

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

EMICIZUMABE

para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento no Sistema Único de Saúde (SUS)

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

Andrija Oliveira Almeida

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Gleyson Navarro Alves

Laura Mendes Ribeiro

Mariana Dartora

Layout e diagramação

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

EMICIZUMABE

para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento no Sistema Único de Saúde (SUS)

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 04/06/2025 para emicizumabe (Hemcibra®):

Profilaxia de rotina, para prevenir sangramento ou reduzir a frequência de episódios de sangramento em adultos e crianças com hemofilia A (deficiência congênita do fator VIII) com ou sem inibidores do fator VIII (FVIII). Hemcibra® pode ser utilizado por todas as faixas etárias.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Emicizumabe para tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento.

Recomendação final da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou a incorporação de emicizumabe para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento.

Decisão final:

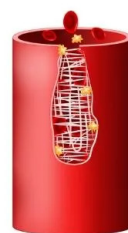
PORTARIA SCTIE/MS Nº 94: Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o emicizumabe para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento.

*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 A?

A Hemofilia A (HA) é uma condição de saúde rara que costuma ter origem hereditária e é causada pelo mau funcionamento ou deficiência do Fator VIII (FVIII), uma proteína que atua na coagulação sanguínea, uma reação essencial para evitar ou conter sangramentos. Qualquer disfunção no FVIII pode acarretar sangramentos, que podem ter origem espontânea ou ocorrer de forma

Hemofilia



Coagulação normal



Deficiência na coagulação

Fonte: Brasil Escola, s.d.

desproporcional em resposta a algum trauma ou evento cirúrgico, por vezes ocasionando sequelas graves ou mesmo levando à morte.

O diagnóstico da HA ocorre geralmente nos primeiros anos de vida e envolve a análise do histórico familiar do paciente e a observação da gravidade e dos locais de sangramento. A confirmação é obtida por meio de exames laboratoriais, especialmente aqueles que medem o tempo que demora para o sangue coagular e a atividade coagulante do FVIII.

A HA pode ser classificada como leve, moderada ou grave. A concentração de FVIII no sangue é o que vai determinar a gravidade dos sangramentos e o tempo de coagulação. A HA classificada como grave é aquela em que o FVIII fica abaixo de 1% do normal. As manifestações da HA grave consistem em sangramentos nas articulações (hemartrose) ou músculos (hematomas) provocados por traumas e ainda aqueles que ocorrem sem causa aparente, ou seja, de forma espontânea.

Com base em dados disponíveis no SUS, estima-se que em 2023 existiam no Brasil um total de 11.618 pacientes com HA, a maioria deles apresentando a forma grave da doença. Dentre esses, cerca de 5,2% estavam na faixa etária entre 0 e 6 anos, o que compreende o quantitativo de 716 indivíduos.

Como é feito o tratamento profilático da hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento, no SUS?

A profilaxia, ou prevenção, de sangramentos para pacientes com HA grave no SUS é feita por meio da infusão intravenosa de concentrado de FVIII. A dosagem e a frequência de uso são definidas conforme a necessidade de cada paciente. Entretanto, mesmo realizando a profilaxia adequadamente, esses pacientes ainda correm o risco de apresentar sangramentos espontâneos. Isso ocorre porque a ação do medicamento no corpo é curta, e no intervalo entre as infusões, o nível de FVIII decai e pode ficar abaixo de 2%. Com isso, além dos sangramentos espontâneos, há possibilidade de ocorrerem alterações no organismo, as quais, ainda que não sejam perceptíveis, podem acarretar prejuízos para a saúde, como a progressão constante dos danos articulares ao longo da vida.

Alguns pacientes submetidos à reposição do FVIII, por sua vez, podem desenvolver inibidores, que são proteínas produzidas pelo corpo que bloqueiam a ação do FVIII administrado, aumentando o risco de hemorragias.

O tratamento de pacientes com HA, assim como a profilaxia, deve ocorrer em Centros Especializados. Os pacientes devem ter seus dados incluídos no Sistema Hemovida Web

Coagulopatia, um cadastro nacional (do Ministério da Saúde) de casos de distúrbios da coagulação sanguínea, que tem a finalidade de realizar o acompanhamento desses indivíduos e fazer a gestão dos recursos necessários para o tratamento.

Medicamento analisado: emicizumabe

A incorporação de emicizumabe no SUS para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de FVIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento foi demandada pela Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.

O emicizumabe simula a ação do FVIII, mas como possui um mecanismo de ação diferente, consegue desempenhar a mesma função sem risco de provocar o surgimento de inibidores. A duração do seu efeito é mais longa do que do concentrado do FVIII, assim, o intervalo entre as aplicações, feitas por infusão subcutânea, é maior, e seu efeito persiste por alguns dias mesmo mediante a suspensão do uso. Com isso, promove uma diminuição do risco de sangramento e um melhor controle da doença.

