, dor abdominal, doença renal crônica e disfunção erétil. Os fenômenos tromboembólicos

(formação de coágulos que obstruem os vasos sanguíneos, como trombose e embolia) são uma complicação grave, acometendo cerca de 40% dos pacientes. Ademais, indivíduos com HPN têm risco aumentado de desenvolver doenças oncológicas da medula óssea. O risco é de 5% para síndrome mielodisplásica e de 2,5% para leucemia mieloide aguda, o que representa um risco 100 vezes maior do que o observado na população geral.

A HPN é classificada em três subtipos, conforme suas manifestações clínicas:

1. HPN clássica: o paciente manifesta o rompimento de hemácias (hemólise), sem outro distúrbio de falha na medula óssea.
2. HPN associada a outros distúrbios primários da medula óssea: comumente relacionada à falência da medula óssea e à produção insuficiente de células do sangue.
3. HPN subclínica: os pacientes não apresentam sinais clínicos ou laboratoriais de hemólise ou trombose.

Trata-se de doença ultrarrara, com aproximadamente um e dois casos novos a cada milhão de habitantes. No Brasil, entre 2008 e 2018, foram identificados 675 indivíduos com HPN. A idade média do diagnóstico foi de 44,2 anos, sendo ligeiramente mais comum em mulheres (52,4%).

Como os pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna são tratados no SUS?

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Hemoglobinúria Paroxística Noturna, publicado em 2019 pelo Ministério da Saúde, recomenda que o único tratamento curativo da doença é a realização de Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas Alogênico (TCTH-AL). Contudo, o documento também estabelece medidas medicamentosas e não medicamentosas para reduzir a destruição de hemácias, além de prevenir e tratar a formação de coágulos no sangue e outras complicações relacionadas.

O tratamento é instituído de acordo com as manifestações clínicas da doença e há várias alternativas terapêuticas, não curativas, mas que podem reduzir as suas complicações, como o uso de corticoides, androgênios, imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e realização de transfusão de sangue.

O PCDT recomenda, desde 2019, o uso do eculizumabe para o tratamento de HPN. Recentemente, em 2024, também foi incorporado ao SUS o ravulizumabe para o tratamento da doença. Ambos os medicamentos são administrados diretamente na veia e atuam para inibir a atuação da proteína C5 no sistema complemento, bloqueando o ataque às hemácias.

Medicamento analisado: iptacopana

A Novartis Biociências S.A. solicitou à Conitec a avaliação de incorporação, ao SUS, de iptacopana para o tratamento de pacientes adultos com Hemoglobina Paroxística Noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e mantendo hemoglobina sérica inferior a 10 g/dL. O iptacopana contribui para interromper o ataque às hemácias ao bloquear o início de ativação do sistema complemento, ligando-se à proteína denominada Fator B.

Segundo as evidências científicas, o uso de iptacopana resultou em maior proporção de pacientes livres de transfusões sanguíneas após 24 semanas, além de melhora da qualidade de vida e redução de casos de hemólises de escape (episódios repentinos de destruição das hemácias mesmo sob tratamento medicamentoso). O medicamento apresentou um perfil de segurança semelhante aos medicamentos da classe dos inibidores de C5 (eculizumabe e ravulizumabe), que são injetáveis. A administração por via oral foi considerada mais vantajosa para alguns pacientes, embora possa apresentar maior risco nos casos de má adesão. A qualidade das evidências variou entre moderada a baixa para os resultados apresentados, o que significa que ainda existem incertezas relacionadas às evidências.

A empresa demandante apresentou uma avaliação econômica que demonstrou que o iptacopana comparado com o eculizumabe teve mais benefícios clínicos e menor custo, com o ganho de 2,03 anos de vida com qualidade e economia de R\$ 935.905. Já em comparação com o ravulizumabe, o iptacopana apresentou o mesmo ganho de anos de vida com qualidade e maior custo (R\$ 15.627.006 versus R\$ 14.632.817). Ao reproduzir os cálculos, o grupo elaborador do relatório técnico da Conitec encontrou uma vantagem clínica menor do que a que foi apresentada pelo demandante: o iptacopana proporcionou um ganho de 0,78 anos de vida com qualidade em vez de 2,03. Apesar disso, a análise concluiu que, devido aos preços das tecnologias comparadoras, o medicamento ainda seria uma opção economicamente vantajosa, gerando uma economia de recursos ao SUS de R\$ 1.299.947 (comparado ao eculizumabe) e R\$ 2.492.678 (comparado ao ravulizumabe).

