

# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

## **EDARAVONA**

para o tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA),  
graus 1 ou 2, e duração da doença menor ou igual a 2 anos (*early stage*).

## **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**

Anna Júlia Medeiros Lopes Garcia

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

### **Revisão técnica**

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

### **Layout e diagramação**

Patricia Mandetta Gandara

Ana Júlia Trovo da Mota

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

# EDARAVONA

para o tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, e duração da doença menor ou igual a 2 anos (*early stage*)

## **Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 22/12/2025 para edaravona (Radicava®):**

Inibição da progressão do distúrbio funcional em pacientes com Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA).

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

Tratamento de pacientes adultos com ELA, grau 1 ou 2, e duração da doença  $\leq$  2 anos (*early stage*).

## **Recomendação inicial da Conitec:**

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente a não incorporação do edaravona para o tratamento de pacientes adultos com Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, e duração da doença menor ou igual a 2 anos (*early stage*).

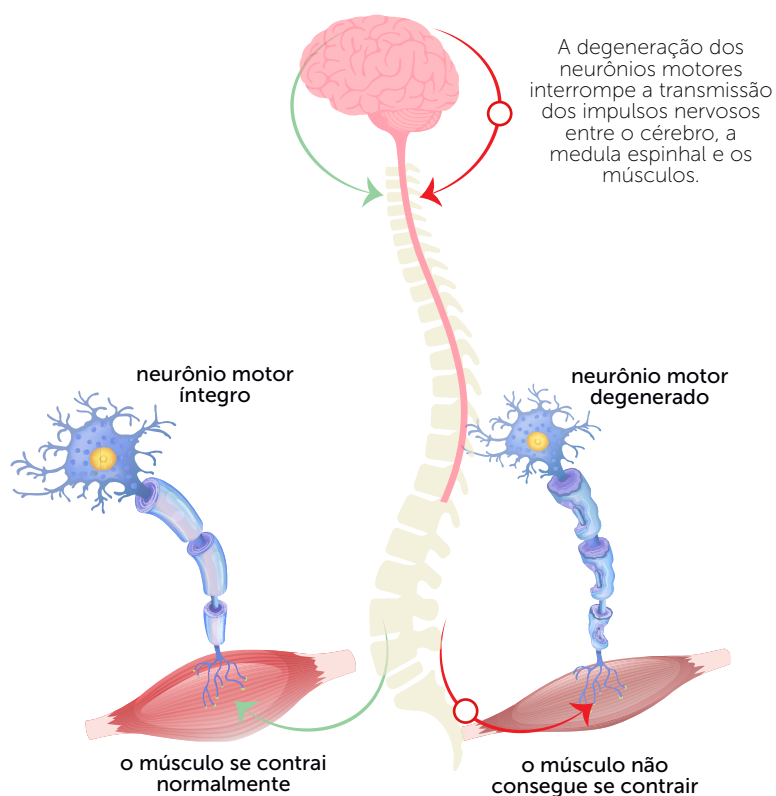
\*De acordo com o §6º do art. 32 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, o pedido de incorporação de uma tecnologia em saúde deve ter indicação específica. Portanto, a Conitec não analisará todas as hipóteses previstas na bula em um mesmo processo.

## **O que é esclerose lateral amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2?**

A Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA) é uma doença neurodegenerativa que afeta o sistema nervoso e provoca, de forma progressiva, a perda das células responsáveis pelos movimentos superiores e inferiores do corpo. Com isso, a pessoa vai perdendo força muscular, autonomia para realizar atividades do dia a dia e, com o avanço da doença, pode apresentar dificuldade para respirar, sendo essa a principal causa de morte na maioria dos casos. As causas da ELA são complexas e multifatoriais, podendo envolver tanto fatores genéticos quanto fatores ambientes ou externos, cuja interação pode determinar os riscos do desenvolvimento da doença. Diversos processos ocorrem no organismo das pessoas com ELA e contribuem para a progressão da condição de saúde, como o acúmulo de substâncias tóxicas nas células, falhas na produção de energia, alterações na comunicação entre os neurônios e processos inflamatórios.

A forma como a ELA se manifesta pode variar bastante entre os indivíduos. No estágio inicial a doença se apresenta de forma heterogênea, envolvendo padrões diferentes, o que

influencia o tempo do diagnóstico e progressão da condição de saúde. Os primeiros sinais tendem a surgir nos braços ou pernas, podendo afetar a fala e a deglutição; e, mais raramente, manifestar-se inicialmente por dificuldades respiratórias. Esses diferentes padrões influenciam a velocidade de progressão da doença, o prognóstico e o tipo de cuidado necessário. As principais manifestações incluem fraqueza localizada em apenas uma parte do corpo, alterações na fala e na deglutição, perda gradual da capacidade funcional e aumento das dificuldades respiratórias. Em média, a sobrevivência após o início dos sintomas varia entre 2 e 5 anos, podendo esse período ser maior ou menor a depender da idade, da forma de início da doença, do ritmo de progressão e do acesso a acompanhamento especializado.



