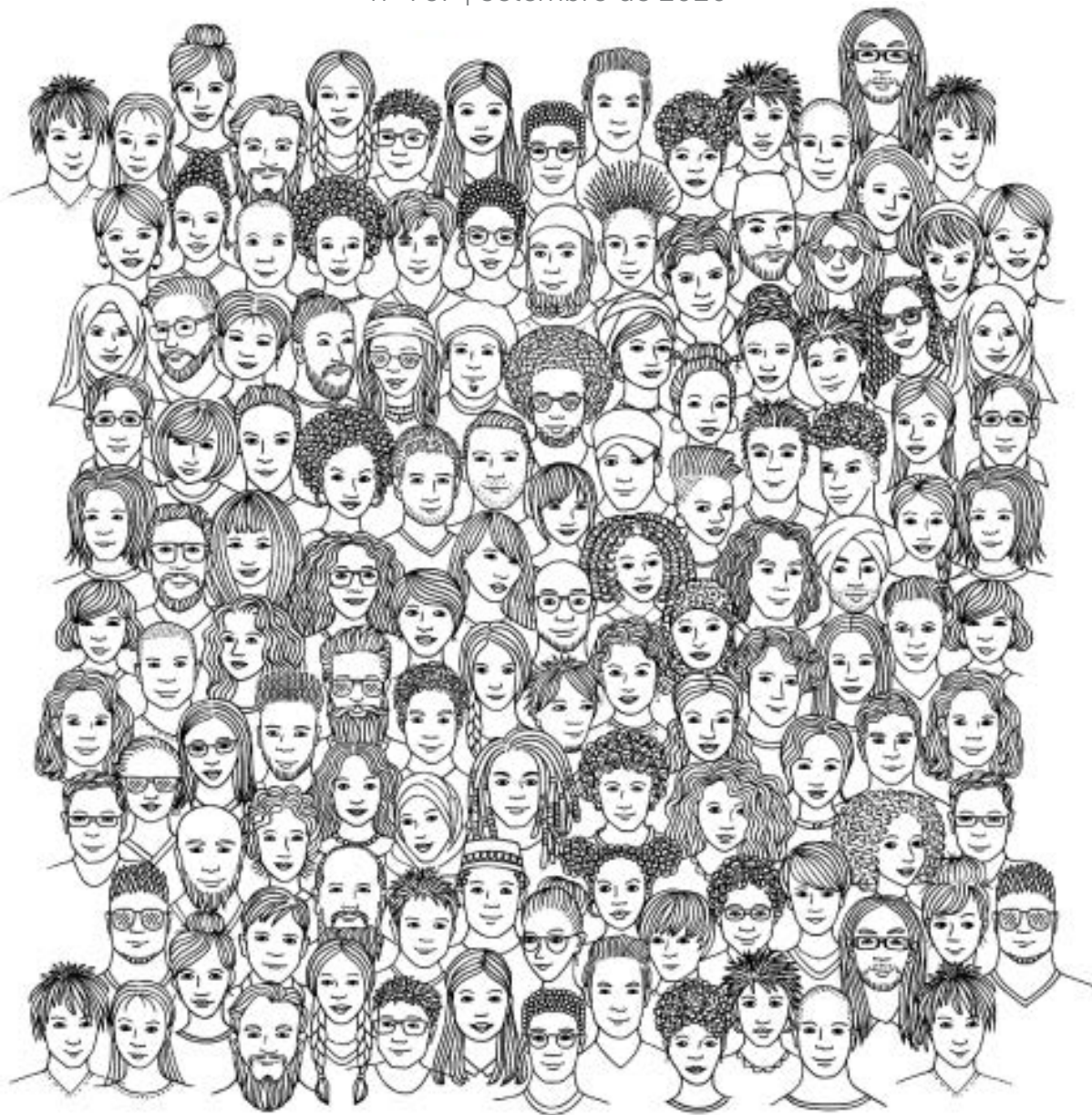




RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

OMAVELOXOLONA

para o tratamento da ataxia de Friedreich em pacientes com idade igual ou superior a 16 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

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

Este texto foi produzido com auxílio de Inteligência Artificial mediante supervisão humana, de acordo com as diretrizes e boas práticas estipuladas pela Secretaria de Governo Digital (SGD/MGI) e pelo SERPRO (Serviço Federal de Processamento de Dados) na Cartilha IA Generativa no Serviço Público.

