

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

SATRALIZUMABE

para o tratamento de pacientes com
distúrbio do espectro da neuromielite óptica

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

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

SATRALIZUMABE

para o tratamento de pacientes com
distúrbio do espectro da neuromielite óptica

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 21/12/2023:

Tratamento de doenças do espectro da neuromielite óptica (ENMO) em pacientes adultos e adolescentes a partir de 12 anos de idade soropositivos para anti-aquaporina-4-IgG (IgG-AQP4). Satralizumabe não é destinado ao tratamento do surto da doença na fase de recidiva aguda.

Demanda recebida para avaliação da Conitec*:

Pacientes adultos e adolescentes a partir de 12 anos de idade soropositivos para IgG anti-aquaporina-4 (AQP4- IgG).

Recomendação final da Conitec:

Os membros do Comitê de Medicamentos da Conitec, na 138ª Reunião Ordinária, realizada no dia 12 de março de 2025, deliberaram, por maioria simples, recomendar a não incorporação do satralizumabe para tratamento de DENMO em pacientes adultos e adolescentes a partir de 12 anos de idade soropositivos para IgG anti-aquaporina-4 (AQP4-IgG) no SUS.

Decisão final:

PORTARIA SECTICS/MS Nº 32: Torna pública a decisão de não incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o satralizumabe para o tratamento de pacientes com distúrbio do espectro da neuromielite óptica.

*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.

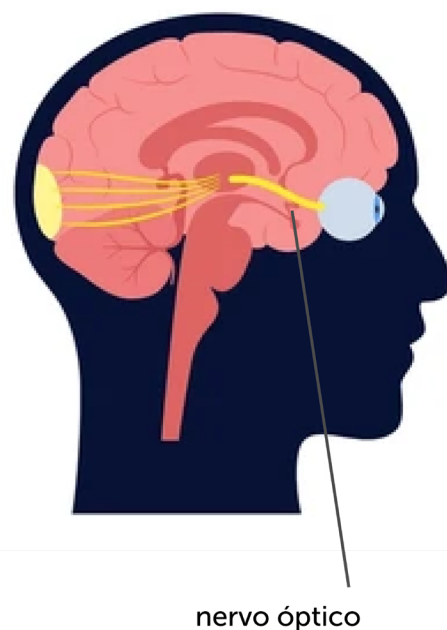
O que é o distúrbio do espectro da neuromielite óptica?

O Distúrbio do Espectro da Neuromielite Óptica (DENMO) engloba um grupo de condições inflamatórias autoimunes raras e crônicas que afetam o Sistema Nervoso Central (SNC).

Entre 33 e 80% dos pacientes com DENMO possuem o anticorpo AQP4-IgG, cujo alvo é a proteína aquaporina 4 (AQP4). A AQP4 é uma proteína muito presente no SNC. Os anticorpos AQP4-IgG danificam as AQP4 dos astrócitos – células responsáveis por, entre outras coisas, sustentar e nutrir os neurônios. Com isso, ocorrem danos nessas células e também nos oligodendrócitos, que produzem a bainha de mielina, substância fundamental para a comunicação entre os neurônios.

O DENMO se caracteriza por surtos recorrentes. Um surto pode ser entendido como um episódio em que ressurgem os sintomas de forma mais intensa. Assim, acontece uma piora importante da função neurológica por mais de 24 horas. A recuperação pode ser completa (22% dos casos), parcial ou ausente (7% dos casos). Considera-se que houve um novo surto quando há um intervalo de mais de quatro semanas sem manifestações clínicas entre um episódio e outro. Caso contrário, os eventos ocorridos são tidos como parte do mesmo surto.

Durante os surtos, é frequente a inflamação do nervo óptico ou da medula espinhal. Esses processos inflamatórios podem levar a um acúmulo de incapacidade funcional devido à ocorrência de paralisia motora, de dor crônica relacionada a danos nos nervos, de insuficiência respiratória e de perda visual. Vale destacar que, quando o DENMO não é tratado, cerca de 20% dos pacientes podem ficar dependentes de cadeira de rodas em um período de seis anos.