Em nível mundial, estima-se que surjam entre 0,6 e 3,8 novos casos de ELA a cada 100 mil pessoas por ano, sendo mais comum em indivíduos com idade entre 50 e 65 anos. No Brasil, embora existam poucos estudos populacionais, os dados disponíveis indicam números semelhantes aos observados em outros países de renda média. Estima-se que, em uma pequena parte dos casos (cerca de 5% a 10%), a doença esteja relacionada a alterações genéticas herdadas. Nos demais, acredita-se que fatores do ambiente, como exposições ao longo da vida, também possam desempenhar papel relevante no seu desenvolvimento.

A avaliação clínica e o acompanhamento da progressão da ELA utilizam diferentes instrumentos que contemplam dimensões complementares da doença, como a funcionalidade, a extensão anatômica do comprometimento motor e o envolvimento respiratório. Entre as ferramentas mais empregadas tanto em pesquisas clínicas quanto na prática assistencial destacam-se a **Escala Revisada de Avaliação Funcional da Esclerose Lateral Amiotrófica (ALSFRS-R)** e o **King's Clinical Staging System**. Embora apresentem diferenças quanto aos objetivos, à estrutura e à aplicabilidade clínica, essas escalas são frequentemente utilizadas de maneira complementar.

### **Escala de Avaliação Funcional da Esclerose Lateral Amiotrófica Revisada (ALSFRS-R)**

Avalia principalmente como a doença afeta as atividades do dia a dia. Essa versão é uma atualização da escala original, criada para melhorar especialmente a avaliação da função respiratória, que antes recebia menos atenção em comparação com os aspectos motores e

---

da fala. A escala é formada por 12 perguntas organizadas em quatro áreas principais:

- **Função bulbar:** fala, salivação e deglutição (engolir);
- **Função motora fina:** escrever, cortar alimentos, usar utensílios, vestir-se e cuidar da higiene pessoal;
- **Função motora grossa:** virar-se na cama, caminhar e subir escadas;
- **Função respiratória.**

Cada item recebe uma pontuação de 0 a 4. A soma total pode variar de 0 a 48 pontos. Quanto maior a pontuação, melhor é a capacidade funcional do paciente.

### **King's Clinical Staging System**

Usado para classificar a progressão da ELA com base em como a doença se espalha pelo corpo e em acontecimentos clínicos importantes. Diferente de escalas que utilizam uma pontuação contínua, esse sistema divide a doença em estágios bem definidos. São cinco estágios no total: do 1 ao 4 durante a vida do paciente, e o estágio 5 corresponde ao óbito. Nos estágios iniciais (1 a 3), a classificação depende do número de regiões do sistema nervoso afetadas, de acordo com critérios clínicos estabelecidos. Essas regiões podem incluir a área bulbar (relacionada à fala e deglutição), membros superiores e membros inferiores.

- **Estágio 1:** apenas uma região afetada;
- **Estágio 2:** duas regiões afetadas;
- **Estágio 3:** três regiões afetadas.
- **Estágio 4:** marca uma fase mais avançada da doença e é definido pela necessidade de intervenções importantes, como alimentação por gastrostomia (devido à dificuldade para se alimentar) ou uso de ventilação não invasiva por comprometimento respiratório.
- **Estágio 5:** corresponde ao óbito.

A ELA é, na maioria das vezes, esporádica, ou seja, surge sem histórico familiar conhecido, compreendendo cerca de 80% a 90% dos casos. Em aproximadamente 10% dos casos, a doença é familiar, sendo herdada geneticamente, geralmente de forma autossômica dominante (quando basta herdar a alteração de um dos pais). Até hoje, já foram identificados mais de 30 genes relacionados à ELA. Esses genes explicam cerca de 70% dos casos familiares, mas estão presentes em apenas uma pequena parte dos casos esporádicos (cerca de 15%). Os genes mais frequentemente relacionados à doença desempenham funções importantes nas células nervosas e, quando sofrem mutações, podem levar ao acúmulo de proteínas anormais, que se tornam tóxicas para o neurônio, problemas no processamento do RNA, que é um