Sumário

O que é a ataxia de Friedreich?	4
Como os pacientes com ataxia de Friedreich são tratados no SUS	5
Medicamento analisado: omaveloxolona	6
Perspectiva do Paciente	7
Discussão da Conitec na apreciação inicial	8
Recomendação inicial da Conitec	9
Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa	10

OMAVELOXOLONA

para o tratamento da ataxia de Friedreich em pacientes com idade igual ou superior a 16 anos

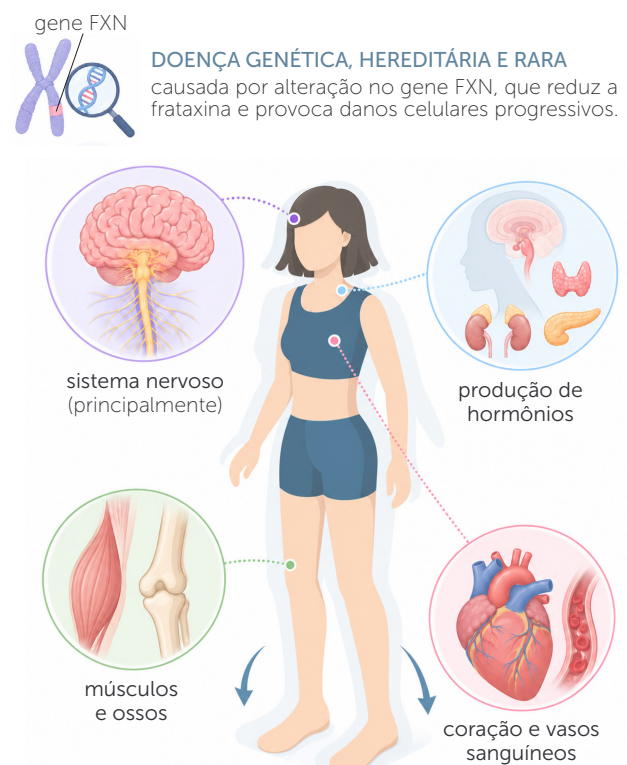
O que é a ataxia de Friedreich?

A ataxia de Friedreich (AF) é uma doença genética, hereditária e rara, que causa a degeneração progressiva das células do sistema nervoso. Na maioria dos casos, a doença está relacionada a uma alteração no gene FXN, que leva à produção reduzida da proteína frataxina. Essa proteína é importante para o funcionamento das mitocôndrias, estruturas presentes nas células que atuam na produção de energia.

A diminuição na produção de frataxina provoca danos celulares progressivos, afetando principalmente o sistema nervoso e podendo comprometer também os sistemas musculoesquelético (músculos e ossos), cardiovascular (coração e vasos sanguíneos) e endócrino (produção de hormônios). Quanto maior a alteração no gene, em geral, mais cedo surgem os sintomas e mais rápida pode ser a progressão da doença.

Os primeiros sintomas geralmente surgem entre os 5 e 20 anos, principalmente com dificuldade para caminhar, alterações no equilíbrio e perda da coordenação dos movimentos. A doença é progressiva e pode levar à perda da capacidade de caminhar, em média, 15 anos após o início dos sintomas, comprometendo a autonomia. Com a progressão da doença, podem ocorrer fraqueza muscular, cansaço, dificuldades para falar e engolir, alterações na sensibilidade e nos reflexos.

Além do sistema nervoso, a ataxia de Friedreich pode comprometer diferentes partes do corpo. Alterações nos músculos e nos ossos são comuns, como a escoliose, que é uma curvatura da coluna para a lateral, e o pé cavo, caracterizado por uma curvatura mais acentuada na sola do pé. Alterações visuais, auditivas e urinárias também podem surgir à medida que a doença avança, assim como dor relacionada ao comprometimento dos nervos (dor neuropática).



