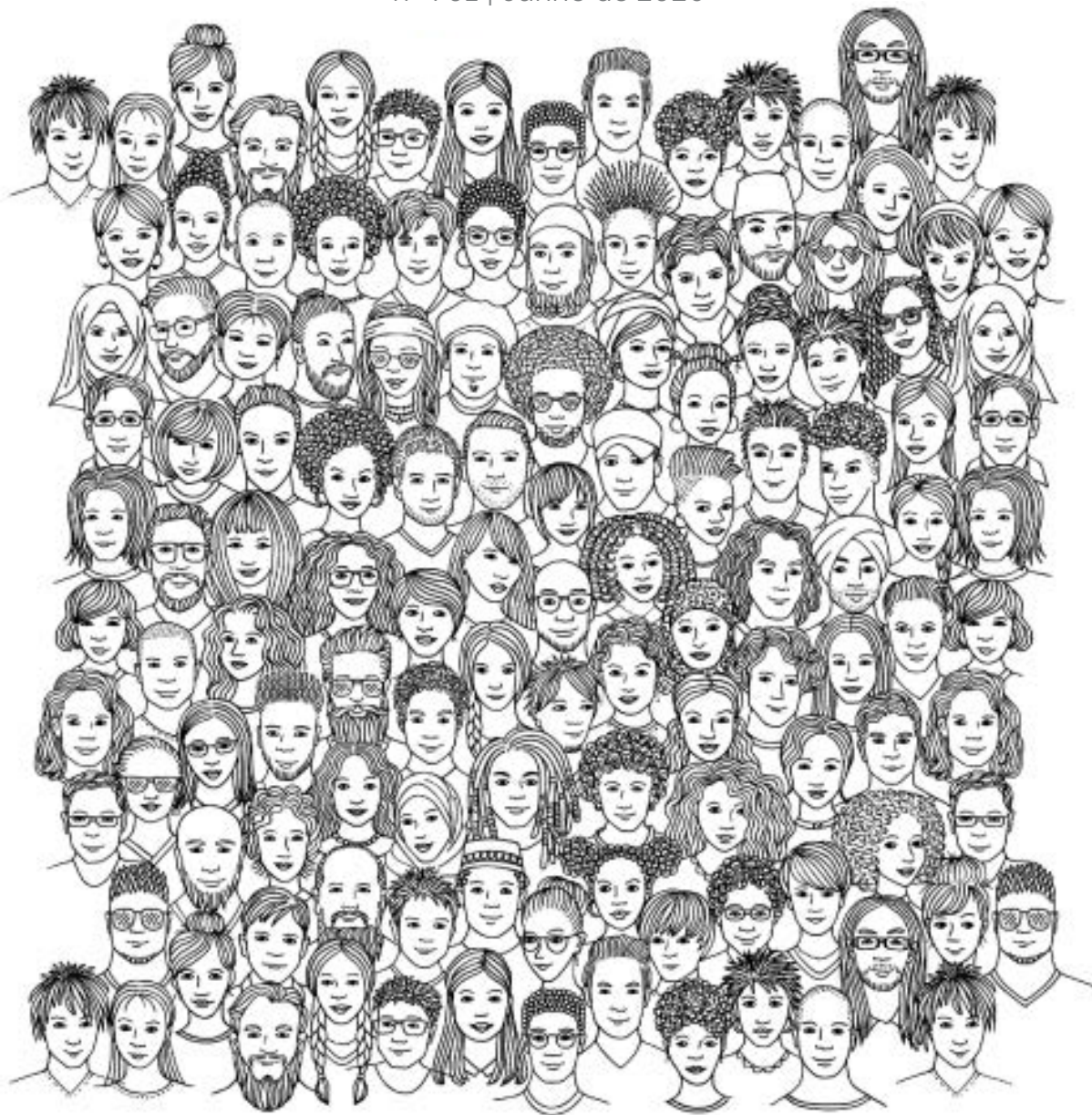




# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

## **CONCIZUMABE**

para tratamento profilático de longa duração contra sangramentos em pacientes com  
hemofilia B moderada a grave com inibidores com idade a partir de 12 anos