A evidência clínica, considerada de alta qualidade, indicou que emicizumabe diminui sangramentos e evita que ocorram de forma espontânea. A maioria dos participantes dos estudos não apresentou sangramento dentro do crânio ou nas articulações. Um estudo observou uma redução de 68% na taxa anual de sangramento entre usuários de emicizumabe em comparação com aqueles que usam o concentrado de FVIII. Os estudos também indicaram que o medicamento em avaliação tem bom perfil de segurança, com efeitos adversos manejáveis.

Para a avaliação econômica, foi realizada uma análise para comparar o custo do emicizumabe com os benefícios que ele traz para a qualidade de vida do paciente (análise de custo-utilidade), em relação ao FVIII. O resultado indicou um acréscimo de R\$ 1.716.401 por QALY, uma medida que estima a quantidade de anos vividos com qualidade mediante o uso de uma tecnologia. Uma análise complementar para avaliar o custo por sangramento evitado demonstrou uma economia de 36 reais mediante uso de profilaxia com emicizumabe em relação ao tratamento sob demanda (efetuado quando acontece um sangramento) quando comparado à profilaxia feita com FVIII também em relação ao tratamento sob demanda.

Considerando apenas a população mencionada na demanda, a análise de impacto orçamentário estabeleceu que a incorporação de emicizumabe provocaria um acréscimo de R\$ 526 milhões ao orçamento do SUS, em cinco anos. Entretanto, o demandante também realizou uma análise mais ampla, considerando que o medicamento já está disponível no SUS para profilaxia em casos de HA moderada ou grave que apresentam inibidores do FVIII e para tratamento

daqueles que apresentam inibidores ao FVIII e são refratários à dessensibilização, que é feita por meio da exposição constante do organismo ao FVIII. Assim, levando em consideração tanto os pacientes da indicação demandada quanto aqueles da indicação já incorporada, foi concluído que haveria economia de 204 milhões de reais em cinco anos, o que representa uma diminuição de 5% em relação ao gasto atual.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 35/2025 esteve aberta entre 1º e 10 de abril de 2025. 11 pessoas se inscreveram. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de sorteio realizado em plataforma digital com transmissão em tempo real e gravação enviada para todos os inscritos.

A representante titular relatou que seu filho, hoje com oito meses, possui hemofilia A grave, sendo o primeiro caso da doença ocorrido em sua família. Os sintomas tiveram início desde o primeiro dia de vida, quando o bebê recebeu a vacina contra hepatite B e aparentou sofrer uma dor incomum, à qual a pediatra atribuiu a um erro de aplicação. Quatro dias após o nascimento foi feita uma punção para realizar o teste do pezinho, mas o bebê apresentou uma dor muito forte no braço, que logo depois ficou inchado e roxo. O quadro foi piorando, alguns exames foram realizados e um deles indicou alteração no tempo de coagulação. Com isso o bebê foi encaminhado para a UTI. Os médicos suspeitaram de síndrome compartimental e de hemorragia intracraniana, com temor da instalação de sequelas físicas e cognitivas. Foi feita aplicação de plasma para sanar o quadro e o acesso só foi possível por meio de uma veia situada no pé do bebê.

A representante titular relatou que foram encaminhados para um hemocentro situado em outra cidade, onde receberam algumas caixas de fator VIII e orientações sobre a utilização. Ela prosseguiu ponderando que usar o fator VIII com frequência envolveria o risco sucessivo de ocorrer a arrebentação de veias, devido ao volume do medicamento e à dificuldade de acesso, além de implicar uma busca contínua por veias alternativas. Neste sentido, cogitou-se usar, por exemplo, uma veia no couro cabeludo. Ela também recebeu a sugestão de colocar um acesso no coração da criança. No retorno à cidade onde reside, foi a um hospital buscar ajuda especializada para aplicar o fator VIII, mas se deparou com a recusa por parte de profissionais, por receio de as veias do bebê sofrerem danos no decurso da aplicação.

Informou que ficou muito apreensiva com toda a situação e continuou seu relato dizendo que o hemocentro ficava longe de sua casa. Prosseguiu explicando que necessitava que o fator VIII fosse aplicado, de forma profilática, para seu bebê poder receber outras vacinas e que a ida constante ao hemocentro inviabilizaria sua permanência no trabalho. Uma hematologista

pediátrica receitou então o emicizumabe.

Contou que ouviu histórias animadoras sobre o medicamento, conversou com especialistas, leu estudos e buscou o máximo possível de informações. Constatou que seriam necessárias menos aplicações, em comparação ao fator VIII, para realizar as profilaxias. Com isso, resolveu comprar o medicamento. O bebê tinha cerca de três meses quando iniciou o uso emicizumabe, cuja primeira aplicação foi feita no hemocentro. Após as doses iniciais, chamadas “de ataque”, o bebê foi liberado para tomar as vacinas. Também foi possível iniciar contato com o irmão mais velho, de dois anos, algo que era evitado por medo da ocorrência de movimentos bruscos que pudessem resultar em hematomas ou provocar sangramentos internos.