A análise de impacto orçamentário, caso a tecnologia seja incorporada ao SUS, projetou uma economia de recursos no acumulado de cinco anos que ficaria entre R\$ 110.790.364 (ao tratar 219 indivíduos) e R\$ 158.136.362 (ao tratar 312 indivíduos).

Perspectiva do paciente

A Chamada Pública nº 50/2025 esteve aberta durante o período de 28 de maio a 6 de junho 2025 e recebeu oito inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir

de sorteio realizado em plataforma digital, com transmissão em tempo real e com gravação enviada posteriormente a todos os inscritos.

A participante relatou ter recebido o diagnóstico de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) em agosto de 2015, aos 39 anos de idade. No entanto, o primeiro sinal da doença surgiu em 2013, com dois episódios de escurecimento da urina no ano. Em 2014, esses episódios ocorreram a cada três meses, sempre associados a outras questões de saúde, como gripes, dores de cabeça, infecções e dores abdominais. Diante disso, procurou atendimento especializado, que confirmou o diagnóstico. O tratamento inicial incluiu anticoagulante, ácido fólico, ferro e vitamina B12.

Em 2017, após duas internações por infecções e complicações gastrointestinais, informou ter recebido indicação de uso de eculizumabe, cujo acesso foi conseguido por via judicial. A participante iniciou a terapia em abril do mesmo ano, interrompendo-a apenas quando a entrega do medicamento não era efetuada. Em 2024, ficou seis meses sem receber o medicamento.

Conforme sua avaliação, o eculizumabe proporcionava boa resposta clínica na primeira semana de uso, mas já na segunda semana registrava uma queda no seu estado de saúde. Mesmo sob tratamento, continuou a apresentar episódios de hemólise, a anemia persistiu e a urina, embora mais clara, manteve uma coloração escura. Sentia fadiga intensa e dormência nos membros superiores e inferiores, o que a impedia de subir um lance de escadas e a levou a abandonar a corrida, uma atividade que praticava com regularidade. Conseguiu, contudo, manter os treinos de pilates e musculação. Na época, considerava um “bom dia” aquele em que conseguia trabalhar sem sentir névoa mental (conjunto de sintomas cognitivos, como confusão mental e dificuldade de concentração).

Pelo fato de o eculizumabe se tratar de uma terapia de administração infusional frequente realizada em ambiente hospitalar, a participante informou que passava quase metade do dia no hospital, o que teve impacto significativo na sua vida profissional e culminou no seu desligamento da empresa onde trabalhava.

Em outubro de 2024, durante uma das suas consultas de avaliação trimestral, recebeu orientação médica para mudar do eculizumabe para o iptacopana. Após iniciar o uso do iptacopana, notou melhorias consideráveis: a fadiga diminuiu e a urina ficou límpida e transparente. Na terceira semana de tratamento, observou um rendimento físico muito superior. Atualmente, retomou a corrida, pedala 30 km de bicicleta e sobe 14 andares de escadas sem interrupção para descanso. A dormência e a dificuldade de concentração desapareceram, o sono melhorou e passou a acordar com mais disposição.

A sua qualidade de vida aumentou e os impactos sociais da doença foram reduzidos. Os exames de sangue apresentaram bons resultados desde o início do novo tratamento. A representante destacou ainda as vantagens de o iptacopana ser um medicamento administrado por via oral.

O vídeo da 145^a Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial

A Conitec recomendou inicialmente a incorporação, ao SUS, de iptacopana para o tratamento de pacientes portadores de HPN previamente tratados com inibidores de C5 e anemia residual persistente. Esse tema foi discutido durante a 145^a Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 1º, 2 e 3 de outubro de 2025. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou que o balanço entre efeitos desejáveis e indesejáveis da tecnologia para a população proposta é positivo.

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 88, durante 20 dias, no período de 23/10/2025 a 11/11/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Clique [aqui](#) para enviar sua contribuição.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).