## **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](http://gov.br/conitec/pt-br)

E-mail: [conitec@saude.gov.br](mailto:conitec@saude.gov.br)

### **Elaboração do relatório**

Adriana Prates Sacramento

Andrija Oliveira Almeida

### **Revisão técnica**

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

### **Layout e diagramação**

Patricia Mandetta Gandara

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

---

## Sumário

|                                                                            |                    |
|----------------------------------------------------------------------------|--------------------|
| <a href="#">O que é a hemofilia B? .....</a>                               | <a href="#">4</a>  |
| <a href="#">Como é feita a profilaxia da hemofilia B no SUS.....</a>       | <a href="#">5</a>  |
| <a href="#">Medicamento analisado: concizumabe.....</a>                    | <a href="#">5</a>  |
| <a href="#">Perspectiva do Paciente .....</a>                              | <a href="#">6</a>  |
| <a href="#">Discussão da Conitec na apreciação inicial .....</a>           | <a href="#">6</a>  |
| <a href="#">Recomendação inicial da Conitec .....</a>                      | <a href="#">7</a>  |
| <a href="#">Resultado da consulta pública.....</a>                         | <a href="#">7</a>  |
| <a href="#">Discussão da Conitec na apreciação final.....</a>              | <a href="#">8</a>  |
| <a href="#">Recomendação final da Conitec.....</a>                         | <a href="#">8</a>  |
| <a href="#">Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa .....</a> | <a href="#">10</a> |

# CONCIZUMABE

para tratamento profilático de longa duração contra sangramentos em pacientes com hemofilia B moderada a grave com inibidores com idade a partir de 12 anos

## O que é a hemofilia B?

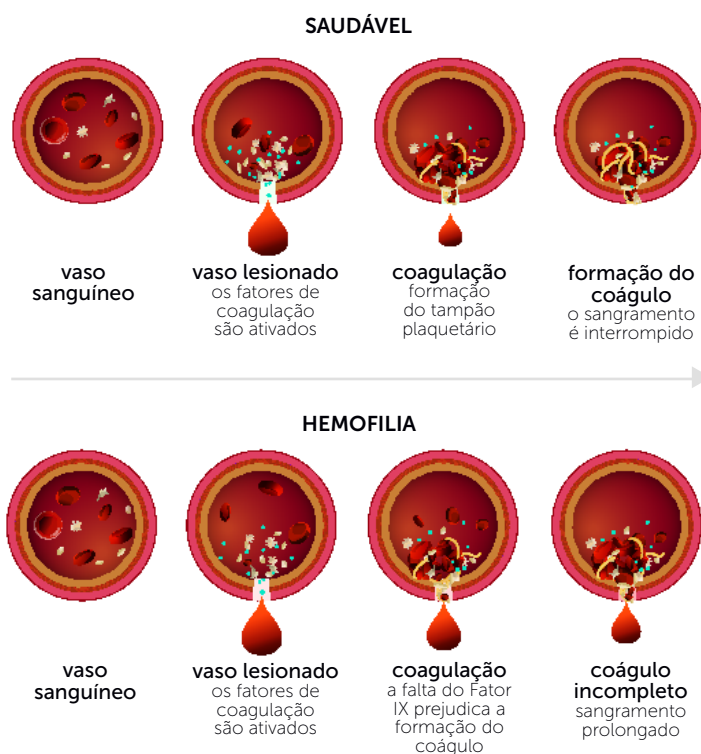
A hemofilia B é uma doença rara e hereditária, que afeta principalmente homens. Na maioria das vezes, é causada por uma variação no gene F9, responsável pela produção do Fator IX (FIX), uma proteína essencial para a coagulação do sangue. Sem quantidade suficiente desse fator, o organismo apresenta dificuldade para formar coágulos e, assim, estancar sangramentos.

