

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

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

Adriana Prates Sacramento

Andrija Oliveira Almeida

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Layout e diagramação

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

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

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 ³ 12 anos de idade.
- hemofilia B (deficiência do fator IX congênita) com inibidores do FIX ³ 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.

Recomendação inicial da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente a não incorporação 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.

*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 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.

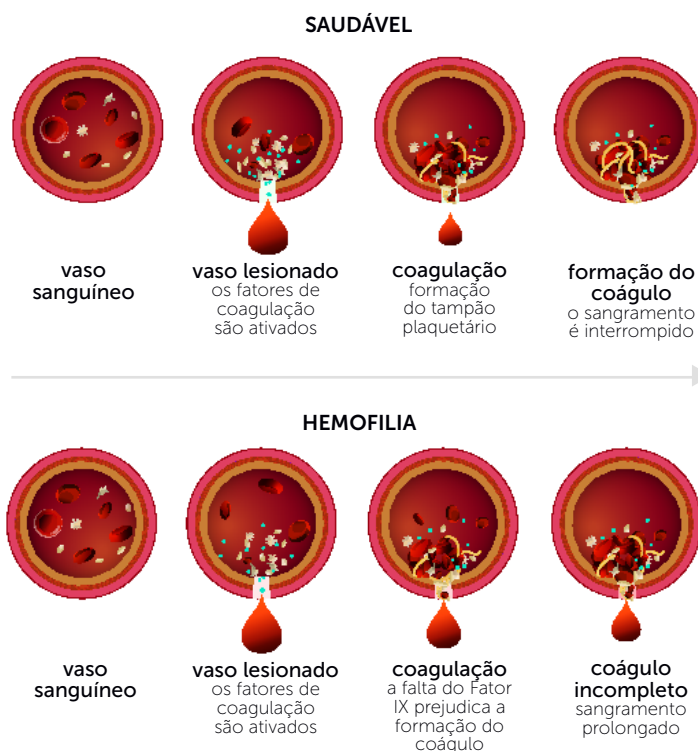
Segundo a Federação Mundial da Hemofilia, a hemofilia B afeta, em média, 3,8 a cada 100 mil homens no mundo. No Brasil, existem 2.234 pessoas com hemofilia B registradas, dentre as quais 35% possuem a forma grave da doença.

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. Na reunião, os membros do Comitê de Medicamentos, ao considerar os desafios de acesso ao tratamento e a dificuldade em encontrar pessoas com experiência com o medicamento em avaliação, solicitaram que houvesse, durante a reunião de apreciação final, a apresentação do relato de um participante com a condição de saúde mesmo que não tenha feito uso do concizumabe. Para tanto, a seleção dos representantes será retomada e considerará a lista de inscritos da Chamada Pública nº 87/2025.

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 está 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.

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

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