A participante prosseguiu compartilhando histórias de dificuldades de outras mães em situação similar à sua e de crianças com traumas e sequelas, além de dificuldades relacionadas ao uso do fator VIII. Explicou que a meia vida do medicamento é de oito horas, que algumas famílias precisam fazer infusões diárias e ainda assim o risco de sangramento permanece. Desenvolver marcas roxas é comum e, além disso, e ocorrem sangramentos espontâneos. Muitas vezes é preciso voltar para o hospital e a família vive sob tensão e até mesmo com medo de cometer erro na aplicação do medicamento. Mães vivem sem poder trabalhar, muitas crianças não podem ir à escola, o que pode gerar dificuldades para inserção no mercado de trabalho, no futuro. Ela considerou que a utilização de emicizumabe, por ser subcutânea e mais fácil de efetuar, poderia evitar tudo isso, constituindo uma profilaxia mais digna, de acordo com suas palavras.

Após finalizar o relato, em resposta às perguntas do Comitê, ela informou que o armazenamento de emicizumabe é fácil, com o medicamento permanecendo na geladeira até o momento do uso. Contou que após dose de ataque, que ocorreu em quatro semanas consecutivas, o uso se tornou quinzenal. Avaliou que a aplicação de emicizumabe não exige nenhuma medida especial e completou seu relato dizendo que depois do emicizumabe seu bebê não teve mais episódios de sangramento, não apresentou inchaços e que leva a vida como se não tivesse a hemofilia.

O vídeo da 142ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, de emicizumabe para tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII (FVIII) inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento. Esse tema, que já havia sido apreciado em 2023, foi discutido durante a

142ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 02, 03 e 04 de julho de 2025. No dia 04 de julho, o Comitê de Medicamentos apreciou a nova proposta comercial apresentada pela empresa, a delimitação de uma nova população, a inclusão de novos estudos e a reformulação dos modelos econômicos. Para emitir a recomendação, considerou fatores como a necessidade de rever o impacto orçamentário, de ampliar o Monitoramento do Horizonte Tecnológico (MHT), de esclarecer melhor a proposta comercial e de dialogar com outras áreas do Ministério da Saúde e com Hemobrás a fim de obter mais informações a respeito da produção do fator VIII, como dados de demanda e de eventos adversos, por exemplo, e estabelecer a carência de produção de mais um tipo de hemoderivado.

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

- A criança fez uso do fator VIII? Por que não conseguiu manter a profilaxia?
- Qual foi o critério para o médico decidir pelo emicizumabe?
- Com quantos anos/meses a criança começou a usar emicizumabe?
- Qual é a frequência de uso? Semanal, quinzenal ou mensal?
- Como é feita a aplicação? É necessário treinamento ou recorrer a um profissional especializado?
- O uso do emicizumabe modificou / diminuiu os exames e procedimentos necessários para o acompanhamento clínico?
- Que exames ou procedimentos você precisa fazer para monitorar o uso do emicizumabe?
- Como é feito o armazenamento e a conservação do emicizumabe?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 73, durante 20 dias, no período de 26/8/2025 a 15/9/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 2.257 contribuições, das quais 2.220 discordaram da recomendação inicial da Conitec. Os argumentos em prol da incorporação mencionaram a importância de ampliar o acesso à tecnologia, a eficácia e a efetividade do emicizumabe, a segurança, as comodidades posológica e de uso e a possibilidade de economia de recursos e de inovação para o SUS. Os obstáculos ao acesso, os eventos adversos, os aspectos relacionados ao armazenamento do medicamento e à necessidade de monitoramento laboratorial contínuo foram os aspectos negativos citados pelos respondentes que tiveram experiência com emicizumabe. Não houve acréscimo de novas evidências, mas houve uma proposta de redução de preço. Com isso, o impacto orçamentário foi recalculado, totalizando agora R\$74 milhões no primeiro ano e

R\$470 milhões acumulados em 5 anos. Entretanto, como a tecnologia já está incorporada para outras indicações, essa redução de preços acabaria representando uma economia de recursos na escala de R\$71 milhões no primeiro ano e R\$423 milhões, em cinco anos, para o orçamento da Coordenação-Geral de Sangue e Hemoderivados-CGSH.

Recomendação final da Conitec

A 146ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada no dia 4 de dezembro de 2025. Neste dia, o Comitê de Medicamentos considerou a economia de recursos financeiros, de maneira global, e o atendimento da necessidade da população infantil que não responde bem ao fator VIII para mudar a indicação inicial e recomendar, de forma unânime, a incorporação de emicizumabe para o tratamento profilático de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento no Sistema Único de Saúde.

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