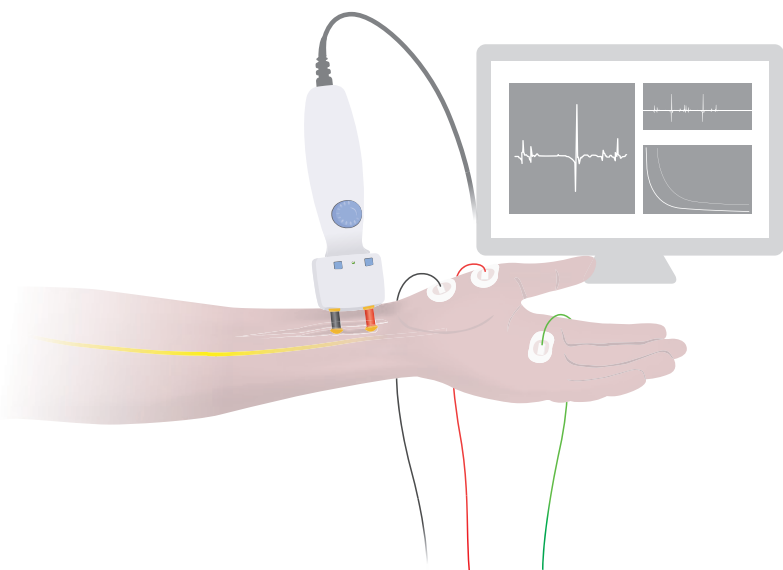
---

processo essencial para a produção correta de proteínas, e ao aumento do estresse oxidativo, que provoca danos nas células. Esses mecanismos ajudam a compreender como ocorre a degeneração dos neurônios motores na ELA.

## **Como os pacientes com esclerose lateral amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, são tratados no SUS?**

No Brasil, o cuidado das pessoas com Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA) segue orientações oficiais do Ministério da Saúde, reunidas no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da ELA, publicado em 2020. Esse documento orienta que o atendimento seja feito por uma equipe multiprofissional, ou seja, formada por diferentes profissionais de saúde, com foco na reabilitação, na alimentação adequada, no acompanhamento da respiração e no alívio dos sintomas.

O diagnóstico da ELA é feito principalmente com base na avaliação clínica realizada por profissionais especializados, seguindo critérios internacionais. O exame eletroneuromiografia (ENMG), disponível no SUS, é fundamental para identificar alterações nos nervos e músculos compatíveis com a doença. Além disso, exames laboratoriais e de imagem são utilizados para descartar outras condições que podem apresentar sintomas semelhantes.



Entre os cuidados recomendados estão a fisioterapia para ajudar na mobilidade e na respiração, o acompanhamento com fonoaudiólogo para apoiar a fala e a deglutição, a terapia ocupacional para auxiliar nas atividades do dia a dia, o suporte psicológico e o acompanhamento nutricional. No cuidado com a respiração, quando há piora da função pulmonar ou sinais de respiração insuficiente, o PCDT orienta o uso de ventilação não invasiva (VNI), além de medidas adicionais para ajudar na eliminação de secreções e prevenir complicações.

Em relação ao tratamento medicamentoso, o riluzol é a única terapia que pode modificar a evolução da doença. Ele está disponível no SUS na dose de 50 mg duas vezes ao dia.

---

## Medicamento analisado: edaravona

A empresa Daiichi Sankyo Brasil solicitou à Conitec a avaliação do edaravona para o tratamento de pacientes adultos com ELA, graus 1 ou 2, e duração da doença  $\leq 2$  anos (*early stage*).

O edaravona é um medicamento desenvolvido para atuar como antioxidante, ou seja, para combater substâncias nocivas, chamadas radicais livres, que danificam as células. Esses radicais livres estão relacionados ao estresse oxidativo, um dos processos que contribuem para a morte dos neurônios na ELA. Na ELA, há evidências de que o organismo produz quantidade aumentada dessa substância tóxica, o que leva a danos nas membranas das células, nas proteínas e no material genético (DNA), além de prejudicar o funcionamento das mitocôndrias, estruturas responsáveis pela produção de energia. O edaravona atua neutralizando especialmente um tipo muito agressivo de radical livre, antes que ele cause lesões irreversíveis nos neurônios motores. Estudos em laboratório mostram que esse medicamento pode reduzir esses danos celulares e, em parte, diminuir processos inflamatórios associados à doença, contribuindo para proteção indireta dos neurônios.

O mecanismo de ação do edaravona é diferente do riluzol. Enquanto o riluzol, medicamento disponibilizado pelo SUS para tratamento da doença, age reduzindo a toxicidade do glutamato, uma substância envolvida na comunicação entre neurônios, o edaravona atua diminuindo o estresse oxidativo. Por esse motivo, os dois medicamentos não substituem um ao outro e podem ser considerados abordagens terapêuticas distintas e complementares.