A hemofilia B pode ser classificada como leve, moderada ou grave, a depender do nível de atividade do fator IX. A doença é classificada como grave quando há menos de 1% de atividade do FIX. Nesses casos, ocorrem sangramentos espontâneos frequentes, geralmente desde a infância. O quadro

é classificado como moderado quando a atividade do FIX se situa entre 1 e 5% do que seria considerado normal. Nesta situação, há dificuldades de coagulação em sangramentos que surgem após pequenos traumas ou procedimentos. Também podem acontecer hemorragias recorrentes em áreas como cotovelo, joelho e tornozelo, as quais podem gerar danos permanentes às articulações. Nos quadros classificados como leves, a atividade do FIX se situa entre 5 e 40%, e há dificuldades na coagulação de sangramentos maiores associados a traumas ou cirurgias.

A hemofilia B costuma causar um impacto negativo sobre a funcionalidade e a qualidade de vida dos pacientes. As manifestações da doença, caso não sejam tratadas adequadamente, podem gerar complicações de longo prazo e danos permanentes. O diagnóstico envolve o levantamento de histórico familiar, além de exames físico e laboratoriais, incluindo dosagem do FIX e testes genéticos para identificação de mutações no gene F9.

Segundo a Federação Mundial da Hemofilia, a hemofilia B afeta, em média, 3,8 a cada 100 mil homens no mundo. No Brasil, existem 2.234 pessoas com hemofilia B registradas, dentre as quais 35% possuem a forma grave da doença.



---

O tratamento padrão para a hemofilia B é a reposição do FIX. Entretanto, cerca de 1,5 a 3% dos pacientes desenvolve inibidores. Isso significa que o sistema imunológico dessas pessoas entende o FIX como uma ameaça e produz anticorpos para impedir a sua atuação. O desenvolvimento de inibidores aumenta o risco de complicações e a mortalidade, e ocorre, geralmente, em indivíduos que apresentam a forma grave da doença.

## **Como é feita a profilaxia da hemofilia B no SUS?**

A profilaxia da hemofilia B objetiva evitar sangramentos, especialmente hemorragias nas articulações como joelho e cotovelo, as quais podem causar sequelas permanentes. Assim como o tratamento, a profilaxia é feita no Sistema Único de Saúde (SUS) mediante a reposição do FIX no organismo, por meio de injeções aplicadas na veia em intervalos regulares de tempo. Para os casos em que ocorre o desenvolvimento de inibidores, entretanto, o SUS não oferece outras opções de profilaxia de rotina.

Em alguns casos, pode ser empregada a indução de imunotolerância (IIT), que consiste na administração de altas doses de FIX com o objetivo de condicionar o sistema imunológico a não produzir mais anticorpos contra os inibidores. Porém, a taxa de sucesso costuma ser baixa, além de envolver riscos de eventos adversos graves, custo elevado e longa duração do tratamento, que pode se estender por meses ou anos.

## **Medicamento analisado: concizumabe**

Concizumabe é um medicamento que auxilia a coagulação do sangue, mesmo na deficiência de FIX, ao aumentar a geração de trombina, enzima essencial para a formação de coágulos. Sua utilização deve ocorrer diariamente, por meio de injeção subcutânea, ou seja, na camada situada entre a pele e o músculo. A tecnologia possui registro na ANVISA para profilaxia de sangramentos em pacientes a partir de 12 anos com hemofilia A ou B com inibidores do fator VIII e IX, respectivamente. A incorporação de concizumabe ao SUS foi uma demanda da Novo Nordisk Farmacêutica do Brasil Ltda.

Com base nas evidências disponíveis, o concizumabe pode ser considerado eficaz e seguro. Entretanto, a confiança de que os resultados dos estudos examinados estão corretos foi considerada baixa.

