

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

CROVALIMABE

para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e
com peso de pelo menos 40 kg com Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN),
virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5

2026 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 em Saúde – SCTIE

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

Marina Kuebler Silva

Dyana Helena de Souza

Melina Sampaio de Ramos Barros

Nayra Thamires Alves Ramos

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

CROVALIMABE

para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40 kg com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 26/01/2026 para o crovalimabe (Piasky®):

Tratamento de pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) e peso corporal de pelo menos 40 kg.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento da HPN em pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40kg, virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5.

Recomendação inicial da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente, por maioria simples, a não incorporação do crovalimabe para o tratamento de pessoas com HPN.

*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 rara no sangue. A condição é causada por um defeito genético adquirido, que afeta parte do sistema de defesa do corpo (sistema complemento), provocando a ausência de proteínas protetoras na superfície de células sanguíneas conhecidas como hemácias. Esse processo pode ocasionar a destruição das hemácias (hemólise) e a eliminação em excesso de hemoglobina pela urina (hemoglobinúria), que dá uma coloração escura ao líquido. A HPN também pode gerar danos aos órgãos,

como rins e pulmões, e causar eventos de obstrução do fluxo sanguíneo a partir da coagulação do sangue, como trombose e embolia.

A hemoglobina é uma proteína rica em ferro presente no interior das hemácias e responsável pelo transporte de oxigênio no sangue. A perda crônica dessa proteína pode causar deficiência de ferro e anemia. Assim, as manifestações

HEMÓLISE



hemácia saudável



hemácia sem a proteína



rompimento da hemácia

As hemácias são destruídas de forma excessiva, o que pode causar anemia e aumentar o risco de complicações graves, como trombose e danos aos órgãos.

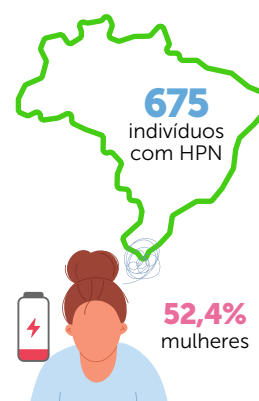
da doença incluem cansaço, pele amarelada, dificuldade para engolir, dor abdominal, doença renal crônica e disfunção erétil.

A HPN é classificada em três formas, são elas: a forma clássica, quando o indivíduo manifesta hemólise sem possuir outro distúrbio de falha na medula óssea; a HPN associada a outros distúrbios primários da medula óssea, como a anemia aplástica, síndromes mielodisplásicas ou leucemia mieloide aguda, comumente relacionada à falência da medula óssea e à produção insuficiente de células sanguíneas; e a forma subclínica, caracterizada pela ausência de sinais clínicos ou laboratoriais de hemólise ou trombose. Entretanto, por ser uma doença com características complexas e dinâmicas, a forma de HPN pode mudar ao longo do tempo.

Estima-se que ocorram 1,3 novos casos para cada um milhão de indivíduos por ano. A doença acomete homens e mulheres aproximadamente na mesma proporção e pode ser identificada em qualquer idade, mas a maioria das pessoas com diagnóstico possui entre 40 e 60 anos. No Brasil, um estudo realizado entre 2008 e 2018, identificou 675 indivíduos com HPN, dos quais 52,4% eram mulheres. O estudo também estimou que uma a cada 237 mil pessoas possui a doença no país, sendo a forma clássica a mais comum entre os brasileiros.

Para o diagnóstico de HPN, considera-se a suspeita clínica a partir dos sintomas e recomenda-se a realização do teste direto de antiglobulina (teste de Coombs direto), seguido da citometria de fluxo para avaliar a redução do lipídio glicosilfosfatidilinositol (GPI) na superfície das células sanguíneas.

Entre 2008 e 2018



Como os pacientes com HPN são tratados no SUS?

O [Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas \(PCDT\) da Hemoglobinúria Paroxística Noturna](#), publicado em 2019 pelo Ministério da Saúde, indica, como único tratamento curativo, 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 à doença.

O tratamento não curativo envolve o manejo de sintomas e recomenda o uso de eculizumabe, corticoides, androgênios, imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e realização de transfusões sanguíneas.

Posteriormente à elaboração do PCDT, em 2024, foi incorporado ao Sistema Único de Saúde

(SUS) outro medicamento da classe dos inibidores do complemento para o tratamento da doença, o ravulizumabe. Ambos os medicamentos dessa classe, o eculizumabe e o ravulizumabe, são administrados diretamente na veia e atuam para inibir a proteína C5 no sistema complemento, bloqueando o ataque às hemácias.

Medicamento analisado: crovalimabe

A Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. solicitou à Conitec a avaliação para incorporação, ao SUS, do crovalimabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40 kg com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5.

O medicamento tem indicação aprovada na Anvisa para pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais com HPN e peso corporal de pelo menos 40 kg. A posologia é feita por doses de ataque e de manutenção, cuja administração pode variar entre infusões intravenosas (diretamente na veia), realizadas por profissionais de saúde, e injeções subcutâneas (embaixo da pele), em que é possível a autoadministração ou administração por um cuidador.

O crovalimabe é um anticorpo monoclonal que se liga a proteína C5 e impede que ela ative uma reação em cadeia que causa a destruição das células sanguíneas (cadeia do sistema complemento). Além disso, o medicamento consegue ter um efeito prolongado no organismo, por captar essas proteínas e eliminá-las. Dessa forma, sua administração pode ser feita em volumes menores e em intervalos de tempo maiores entre as doses.