Os impactos na saúde a longo prazo, como perda de visão e mortalidade, estão relacionados à gravidade inicial e à quantidade dos surtos. Fatores como idade mais avançada no início da doença, associação com outras doenças autoimunes e afrodescendência parecem contribuir para um pior desenrolar dessa condição de saúde. Ainda assim, quanto mais cedo possível se inicia o tratamento imunossupressor, maiores são as chances de uma melhor evolução do quadro clínico.

A média de idade de manifestação inicial dos sintomas gira em torno de 40 anos. Entretanto, os sintomas podem acometer pessoas em extremos de idade. Além disso, a ocorrência do DENMO varia de acordo com fatores, tais como região geográfica, gênero e etnia, sendo predominante em mulheres não-brancas.

Globalmente, estima-se que haja 1,51 caso de DENMO para cada 100 mil habitantes. No caso de mulheres, esse quantitativo chega a 2,82 casos por 100 mil habitantes, enquanto entre os homens seria 0,58 caso por 100 mil habitantes. Ou seja, para cada homem com DENMO, haveria de três a nove casos em mulheres. No Brasil, três estudos calcularam a ocorrência de 0,37 a 4,52 casos por 100 mil habitantes.

Como os pacientes com distúrbio do espectro da neuromielite óptica são tratados no SUS?

O objetivo principal do tratamento da DENMO é a prevenção de surtos e a redução do impacto dos sintomas. Com base nisso, é possível distinguir o tratamento agudo, que busca encerrar os surtos e limitar os seus danos ao SNC, do tratamento de longo prazo, que visa a evitar o surgimento de novos surtos e de incapacidades permanentes.

Até o momento não há no SUS um protocolo de tratamento e cuidado ou alternativas terapêuticas específicas para DENMO.

Medicamento analisado: satralizumabe

A empresa Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A solicitou à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) a avaliação do satralizumabe para o tratamento do DENMO. O satralizumabe é um anticorpo monoclonal (substância que ajuda na defesa do organismo) que bloqueia a ação da interleucina-6 (IL-6).

A IL-6 é um tipo de proteína envolvida nos processos inflamatórios do corpo, inclusive na produção de anticorpos que atacam a AQP4, os quais, como já visto, podem causar DENMO. Assim, o satralizumabe diminuiria a atuação da IL-6 e, consequentemente, a manifestação do DENMO.

No que diz respeito às evidências clínicas, viu-se que o uso do satralizumabe produziu uma significativa redução no risco de novos surtos. Em um dos estudos, essa diminuição foi de 79% em comparação com o grupo placebo (isto é, que não recebeu nenhuma intervenção terapêutica) e até 85% dos pacientes permaneceram sem surtos em um período de 144 semanas. Em outro, os pacientes tratados com satralizumabe tiveram uma redução de 74% no risco de surtos. Além disso, 83% dos pacientes não apresentaram surto após 48 semanas e 77% não tiveram surtos dentro de 144 semanas.

O medicamento também contribuiu para o controle de sintomas, como dor, fadiga e incapacidade, embora essa diferença não tenha sido considerada relevante em termos quantitativos.

Em se tratando da segurança da tecnologia avaliada, em um dos estudos citados acima, 90% dos pacientes do grupo satralizumabe experimentaram ao menos um evento adverso; enquanto no outro, essa taxa foi de 92%. Esses eventos adversos incluíram eventos graves e severos, que afetaram cerca de 38% dos pacientes tratados com satralizumabe, chegando a haver casos de interrupção do tratamento por causa deles.

A qualidade da evidência foi tida como alta para a ocorrência de surtos; moderada para avaliar incapacidade, quantidade de surtos por ano e eventos adversos; e baixa para dor e fadiga.