Uma característica importante do Edaravona é sua forma de administração. O medicamento é aplicado por via intravenosa (na veia) em ciclos: são períodos de uso diário seguidos por intervalos de pausa. Isso ocorre porque o efeito do medicamento no organismo é relativamente curto, sendo necessária a repetição regular das infusões para manter sua ação antioxidante. Após a administração, o edaravona é rapidamente processado pelo organismo e eliminado principalmente pelos rins, na forma de metabólitos inativos.

Os eventos adversos associados ao edaravona são geralmente leves a moderados e incluem principalmente manchas pelo corpo, dificuldade para caminhar, dor de cabeça e infecções respiratórias, que muitas vezes podem ocorrer pela própria progressão da ELA. Também podem aparecer irritações na pele, como vermelhidão ou coceira, além do aumento de açúcar na urina e alguns tipos de infecção por fungos, embora seja menos frequente. Um aspecto de segurança relevante é o risco de reações de alérgicas que podem ser graves, como falta de ar, inchaços, queda da pressão e até anafilaxia (reação alérgica grave e rápida). Essas reações estão relacionadas à presença de bissulfito de sódio na formulação, o que exige cautela em

---

pacientes asmáticos ou com histórico de alergia a sulfitos.

Em relação ao custo, o edaravona apresenta custo anual estimado de R\$ 29.907,46 por paciente no primeiro ano e R\$ 29.014,70 nos anos seguintes. Em comparação, o riluzol apresenta custo mediano anual de R\$ 10,1 mil por paciente.

Atualmente, a eficácia do edaravona foi demonstrada principalmente em um ensaio clínico realizado na população japonesa. No entanto, ainda há dificuldade em confirmar esse benefício em estudos fora do ambiente controlado de ensaios clínicos, mesmo quando são aplicados os mesmos critérios de inclusão dos estudos originais.

Em relação à segurança, o edaravona apresentou um perfil consistente entre os estudos, sendo geralmente bem tolerado. A maioria dos eventos adversos foi leve ou moderada. Eventos graves, como trombose venosa profunda e síndrome nefrótica, foram raros, e não houve registro de mortes relacionadas diretamente ao medicamento.

De modo geral, os estudos mostram que o edaravona intravenoso pode ajudar a reduzir a perda de função em pessoas com ELA. Esse benefício foi observado no estudo clínico, especialmente quando o tratamento começou nas fases iniciais da doença, com melhora significativa na escala ALSFRS-R ao longo de 24 e 48 semanas. Já em relação à respiração, os resultados foram menos claros: no curto prazo não houve diferença significativa, embora alguns dados indiquem possível manutenção da capacidade pulmonar em períodos mais longos.

Desfechos combinando funcionalidade e sobrevida, além de medidas de qualidade de vida, mostraram resultados favoráveis no ensaio clínico. No entanto, esses achados não se repetiram de forma consistente em estudos observacionais de mundo real, conduzidos fora do ambiente controlado dos ensaios clínicos. Nesses estudos, não foram observadas diferenças significativas na capacidade de realizar atividades, na função respiratória, na sobrevida ou na qualidade de vida quando comparados com dados de pacientes semelhantes tratados anteriormente.

A confiança nos resultados foi considerada alta para a eficácia do edaravona na preservação da função motora, na segurança e na qualidade de vida. Já para os desfechos de capacidade vital forçada (CVF) e sobrevida, a confiança foi considerada moderada. Por fim, embora o ensaio clínico principal tenha apresentado baixo risco de viés, suas extensões e os estudos observacionais apresentaram limitações metodológicas importantes. Isso impacta o nível de certeza global das evidências disponíveis.

A análise de impacto orçamentário estimou que a possível incorporação do edaravona ao SUS resultaria em um impacto financeiro de aproximadamente R\$ 68 milhões ao longo de cinco anos. Esse valor considera que, a cada ano, mais pessoas começariam a usar o medicamento, partindo de uma adoção menor e chegando a uma maior ao fim do período. A conta leva em

---

consideração como a doença evolui ao longo do tempo e os custos anuais do tratamento. Foram testadas também outras hipóteses, e os resultados ficaram iguais ou menores que esse valor principal. Ainda assim, há incertezas sobre a população elegível e sobre alguns detalhes do modelo usado, o que pode mudar a estimativa final.

## Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 95/2025 esteve aberta no período de 31/10/2025 a 10/11/2025, não tendo sido recebidas inscrições. Diante disso, a Secretaria-Executiva da Conitec realizou busca ativa e identificou uma representante para relatar a experiência relacionada à tecnologia em avaliação.