Dos três estudos de evidências clínicas analisados, dois avaliaram o crovalimabe em comparação ao eculizumabe, e um avaliou o crovalimabe sem comparar com outro medicamento. Em relação aos efeitos desejáveis, a avaliação indicou que o medicamento foi capaz de controlar a destruição das células sanguíneas (hemólise) de evitar transfusões do sangue e de promover ganhos relacionados à qualidade de vida. No caso de efeitos indesejáveis, o crovalimabe apresentou mais eventos adversos, incluindo reações relacionadas à infusão, infecções e alterações nos exames de sangue. Ainda assim, esses eventos não levaram à descontinuidade do tratamento.

A avaliação econômica comparou os custos do crovalimabe com os inibidores de C5 disponíveis no SUS, o eculizumabe e o ravulizumabe, e considerou os custos de disponibilização do medicamento por toda a vida dos usuários. Na análise econômica enviada pelo demandante, o crovalimabe apresentou custos anuais menores que o eculizumabe e ravulizumabe. Contudo, devido às incertezas no modelo e à possível redução no preço no eculizumabe biossimilar, a ser disponibilizado no Brasil, o crovalimabe perdeu a vantagem de oferecer um tratamento

mais barato quando comparado às projeções de preço de um eculizumabe produzido nacionalmente. No cálculo de dois cenários possíveis, o crovalimabe passaria a custar de R\$ 288.775,22 a R\$ 662.460,31 a mais no primeiro ano e de R\$ 87.356,89 a R\$ 438.530,83 a mais a partir do segundo ano de tratamento.

Com relação ao impacto orçamentário da incorporação do medicamento no SUS para a população elegível, foram estimados, ao longo de cinco anos, os custos de aquisição e administração do crovalimabe, também em comparação ao eculizumabe e ao ravulizumabe. O modelo considera, também, a migração de pacientes entre tratamentos no cenário proposto. Assim, o impacto indicaria uma economia de aproximadamente R\$ 72,2 milhões ao final dos cinco anos. Considerando o cenário de aquisição de um eculizumabe biossimilar, que custaria menos, o impacto orçamentário teria uma economia de R\$ 115.942.154,39 no mesmo período, influenciado pela redistribuição do uso dos medicamentos ao longo dos cinco anos.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 61/2025 esteve aberta durante o período de 11/07/2025 a 21/07/2025 e recebeu 4 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 para todos os inscritos.

O representante relatou ter iniciado tratamento para HPN com o eculizumabe, em 2021, obtido por meio de judicialização. No entanto, houve falha terapêutica e precisava realizar várias transfusões, além de ser internado em diferentes momentos. Segundo seu relato, como acessava o medicamento por meio de judicialização, havia atrasos recorrentes, o que prejudicava o seu tratamento. Posteriormente, por meio de participação em pesquisa clínica em um Centro de Referência para tratamento de HPN, passou a ter acesso ao crovalimabe. Segundo seu relato, desde o início do uso do medicamento não necessitou mais de novas transfusões sanguíneas. Em relação a administração, informou que a sua filha aplica na região abdominal, no intervalo de 28 dias, com retirada do medicamento na clínica a cada três meses. Destacou ainda que, atualmente, consegue praticar atividade física e não precisa mais faltar no trabalho para realizar o tratamento, diferentemente do período em que realizava infusões frequentes.

O vídeo da 28ª Reunião Extraordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por maioria simples, a não incorporação, ao SUS, do crovalimabe para o tratamento de pessoas com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). Esse tema foi discutido durante a 28ª Reunião Extraordinária da Comissão, realizada no dia 11 de maio de 2026. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos avaliou conjuntamente tecnologias indicadas para o tratamento da HPN. A análise integrada foi realizada após solicitação do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos, que demandou avaliação conjunta das tecnologias ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana, considerando tratar-se de alternativas terapêuticas para a mesma condição clínica no âmbito do SUS. Essa avaliação conjunta visa harmonizar a análise, a fim de aprimorar a tomada de decisão no contexto dessa condição.

Os membros do Comitê discutiram principalmente sobre questões relacionadas ao impacto orçamentário, considerando a futura disponibilidade de biossimilares (ou seja, versões altamente semelhantes a um medicamento biológico de referência que já teve sua patente expirada) do eculizumabe a partir de 2027. Na avaliação conjunta das tecnologias - que inclui o crovalimabe -, foram questionadas as premissas adotadas na avaliação econômica e na análise de impacto orçamentário, bem como incertezas relacionadas aos preços futuros e à implementação de Parcerias para o Desenvolvimento Produtivo (PDP) para o eculizumabe. Além disso, destacou-se como aspecto central do debate a comodidade posológica e os potenciais ganhos em qualidade de vida proporcionados pelo crovalimabe, conforme relatos dos pacientes.

Dessa forma, entende-se que as contribuições recebidas durante a consulta pública poderão ajudar a compreender melhor os seguintes aspectos:

- Você já utilizou outro medicamento inibidor do complemento (eculizumabe ou ravulizumabe)? Se sim, qual foi o medicamento e o motivo da sua interrupção?
- Em comparação aos inibidores, percebeu maiores benefícios clínicos ou dificuldades no tratamento com o crovalimabe?
- Ao longo do tratamento com o crovalimabe, como foi realizada a administração do medicamento?
- Após o início do uso do crovalimabe, houve mudança na frequência de transfusões de sangue que você recebe?
- O uso do crovalimabe alterou os seus níveis de hemoglobina?
- Ocorreu melhora na fadiga após a experiência com crovalimabe?
- Houve melhora no quadro de anemia com o crovalimabe?

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 47, durante 20 dias, no período de 16/6/2026 a 6/7/2026, 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](#).