Sob o ponto de vista econômico, o demandante estimou que a adoção do satralizumabe implicaria um gasto de aproximadamente R\$ 2,1 milhões para a obtenção de um ano de vida com qualidade. No entanto, como foram observados problemas importantes na análise econômica, ela foi refeita. Sendo assim, percebeu-se que, para cada ano de vida com qualidade, haveria um custo na casa de R\$ 2,4 milhões.

Caso sejam excluídos os tributos, esse valor ficaria em torno de R\$ 1,7 milhão. Vale destacar, porém, que o satralizumabe não possui isenção de tributos, tais como o Imposto sobre Circulação de Mercadorias e Serviços (ICMS), o Programa de Incentivo Social (PIS) e a Contribuição para o Financiamento da Seguridade Social (Cofins).

Para estimar o impacto da possível incorporação para os cofres públicos, o demandante estabeleceu dois cenários, no que se refere ao percentual de vendas que a empresa possui no mercado:

- Cenário proposto: 10% (ano 1), 15% (ano 2), 25% (ano 3), 35% (ano 4) e 55% (ano 5).
- Cenário alternativo: 15% (ano 1), 30% (ano 2), 45% (ano 3), 60% (ano 4) e 75% (ano 5).

No cenário proposto, a incorporação do satralizumabe geraria um ônus de, aproximadamente, R\$ 84,7 milhões no primeiro ano e de R\$ 944,7 milhões ao longo de cinco anos. Já no cenário alternativo, os gastos ficariam na casa de R\$ 127 milhões no primeiro ano, podendo chegar a cerca de R\$ 1,47 bilhão em cinco anos.

Considerando o preço de satralizumabe livre de tributos, a sua incorporação resultaria em um aumento de custos para o orçamento público aproximado de R\$ 674 milhões ao final de cinco anos para o cenário proposto e de R\$ 1,05 bilhão para o cenário alternativo.

No entanto, com a realização de alguns ajustes nesses cálculos, foi constatado que a incorporação do satralizumabe poderia acarretar um acréscimo de custos em torno de R\$ 973 milhões em cinco anos para o cenário proposto e de R\$ 1,5 bilhão no cenário alternativo. No caso de uma eventual desoneração tributária, chega-se a um ônus de, aproximadamente, R\$ 694 milhões no cenário proposto e de R\$ 1,08 bilhão no cenário alternativo.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 66/2024 esteve aberta durante o período de 13/09/2024 a 23/09/2024 e recebeu 11 inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de sorteio realizado em plataforma digital com transmissão em tempo real e com gravação enviada posteriormente para todos os inscritos.

A participante inicia seu relato dizendo residir em São Paulo, SP, e que não possui vínculo com a indústria.

De acordo com a participante, seu marido foi o primeiro paciente a utilizar o satralizumabe no país em regime de uso compassivo, ou seja, foi autorizado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) que ele recebesse o medicamento considerado inovador, ainda sem registro na referida agência, dada a gravidade da condição de saúde e a insuficiência do tratamento disponível.

Em seguida, relata que seu marido foi diagnosticado com neuromielite óptica em 2020. Ele tinha 47 anos quando começaram os primeiros sintomas, como “fisgadas” (sic) nas extremidades dos pés e mãos, além de dores constantes nas costas e no estômago. Aquele período, segundo ela, foi marcado por idas e vindas a cinco hospitais diferentes. À época, muitos profissionais (principalmente ortopedistas) consideravam que os sintomas eram de ordem psicológica, receitando pomadas fitoterápicas e medicamentos para as dores estomacais.

Contudo, a piora de seu quadro foi rápida, de forma que em algumas semanas ele perdeu o movimento das pernas e teve perda de visão parcial. Até então, o paciente e sua esposa acreditavam se tratar de um problema na coluna, porém, a participante começou a perceber que já estavam surgindo prejuízos cognitivos.

Ele chegou a ser atendido por um neurologista em um pronto-socorro, mas o profissional disse que não poderia fazer muito mais pelo paciente em termos de tratamento naquele serviço e recomendou que ele continuasse a seguir as orientações do ortopedista e que buscasse atendimento psiquiátrico.