A paciente informou ter recebido diagnóstico de Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA) em dezembro de 2017, após aproximadamente um ano e meio do início dos sintomas. Relata que o período até a confirmação diagnóstica foi marcado por incertezas e grande sofrimento emocional. Os primeiros sintomas incluíram alterações na fala e dificuldade de deglutição, que evoluíram para comprometimento respiratório, com dificuldade para falar, engolir saliva e respirar simultaneamente. Inicialmente, fez uso do medicamento disponibilizado pelo SUS (riluzol), porém apresentou reação alérgica. Em um segundo momento, a reação foi mais grave, com agravamento das lesões na pele, o que levou à suspensão definitiva do tratamento. A paciente relata frustração e insegurança ao constatar que, diante de uma doença grave, havia apenas uma opção terapêutica disponível no sistema público, à qual não pôde dar continuidade.

Posteriormente, a médica prescreveu edaravona, alertando sobre o alto custo do medicamento e as dificuldades burocráticas para sua importação, visto que, à época, ainda não possuía registro na Anvisa. A paciente utilizou suas economias para iniciar o tratamento e realizou o primeiro ciclo de infusão em abril de 2018, em regime de internação hospitalar. Não apresentou eventos adversos, embora descreva o processo como fisicamente e emocionalmente desgastante. No segundo ciclo, foi implantado cateter totalmente implantável, utilizado até o momento, o que facilitou a administração do medicamento. O plano de saúde não custeava a aquisição da tecnologia, mas arcava com os custos das infusões.

A rotina hospitalar, com infusões realizadas por 10 dias, mostrou-se bastante difícil. Posteriormente, a médica conseguiu viabilizar a realização das infusões no pronto-atendimento, permitindo que a paciente retornasse para casa no mesmo dia e mantivesse maior estabilidade em sua rotina. Ainda assim, o custo do tratamento impactou significativamente o orçamento familiar.

---

No ano anterior, a paciente realizou troca de plano de saúde. Embora tenha conseguido manter o acompanhamento no mesmo hospital, o novo plano negou a cobertura das infusões, sob a justificativa de impossibilidade de rastreamento do medicamento adquirido pela própria paciente. Diante da negativa, foi necessário acionar via judicial. Apesar de, naquele momento, o edaravona já possuir registro na Anvisa, o plano manteve a recusa administrativa, o que gerou novo desgaste emocional. A paciente precisou custear infusões de forma particular até obter decisão liminar favorável, que determinou a cobertura do medicamento e das infusões pelo plano de saúde. O processo implicou nova adaptação ao serviço, à equipe e ao formato de atendimento, o que também foi relatado como desafiador. A paciente avalia que o uso do edaravona contribuiu para uma progressão mais lenta da doença. Atualmente, mantém alimentação por via oral de forma independente e não necessita de suporte ventilatório.

O vídeo da 148ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

## Recomendação inicial da Conitec

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, da edaravona para o tratamento de pacientes adultos com Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, e duração da doença menor ou igual a 2 anos (*early stage*). Esse tema foi discutido durante a 148ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 11 e 12 de fevereiro de 2026. Na ocasião, o Comitê de medicamentos considerou que embora a Edaravona apresente benefício funcional em pacientes com ELA em estágio inicial, esse efeito é de baixa magnitude e com incertezas quanto à relevância clínica, à robustez das evidências, à sustentabilidade do benefício no longo prazo, à viabilidade de implementação no SUS e ao impacto orçamentário projetado, o que motivou a recomendação preliminar desfavorável à incorporação. O Comitê considerou a necessidade de revisão do impacto orçamentário e de negociação para redução do preço do medicamento.

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

- Como foi o processo de diagnóstico da ELA?
- Como ocorreu o acesso a edaravona?
- Em algum momento foi necessária a interrupção do tratamento? Se sim, por quais motivos?
- Na sua percepção, o uso da edaravona contribuiu para retardar a progressão da doença ou preservar funções? De que maneira?
- Em qual estágio da doença o tratamento com edaravona foi iniciado?

- 
- Você percebeu redução dos sintomas e/ou melhora na qualidade de vida com o uso da tecnologia? Poderia descrever?
  - Você realiza acompanhamento com outras terapias ou atendimentos de saúde (fisioterapia, fonoaudiologia, terapia ocupacional, psicologia ou outros) para o manejo da ELA? Se sim, quais e como contribuiu para o tratamento?

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 19, durante 20 dias, no período de 24/03/2026 a 13/04/2026, 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](#).