O comprometimento cardíaco é uma das principais complicações, sendo responsável por cerca de 60% dos óbitos relacionados à AF. A doença também pode estar associada ao diabetes, presente em aproximadamente 10% a 30% dos pacientes.



cerca de
15 mil
pessoas vivem
com a doença



0,04 a 5
casos por
100 mil
habitantes

A doença é considerada ultrarrara e sua frequência varia entre as populações. Estima-se que cerca de 15 mil pessoas vivam com AF no mundo, enquanto estudos internacionais apontam entre 0,04 e 5 casos por 100 mil habitantes. No Brasil, os dados disponíveis ainda são limitados. Estudos realizados em São Paulo e no Rio Grande do Sul estimaram aproximadamente 0,37 e 0,2 casos por 100 mil habitantes, respectivamente. Devido à sua raridade e às dificuldades para confirmar o diagnóstico, a doença pode ser subdiagnosticada no país.

A expectativa de vida das pessoas com AF é menor que a da população geral. Estudos internacionais indicam idade média ao óbito entre 36 e 40 anos, enquanto dados de um centro especializado no estado de São Paulo estimaram sobrevida média de aproximadamente 33 anos. As principais causas de morte estão relacionadas a complicações cardíacas, pulmonares e metabólicas, com destaque para as complicações cardíacas.

O diagnóstico da AF é feito a partir da avaliação dos sintomas, especialmente quando há dificuldade progressiva de coordenação e equilíbrio, associada a outros sinais neurológicos e alterações em diferentes órgãos. A confirmação é realizada por teste genético, que identifica alterações no gene FXN, sendo esse o método de referência. Outros exames, como exames de sangue, neuroimagem e avaliações neurológica, cardíaca, visual e auditiva, podem ser realizados para descartar outras doenças e avaliar os órgãos afetados pela AF.

Como os pacientes com ataxia de Friedreich são tratados no SUS?

Atualmente, não há um Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) específico para a ataxia de Friedreich no SUS. O tratamento é baseado principalmente no acompanhamento clínico e na reabilitação, com o objetivo de controlar os sintomas, prevenir complicações, preservar a funcionalidade e a qualidade de vida. Por ser uma doença que pode afetar diferentes partes do organismo, o cuidado é realizado de forma contínua e multidisciplinar, de acordo com as necessidades de cada paciente.

A fisioterapia e a terapia ocupacional são importantes para preservar a mobilidade, o equilíbrio e a independência nas atividades do dia a dia. A fonoaudiologia auxilia no manejo das dificuldades de fala e deglutição, enquanto alterações ortopédicas, cardíacas e metabólicas requerem acompanhamento e tratamento específicos. Com a progressão da doença, também pode ser necessário o uso de bengalas, andadores e cadeiras de rodas, além de adaptações no

ambiente e maior apoio de familiares e cuidadores.

Medicamento analisado: omaveloxolona

A Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. solicitou a avaliação da incorporação, ao SUS, da omaveloxolona para o tratamento da ataxia de Friedreich em pacientes com idade igual ou superior a 16 anos.

A omaveloxolona foi registrada na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em abril de 2025, sendo indicada para o tratamento da ataxia de Friedreich em adultos e adolescentes com 16 anos ou mais. Esse medicamento atua sobre mecanismos relacionados à proteção das células e ao funcionamento das mitocôndrias, podendo contribuir para reduzir os efeitos da doença.

Para avaliar se a omaveloxolona é eficaz e segura no tratamento da ataxia de Friedreich, foram analisados quatro estudos clínicos que compararam o medicamento com placebo. O placebo é uma substância sem efeito esperado sobre a doença, utilizada em pesquisas como comparador para ajudar a entender se os resultados observados estão relacionados ao medicamento avaliado. De forma geral, os resultados sugeriram que o tratamento com omaveloxolona pode reduzir a velocidade de progressão da doença. Foram observados resultados favoráveis em medidas que avaliam a evolução clínica e aspectos relacionados à mobilidade, aos movimentos dos braços e das mãos e à realização das atividades do dia a dia. As análises também sugeriram que o benefício pode ser maior quando o tratamento é iniciado em estágios mais iniciais da doença.