O paciente buscou atendimento psiquiátrico e passou a ser medicado, porém, os sintomas só pioravam. Em atendimento com um ortopedista, foram pedidos exames de ressonância magnética, que, com os resultados em mãos, deu o diagnóstico, explicou sobre a gravidade da situação e sobre a necessidade imediata de internação. Naquele momento, o paciente tinha dificuldade para respirar e não evacuava há sete dias.

A participante levou seu marido ao hospital e, apesar da sobrecarga dos serviços de saúde na época da pandemia de Covid-19, o paciente foi internado e acolhido em maio de 2020 e obteve tratamento para o grave surto que o acometia. A neurite estava bastante avançada, de forma que o paciente não mais enxergava e estava utilizando cadeira de rodas. O tratamento inicial incluiu corticoides, fisioterapia e sete sessões de plasmaférese (filtragem do sangue para retirar substâncias presentes no plasma). O paciente ficou um mês internado e conseguiu sair do hospital de muletas.

Naquele momento, ela foi informada de que não havia um medicamento específico para

neuromielite óptica e o paciente já sofria bastante com os eventos adversos causados pelos medicamentos utilizados, como os corticoides.

Foi, então, que surgiu a oportunidade de fazer uso do satralizumabe, dado que ele tinha o diagnóstico e foi considerado soropositivo para a presença do anticorpo AQP4-IgG. O primeiro uso do medicamento avaliado ocorreu em 29 de outubro de 2020. Entre junho daquele ano e o primeiro uso do satralizumabe, o paciente permaneceu em uso de corticoides.

A partir da introdução do medicamento avaliado, o paciente não teve mais surtos, parou de usar corticoides e a família “voltou a ter esperança” (sic). De acordo com a participante, o medicamento de fato mudou o curso da doença. Em 2024, o paciente continua fazendo uso do satralizumabe e faz fisioterapia. Além disso, permanece sem surtos, anda sem apoio, trabalha e tem qualidade de vida.

A participante encerra seu relato dizendo que gostaria que a oportunidade que seu marido teve fosse estendida a outros pacientes com essa condição de saúde.

Em seguida, questiona-se o paciente continua fazendo uso da tecnologia avaliado, o que é confirmado pela participante. Segundo ela, ele se mantém em tratamento há quatro anos sem nenhuma interrupção. As primeiras aplicações foram feitas em ambiente hospitalar, mas atualmente ele mesmo faz a aplicação sozinho, sem qualquer dificuldade. Quando perguntada sobre a periodicidade das aplicações, a participante informa que são feitas mensalmente. O medicamento é enviado dos Estados Unidos e é retirado no hospital. Em casa, o medicamento é mantido na geladeira.

Foi perguntado ainda se o paciente faz uso de algum outro medicamento. A representante informa que, para o controle dos surtos, o satralizumabe é o único medicamento utilizado. Porém, para tratar as sequelas do único surto que teve, utiliza carbamazepina, anti-hipertensivos e medicamentos para asma devido à falta de ar.

A representante foi questionada também em relação ao acesso à tecnologia e se antes do satralizumabe houve tentativa de utilizar algum outro medicamento. A participante diz que não foi usado nenhum medicamento antes do que está em avaliação para o tratamento do surto. Quanto ao acesso, foi informado que a possibilidade de acesso ao satralizumabe foi oferecida ainda durante a internação, pois o médico que o atendia sabia que era necessário um paciente que preenchesse todos os requisitos para que fosse autorizado o primeiro uso do satralizumabe no país. Como esse era exatamente o caso do paciente, ele foi indicado.

Perguntou-se ainda se o uso do medicamento é mantido por todo esse tempo pelo programa de uso compassivo, o que foi confirmado pela participante.