A avaliação econômica foi realizada sob a perspectiva do SUS, utilizando o tempo de vida como horizonte temporal, estimativa adequada para uma condição crônica. A população de potenciais usuários de tratamento profilático de longa duração foi estimada com base em dados do Hemovida Web Coagulopatias, sistema de informação do Ministério da Saúde

---

que registra, acompanha e monitora pacientes com doenças hereditárias que afetam a coagulação sanguínea, a exemplo da hemofilia B. Foi feita uma comparação entre o uso diário de concizumabe e um tratamento para sangramentos com os medicamentos CCPa (Concentrado de Complexo Protrombínico Ativado) e r-FVIIa (fator VII ativado recombinante), escolha justificada por não haver, no SUS, medicamentos para realização de profilaxia de rotina em pacientes com hemofilia B e inibidores. Foram projetados três possíveis estados de saúde para simular a evolução dos pacientes ao longo do tempo, com variações considerando o trânsito entre ausência de sangramento, ocorrência de sangramento não articular, sangramento articular e morte. Foram considerados os custos médicos diretos com o uso de concizumabe e do tratamento para sangramentos usando os outros medicamentos mencionados. Como resultado, concizumabe apresentou melhores resultados com menor custo.

A análise de impacto orçamentário utilizou a perspectiva do SUS e um horizonte temporal de cinco anos. O quantitativo de potenciais usuários de concizumabe foi estimado com base em dados do Sistema Hemovida Web Coagulopatias. Projetou-se que o uso do medicamento seria feito por 40% dos pacientes elegíveis no primeiro ano chegando a 80% no quinto ano. Mediante esses cálculos, chegou-se à conclusão de que a incorporação de concizumabe representaria uma economia de cerca de R\$ 183 milhões para o SUS, em cinco anos.

## **Perspectiva do Paciente**

A Chamada Pública nº 87/2025 esteve aberta durante o período de 31 de outubro a 10 de novembro de 2025 e recebeu 52 inscrições. Contudo, verificou-se que os inscritos não atendiam às especificidades da Chamada, ou seja, não possuíam experiência com o medicamento em avaliação. A Secretaria-Executiva da Conitec realizou uma busca ativa junto a especialistas, associações de pacientes e centros de tratamento, mas não identificou um participante para o tema. Assim, não houve participação.

## **Discussão da Conitec na apreciação inicial**

Durante a discussão que precedeu a emissão da recomendação inicial, o Comitê considerou o cenário atual no tratamento da hemofilia B especificamente para a população acima de 12 anos que apresenta inibidores, entendendo que a incorporação de concizumabe preencheria uma lacuna, uma vez que não existe opção no SUS para a população mencionada. Ponderou-se que a fragilidade da evidência decorre, em parte, do caráter raro da doença, sendo apontada a necessidade de estabelecer o tamanho real da população que necessita do medicamento.



---

## Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, de concizumabe para tratamento profilático de longa duração contra sangramentos em pacientes com hemofilia B moderada a grave com inibidores com idade a partir de 12 anos. Esse tema foi discutido durante a 149ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 4, 5 e 6 de março de 2023. Na ocasião, os membros do Comitê de Medicamentos consideraram o atual cenário de tratamento da hemofilia B no SUS, especificamente para a população acima de 12 anos que apresenta inibidores, e analisaram criticamente as evidências, com a ponderação de que as fragilidades dos estudos apresentados são parcialmente justificáveis diante da raridade da doença. Foram debatidas as incertezas relacionadas ao aspecto econômico e acerca do quantitativo real de possíveis usuários da tecnologia. Houve sugestão de que o proponente apresentasse dados relacionados ao contexto brasileiro e considerasse a possibilidade de oferecer um desconto maior para a compra da tecnologia.

