



RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

LUMASIRANA SÓDICA

para o tratamento de pacientes com Hiperoxalúria Primária tipo 1 (HP1)

2025 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 e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde –
SECTICS

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

Aérica de Figueiredo Pereira Meneses

Andrija Oliveira Almeida

Clarice Moreira Portugal

Luiza Nogueira Losco

Marina Kuebler Silva

Melina Sampaio de Ramos Barros

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Bruna Cabral de Pina Viana

Gleyson Navarro Alves

José Octávio Beutel

Laura Mendes Ribeiro

Mariana Dartora

Layout e diagramação

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

LUMASIRANA SÓDICA

para o tratamento de pacientes com Hiperoxalúria Primária tipo 1 (HP1)

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 25/09/2024:

Tratamento da Hiperoxalúria Primária tipo 1 (HP1) para reduzir os níveis de oxalato urinário e plasmático em pacientes pediátricos e adultos.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Lumasirana para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com HP1.

Recomendação final da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou a não incorporação de lumasirana para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com Hiperoxalúria Primária Tipo 1.

Decisão final:

PORTARIA SECTICS/MS Nº 63, de 21 de agosto de 2025: Torna pública a decisão de não incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), a lumasirana para o tratamento da hiperoxalúria primária tipo 1.

*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 hiperoxalúria primária tipo 1?

A Hiperoxalúria Primária tipo 1 (HP1) é uma doença hereditária e ultrarrara, caracterizada pela presença de mutações genéticas que provocam deficiência na atividade da enzima hepática alanina-glioxilato aminotransferase e geram produção excessiva de oxalato de cálcio no fígado, uma substância composta pela combinação de cálcio e oxalato. Essa superprodução impacta negativamente na concentração de cálcio na urina e na sua eliminação pelos rins.

As principais manifestações da HP1 são formação de pedra e acúmulo de cálcio nos rins, doença renal crônica e falência renal, envolvendo presença de sangue na urina, ardência ao urinar, dor, infecção do trato urinário ou passagem de cálculos. Esses sintomas podem ser acompanhados de oxalose sistêmica, que consiste no acúmulo de oxalato de cálcio em diferentes órgãos, a exemplo dos olhos, dos ossos, do coração e dos tecidos moles. Nesse caso, podem ocorrer comprometimento dos nervos, hipotireoidismo, lesões na pele e em outras partes do corpo causadas por vasculite, além de alterações dos batimentos e inflamação

do músculo cardíaco quando há acúmulo de cristais no coração. Em crianças, os sintomas podem incluir doença renal com acúmulo de cálcio nos rins ligeiramente sintomática até a falência renal em estágio terminal de início muito precoce, combinada com oxalose sistêmica.

Estima-se a existência de 1 a 3 casos de HP1 por 1 milhão de pessoas na Europa e América do Norte. No Brasil, há registro de 21 pacientes brasileiros com HP1, sendo 71% deles com doença renal em estágio 5, caracterizada por falência renal e necessidade de hemodiálise e transplante renal.



O padrão mais preciso e confiável para diagnóstico da HP1 são os testes genéticos, que devem ser realizados em qualquer paciente com suspeita da doença, independentemente do grau de comprometimento dos rins. Além disso, investigação de HP1 deve ser considerada em qualquer criança que apresente cálculos renais ou acúmulo de cálcio nos rins e em adultos com eventos de repetição de cálculos de oxalato de cálcio e queda da função renal.

Como os pacientes com HP1 são tratados no SUS?

As principais diretrizes internacionais recomendam inicialmente o tratamento conservador com o objetivo de diminuir a formação de cristais de oxalato e aumentar a sua eliminação pelos rins. Desse modo, são recomendados a adoção de dieta restritiva de alimentos com alto teor de oxalato, o aumento da hidratação e o uso oral de citrato de potássio. Em caso de progressão da doença, são preconizadas terapias para suprir a função renal, a exemplo de diálise e transplante de rim isoladamente ou de rim e de fígado de forma combinada.

Atualmente, no Sistema Único de Saúde (SUS), não há medicamentos específicos disponíveis para o tratamento de HP1 nem Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) com definição de linhas de cuidado para esses pacientes.