Em relação à segurança, o perfil da omaveloxolona foi considerado aceitável, com predominância de eventos adversos leves a moderados, geralmente controláveis e mais frequentes no início do tratamento. De forma geral, os resultados indicaram potencial benefício da omaveloxolona na evolução funcional e na progressão da doença, com certeza moderada das evidências.

Na análise econômica, a omaveloxolona apresentou maior efetividade, mas também maiores custos em comparação aos cuidados de suporte. Em comparação ao cenário com ausência de tratamento específico, com os melhores cuidados de suporte, o medicamento em avaliação proporcionou ganhos adicionais estimados de 0,42 ano de vida e de 0,57 ano de vida ajustado pela qualidade, com um custo adicional de aproximadamente R\$ 7,8 milhões por paciente ao longo da vida. Quando esse custo adicional é relacionado ao ganho de qualidade e duração de vida, chega-se a aproximadamente R\$ 13,7 milhões para cada ano de vida com qualidade. Os resultados foram consistentes nas análises realizadas, e as principais incertezas estiveram relacionadas ao efeito do tratamento, à qualidade de vida e ao tempo de permanência dos

pacientes em tratamento.

Em relação à análise do impacto orçamentário, em um cenário base, a incorporação da omaveloxolona no SUS poderia gerar um custo adicional acumulado de aproximadamente R\$ 1,2 bilhão em cinco anos. Considerando diferentes cenários de participação da tecnologia no mercado, esse valor poderia variar de cerca de R\$ 741,6 milhões, em um cenário de menor utilização, chegando a aproximadamente R\$ 1,7 bilhão no mesmo intervalo de tempo, em um cenário com maior difusão da tecnologia para a população elegível.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 58/2026 esteve aberta durante o período de 9 a 18 de junho de 2026 e recebeu cinco inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos por meio de sorteio realizado em plataforma digital com transmissão em tempo real e com gravação enviada posteriormente para todos os inscritos.

Durante a sua participação, a representante relatou que na infância corria, descia escadas, realizava atividades que exigiam equilíbrio e tocava piano, sem apresentar qualquer sintoma. Aos 13 anos, sua mãe observou o surgimento de uma escoliose. Aos 18 anos, ao tentar correr, teve dificuldade, experiência que, segundo ela, deixou cicatrizes que carrega até os dias atuais. Aos 20 anos, já não conseguia correr e passou a apresentar dificuldade para carregar líquidos. Aos 23 anos, na faculdade, percebeu que suas pernas começaram a travar e que apresentava dificuldades para escrever. Na mesma época, passou a apresentar dificuldade de fala e de tocar piano, além de não conseguir mais subir e descer escadas. Foi então que, aos 24 anos, recebeu o diagnóstico de ataxia de Friedreich.

Após o diagnóstico, sua família buscou alternativas de tratamento e tomou conhecimento da omaveloxolona. Inicialmente, ela foi contrária ao tratamento, considerando que o medicamento teria um impacto econômico significativo para a família, devido ao seu custo elevado. No entanto, sua mãe conseguiu uma consulta para ela na Filadélfia, nos Estados Unidos, com o médico responsável pelo estudo clínico do medicamento e ela começou a fazer uso em janeiro de 2024. A família importava o medicamento com o auxílio de uma amiga que residia no país, sendo adquirido com recursos próprios.

Em relação ao impacto do medicamento, a representante informou que a pontuação na escala mFARS reduziu de 32/93 para 30/93. Também percebeu melhora na fala e na disposição, além de conseguir retomar as aulas da faculdade. Quanto aos eventos adversos, relatou aumento dos níveis de colesterol, mas reconheceu que não realizou mudanças em sua alimentação durante o tratamento. Com a interrupção do tratamento em janeiro de 2026, pontuou ter observado

uma pequena piora, porém perceptível, especialmente ao manusear talheres. Afirmou que o uso de cadeira de rodas é uma realidade que se aproxima e demonstra preocupação em relação à manutenção de sua autonomia, acreditando que o medicamento possa contribuir para preservá-la.