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

- Já realizou o tratamento de indução de imunotolerância? Poderia descrever como ocorreu o tratamento e qual foi a duração?
- Caso tenha utilizado concizumabe, como obteve o medicamento?
- O uso de concizumabe influenciou ou poderia influenciar a dinâmica familiar do paciente?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 23, durante 20 dias, no período de 08/04/2026 a 27/04/2026, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

## Resultado da consulta pública

Foram recebidas 1.488 contribuições, das quais 1.424 foram favoráveis à incorporação. Os argumentos mencionaram a gravidade da doença, a efetividade do medicamento, o favorecimento da adesão ao tratamento, a limitação de alternativas terapêuticas, a importância do acesso a terapias modernas, de considerar necessidades de saúde não atendidas pelo SUS e de promover a equidade do cuidado. Houve consideração aos aspectos positivos do concizumabe, como o conforto posológico, a efetividade e aumento da qualidade de vida. Como aspecto negativo houve menção ao custo elevado. Em relação a outras tecnologias,

---

foram mencionados os agentes de *by-pass*. Como aspectos positivos foram citados o controle de sangramento agudo, a segurança, a disponibilidade no SUS e a consolidação de uso na prática clínica. Como aspectos negativos, os participantes da consulta pública citaram a variabilidade nos resultados, a dificuldade em prevenir sangramentos, dificuldades relacionadas à posologia, ao tempo de ação, o custo elevado e questões logísticas como armazenamento e transporte dos medicamentos.

As contribuições de natureza técnico-científica reforçaram os aspectos da eficácia e da segurança do concizumabe e, também, os dados econômicos que indicaram vantagem do concizumabe em relação aos comparadores.

## **Discussão da Conitec na apreciação final**

A reunião contou com a participação de um paciente que vive com hemofilia B grave, porém sem inibidor. Apesar de não ter experiência com concizumabe, afirmou conhecer a realidade dos pacientes que seriam beneficiados com a incorporação, uma vez que é membro de uma associação. Após relatar sua trajetória, mencionou o caso de um adolescente com hemofilia B grave com inibidor do fator IX que faleceu por falta de um tratamento profilático e de uma terapia efetiva para o sangramento. Mencionou que essa população vive com medo de apresentar sangramentos e que a prevenção é o melhor caminho para evitar complicações, ressaltando a importância da realização de profilaxia primária, com início antes do desenvolvimento de sequelas. No decorrer da discussão para a emissão da recomendação, os membros do Comitê ponderaram que os pacientes com hemofilia B ainda contam com poucas alternativas terapêuticas, o que reforça a importância de disponibilizar opções para o segmento, no SUS. A posologia subcutânea do medicamento foi considerada como elemento favorecedor da adesão ao tratamento e de promoção de qualidade de vida dos pacientes, um aspecto observado anteriormente em relação a outras terapias profiláticas utilizadas em hemofilia. Também foi mencionada a possibilidade de vantagem econômica para o SUS, uma vez que esses pacientes utilizam agentes de *by-pass*, que já são incorporados no SUS e representam um gasto anual de cerca de R\$ 129 milhões. Destacou-se que o concizumabe pode substituir essa terapia e, com isso, a realocação desses recursos pode gerar economia para o SUS.

## **Recomendação final da Conitec**

A 152ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 12, 17, 18 e 19 de junho. No dia 17 de junho, o Comitê de Medicamentos recomendou a incorporação ao SUS do concizumabe para tratamento profilático de longa duração contra sangramentos em pacientes com hemofilia B moderada a grave com inibidores com idade a partir de 12 anos. Para essa recomendação,



---

foi considerada a possibilidade de substituição de terapias já financiadas pelo SUS, o potencial de economia orçamentária e os benefícios clínicos associados à tecnologia.

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

## Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa

### **Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 14/05/2025 para o concizumabe (Alhemo®):**

Profilaxia de rotina de sangramentos em pacientes com:

- hemofilia A (deficiência do fator VIII congênita) com inibidores do FVIII <sup>3</sup> 12 anos de idade.
- hemofilia B (deficiência do fator IX congênita) com inibidores do FIX <sup>3</sup> 12 anos de idade

### **Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec\*:**

Tratamento profilático de longa duração contra sangramentos em pacientes com hemofilia B moderada a grave com inibidores com idade a partir de 12 anos.

\*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.