Medicamento analisado: lumasirana sódica

A AInylam Pharmaceuticals solicitou à Conitec a avaliação da lumasirana sódica para tratamento de Hiperoxalúria Primária tipo 1.

A lumasirana sódica atua reduzindo os níveis de oxalato na urina e no sangue, pois é uma terapia

de RNA de interferência que atua na transmissão e na tradução de informações genéticas, reduzindo os níveis de glicolato oxidase, uma enzima hepática responsável pelo aumento do oxalato pela degradação do glioxilato. A tecnologia possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) com indicação para tratamento de HP1 para reduzir os níveis de oxalato urinário e plasmático em pacientes pediátricos e adultos.

Os estudos incluídos na análise estão relacionados ao programa de desenvolvimento clínico de lumasirana sódica e sugerem que o uso do medicamento avaliado reduziu a eliminação de oxalato pela urina e a concentração de cristais em pacientes adultos e pediátricos e em pacientes com doença renal avançada.

Na avaliação econômica, o demandante considerou custos médicos diretos referentes ao tratamento e ao monitoramento da doença, analisando como desfechos os anos de vida ganhos e os anos de vida ganhos com qualidade. O preço proposto para a incorporação do medicamento foi de R\$ 364.303,25 por frasco-ampola de 189 mg/mL x 0,5 mL, para o cenário em que o medicamento fosse adquirido no mercado nacional, e R\$ 259.570,54, para a mesma apresentação, na aquisição por importação direta.

De acordo com avaliação econômica, na comparação entre benefício clínico extra e custos adicionais, a lumasirana apresentou custo entre R\$ 6,1 milhões e R\$ 8,6 milhões por ano de vida com saúde perfeita (do QALY, anos de vida ajustados por qualidade) no cenário em que o medicamento é adquirido por importação direta (R\$ 364.303,25 por frasco-ampola de 189 mg/mL x 0,5 mL) ou no mercado nacional (R\$ 259.570,54 por frasco-ampola de 189 mg/mL x 0,5 mL), respectivamente. Ademais, quando comparada ao melhor cuidado de suporte disponível, a lumasirana possui custo elevado e mostrou-se mais efetiva.

Estima-se que a incorporação da lumasirana represente gastos adicionais de R\$ 34 a 48 milhões para o SUS no primeiro ano de incorporação do uso do medicamento e um acumulado de R\$ 230 a 323 milhões em cinco anos.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 6/2025 foi aberta durante o período de 10/1/2025 a 20/1/2025 e houve seis inscritos. Os representantes titular e suplentes foram definidos por sorteio. O participante informou que tem 26 anos, reside em Itaquara (RS) e foi submetido a um transplante renal em 2013, quando tinha por volta de 13 anos de idade. Segundo ele, seis meses depois da realização do transplante, detectou-se a presença de oxalato no rim por meio de uma biópsia e ele foi diagnosticado com HP1.

O participante relatou piora do seu quadro de saúde entre 2013 e 2018, com o depósito de

oxalato no rim transplantado, o que causou falência das funções renais e necessidade de hemodiálise. A partir de 2020, apresentou sintomas de oxalose sistêmica com a ocorrência de acúmulo de oxalato nos ossos, no coração e nos pulmões, causando piora significativa de sintomas como dor nos ossos e limitação para caminhar, levando-o à necessidade de uso de cadeira de rodas para se locomover.

Ele afirmou que o tratamento medicamentoso para controle da HP1 era feito com piridoxina. Assim, em 2023, começou a utilizar o lumasirana e nesse mesmo ano foram administradas as primeiras quatro doses nos meses de setembro, outubro, novembro e dezembro. Segundo o representante, a partir da aplicação da segunda dose da tecnologia avaliada em setembro de 2023, ele percebeu melhoras dos sintomas, especialmente das dores incapacitantes nos ossos. Além disso, também informou que a melhora do quadro clínico reduziu as internações hospitalares. Sobre o medicamento avaliado, ele relatou que o acesso ocorreu por via judicial com o auxílio de uma associação de pacientes. Entretanto, ele pontuou que o tratamento tem sido descontinuado em virtude da irregularidade do fornecimento da tecnologia. De acordo com o participante, houve atraso de dez meses para a manutenção do tratamento, que deveria obedecer a um intervalo trimestral para aplicação das próximas doses. Com a interrupção do uso do medicamento, ele relatou piora das manifestações clínicas nesse período, sobretudo, das dores nos ossos e das dificuldades para andar.