A representante foi questionada sobre os tratamentos que segue realizando. Na ocasião, informou que mantém acompanhamento com fisioterapia, fonoaudiologia, neurologista e cardiologista, além da realização periódica de exames laboratoriais. O Comitê questionou sobre o custo do medicamento, se a família havia tentado obtê-lo via SUS, se havia encontrado alguma barreira nesse processo e se mantinha contato com outras pessoas com a mesma condição de saúde que tiveram ou não acesso ao medicamento. A representante informou que o custo era de aproximadamente 100 mil dólares por três frascos, cada um contendo 90 comprimidos. Relatou que a família judicializou o acesso ao medicamento, porém o pedido foi negado. Acrescentou que conhece outros pacientes que conseguiram acesso ao omaveloxolona por meio de judicialização e que atualmente fazem uso.

Na sequência, foi questionada sobre a melhora dos sintomas durante o período de uso do medicamento, especialmente em relação à fala. Informou que observou melhora significativa na forma de se comunicar, aspecto que anteriormente lhe causava muita insegurança. Quando questionada sobre outras mudanças percebidas, relatou melhora dos tremores, na fala e na marcha, destacando que esta última foi muito significativa, pois passou a se sentir mais firme e segura ao caminhar.

A representante foi ainda questionada sobre situações constrangedoras vivenciadas em decorrência da ataxia de Friedreich. Mencionou ter sido confundida com alguém alcoolizado e que passou a utilizar muletas não por necessidade, mas pelo receio de vivenciar novamente situações semelhantes. Também foi questionada sobre o acompanhamento com equipe multiprofissional. Informou que já fazia acompanhamento com psicólogo quando recebeu o diagnóstico, mas que o interrompeu neste ano por se sentir bem. Relatou, ainda, que faz academia com o objetivo de fortalecimento muscular. Ao ser questionada se permanecia cursando a faculdade, informou que trancou o curso em razão das dificuldades de locomoção, de escrita, da falta e de disposição. Por fim, foi questionada sobre histórico familiar da condição de saúde, pontuando que não há outros familiares com diagnóstico semelhante.

O vídeo da 155ª Reunião Ordinária com o relato da representante pode ser acessado [aqui](#).

Discussão da Conitec na apreciação inicial

Durante a apreciação inicial, o Comitê discutiu os principais aspectos relacionados à incerteza econômica da tecnologia, destacando o custo adicional em relação aos benefícios esperados, estimado em cerca de R\$ 13,7 milhões para cada ano adicional de vida com qualidade, valor significativamente superior aos limiares de custo-efetividade usualmente praticados no SUS. Também foi ressaltado o elevado impacto orçamentário para o SUS, estimado em R\$ 1,2 bilhão acumulado em cinco anos, com desembolso superior a R\$ 540 milhões já no primeiro ano.

Além disso, foram apontadas limitações nas evidências clínicas disponíveis. Os estudos utilizaram principalmente medidas indiretas para avaliar os benefícios da tecnologia e, em parte, compararam grupos que não foram definidos de forma aleatória, o que aumenta a incerteza sobre seus efeitos no longo prazo. Também não foram demonstrados ganhos diretos na sobrevida global nem diferenças estatisticamente significativas nos testes objetivos que avaliaram mobilidade e velocidade.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, da omaveloxolona para o tratamento da ataxia de Friedreich em pacientes com idade igual ou superior a 16 anos. Esse tema foi discutido durante a 155ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 2, 3 e 4 de setembro de 2026. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou a elevada incerteza econômica, decorrente do alto custo por ano de vida ajustado pela qualidade (QALY) e impacto orçamentário, e nas limitações das evidências clínicas quanto aos benefícios de longo prazo.

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 101, durante 20 dias, no período de 1/10/2026 a 20/10/2026, 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](#).

Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 24/08/2026 para o omaveloxolona (SkyclarysTM®):

Tratamento da ataxia de Friedreich em adultos e adolescentes com 16 anos de idade ou mais.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento da ataxia de Friedreich em adultos e adolescentes com 16 anos de idade ou mais.

*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.