O vídeo da 136ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

Durante a 136ª Reunião Ordinária da Conitec, realizada no dia 5 de dezembro de 2024, os membros do Comitê de Medicamentos, por unanimidade, emitiram recomendação preliminar desfavorável à incorporação do satralizumabe para tratamento de pacientes adultos e adolescentes a partir de 12 anos de idade soropositivos para IgG anti-aquaporina-4 (AQP4-IgG) no SUS.

Para tal, o Comitê reconheceu o caráter raro da doença, a inexistência de um PCDT e/ou tratamento disponível no SUS e que o diagnóstico depende de testes específicos que também não estão incorporados ao sistema de saúde, ainda que estejam em análise. De todo modo, os dados sobre a relação custo-efetividade e o impacto orçamentário para o SUS foram considerados desfavoráveis, já que as estimativas possivelmente estariam subestimadas.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 1, durante 20 dias, no período de 16/1/2025 a 4/2/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

A Consulta Pública nº 1/2025 foi realizada entre os dias 16 de janeiro e 4 de fevereiro de 2025 e recebeu 894 contribuições, das quais 882 (98,7%) foram favoráveis à incorporação da tecnologia no SUS. Os participantes sublinham o caráter inovador do medicamento e a inexistência de tecnologia incorporada no SUS para a neuromielite óptica.

De acordo com os respondentes, a condição de saúde em questão é grave e incapacitante, de forma que a incorporação representaria uma oportunidade de oferta de alternativa terapêutica, especialmente em casos de falha dos medicamentos off-label, isto é, que não têm indicação em bula para o tratamento da neuromielite óptica.

Sobre a experiência com a tecnologia avaliada, foram destacados como benefícios a efetividade, a praticidade da administração, os ganhos em termos de qualidade de vida, a possível redução de custos e a segurança. Já as dificuldades de acesso, o custo do medicamento e as dificuldades no monitoramento de indicadores bioquímicos, como a proteína C reativa, foram citados como aspectos negativos.

Outras tecnologias foram consideradas potencialmente efetivas para o DENMO, porém, possuem eventos adversos.

O demandante ofertou uma proposta de preço de R\$ 20.100,52 por seringa e fez ajustes na avaliação econômica e de impacto orçamentário para o SUS. Dessa forma, segundo o demandante, para se obter um ano de vida com qualidade com o uso da tecnologia avaliada, seria necessário um investimento na casa de R\$ 1.716.891. O Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (Nats) responsável pela elaboração do relatório técnico também refez esses cálculos e chegou à cifra de R\$ 1.723.589.

De acordo com o demandante, considerando apenas pacientes com DENMO positivos para AQP4-IgG com doença ativa, haveria um custo para os cofres públicos de R\$ 247.645.549 ao longo de cinco anos, no cenário proposto, e de R\$ 368.647.521 no cenário alternativo. O Nats, por sua vez, estimou que o custo acumulado em cinco anos seria de R\$ 387.523.309, no cenário proposto, e de R\$ 575.205.809, no cenário alternativo.

Recomendação final da Conitec

Os membros do Comitê de Medicamentos da Conitec, na 138ª Reunião Ordinária, realizada no dia 12 de março de 2025, deliberaram, por maioria simples, recomendar a não incorporação do satralizumabe para tratamento de DENMO em pacientes adultos e adolescentes a partir de 12 anos de idade soropositivos para IgG anti-aquaporina-4 (AQP4-IgG) no SUS.

Nesse sentido, o Comitê questionou a definição de doença ativa, os critérios para a seleção dos pacientes e os elevados custos, apesar dos descontos oferecidos pelo demandante.

Além disso, destacou-se a importância de aguardar a recomendação acerca do teste para o anticorpo AQP4-IgG, assim como de integrar a avaliação de tecnologias já disponíveis e das novas identificadas no Monitoramento do Horizonte Tecnológico (MHT) para que se possa definir adequadamente as linhas de tratamento.

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 SUS, do satralizumabe para o tratamento de pacientes com distúrbio do espectro da neuromielite óptica.

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