Ao ser perguntado sobre os sintomas da HP1 e as hipóteses diagnósticas iniciais, respondeu que teve falência das funções renais ainda na adolescência e a identificação da HP1 somente ocorreu após o transplante. Por fim, ao ser questionado sobre os efeitos da tecnologia avaliada, mencionou como benefícios a melhora dos sintomas e o controle do acúmulo de oxalato no corpo, além de referir-se à ausência de eventos adversos.

O vídeo da 139ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, de lumasirana para o tratamento de pacientes com hiperoxalúria primário tipo 1. Esse tema foi discutido durante a 139ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 2 a 4 de abril de 2025. Na ocasião, o Comitê considerou as relevantes incertezas nas evidências clínicas e a elevada proposta de preço, com altos valores na relação entre o custo extra do tratamento e o ganho adicional na qualidade de vida e na relação entre o custo adicional e o benefício extra do medicamento avaliado, mesmo no contexto de doença ultrarrara.

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

- Como foi o processo para o diagnóstico da condição de saúde?
- Houve melhora de sintomas da HP1 com o uso de lumasirana? Se sim, quais?
- O uso de lumasirana reduziu tratamentos medicamentosos e não medicamentosos?
- Apresentou eventos adversos com o uso do lumasirana? Se sim, quais?
- O uso de lumasirana gerou melhora na qualidade de vida do paciente? Se sim, em que aspectos?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 28, durante 20 dias, no período de 15/5/2025 a 3/6/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 126 contribuições e 97,6% dos respondentes manifestaram-se favoravelmente à incorporação da tecnologia avaliada, com base em opiniões, tais como efetividade do medicamento na mudança do curso natural da HP1, gravidade da doença, dificuldade de acesso, ausência de tratamento específico para a condição de saúde no SUS e economia para o sistema de saúde. Como efeitos positivos e facilidades associados à lumasirana, foram mencionados o controle da progressão da doença, a diminuição de uso de outras tecnologias e a adesão ao tratamento. A dificuldade de acesso devido ao alto custo e ao atraso do fornecimento do medicamento por via judicial foi citada como principal efeito negativo da tecnologia avaliada.

Sobre a avaliação econômica, na consulta pública, o demandante apresentou proposta de compartilhamento de risco e uma nova proposta de preço, considerando um desconto fixo de 14% sobre o preço estabelecido pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Dessa forma, os preços de um frasco variaram entre R\$ 248.034,07 (Preço Máximo de Venda ao Governo sem imposto) a R\$ 348.112,00 (Preço Máximo de Venda ao Governo 18%). Entretanto, o impacto orçamentário foi considerado elevado, mesmo diante da proposta de acordo de compartilhamento de risco apresentada pelo fabricante. Desse modo, os resultados da consulta pública não alteraram o entendimento do Comitê e a recomendação inicial da Conitec foi mantida.

Recomendação final da Conitec

A 23ª Reunião Extraordinária da Conitec foi realizada no dia 30 de junho de 2025. O Comitê de Medicamentos recomendou a não incorporação, ao SUS, da lumasirana para tratamento

de Hiperoxalúria Primária tipo 1 (HP1) em pacientes adultos e pediátricos. Na ocasião, o Comitê considerou o impacto orçamentário elevado, mesmo diante da proposta de acordo de compartilhamento de risco apresentada pela empresa demandante. Ademais, os membros reconheceram a eficácia da lumasirana na redução dos níveis de oxalato plasmático e urinário, evidenciada como um efeito clínico relevante. No entanto, enfatizaram a questão do custo de oportunidade e os desafios relacionados ao financiamento público no contexto do sistema de saúde brasileiro.

Decisão final

Com base na recomendação da Conitec, a secretária de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela não incorporação, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), da lumasirana para o tratamento da hiperoxalúria primária tipo 1.

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