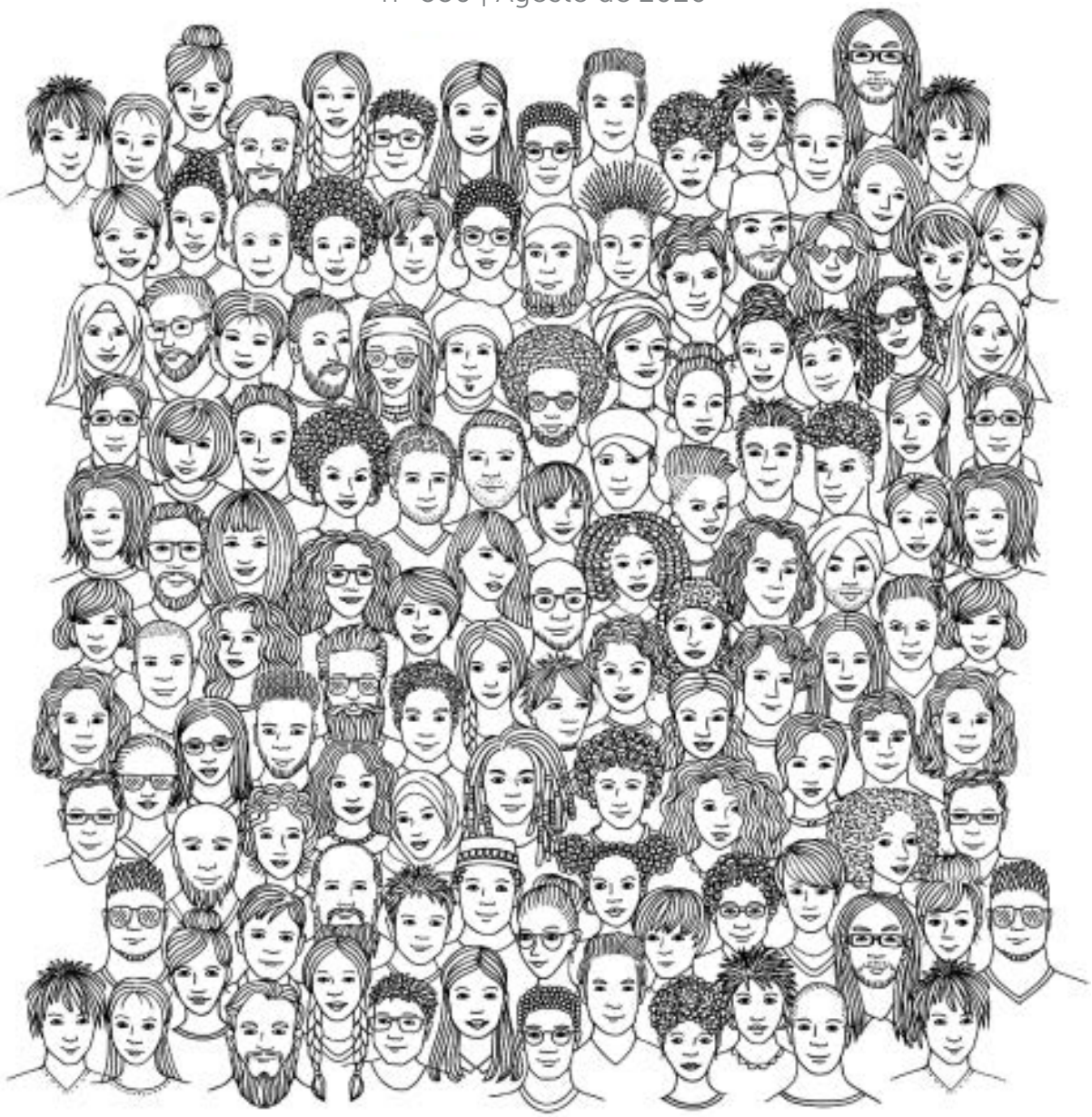
nº 580 | Agosto de 2026



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

IPTACOPANA

para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL

Conitec

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
Melina Sampaio de Ramos Barros
Dyana Helena de Souza

Revisão técnica
Andrea Brígida de Souza
Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação
Patricia Mandetta Gandara

Supervisão
Luciene Fontes Schluckebier Bonan

Sumário

O que é Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)? 4

Como os pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna são tratados no SUS? 5

Medicamento analisado: iptacopana 5

Perspectiva do Paciente 6

Discussão da Conitec na apreciação inicial 7

Recomendação inicial da Conitec 8

Resultado da consulta pública 8

Discussão da Conitec na apreciação final 9

Recomendação final da Conitec 9

Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa 10

IPTACOPANA

ara o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL

O que é Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)?



A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença causada por uma mutação genética adquirida que afeta o sistema complemento, parte do sistema de defesa do corpo. Essa alteração leva à destruição prematura de algumas células sanguíneas, as hemácias (glóbulos vermelhos). Ao serem destruídas, ocorre a eliminação de substâncias pelo organismo, como a hemoglobina - proteína rica em ferro presente nas hemácias e responsável pelo transporte de oxigênio no sangue. Assim, um dos sinais característicos da doença é a eliminação em excesso de hemoglobina pela urina (hemoglobinúria), deixando-a escura. A perda crônica de hemoglobina causa deficiência de ferro e anemia.

As manifestações da doença incluem cansaço, pele amarelada, dificuldade para engolir, dor abdominal, doença renal crônica e disfunção erétil. Os fenômenos tromboembólicos (formação de coágulos que obstruem os vasos sanguíneos, como trombose e embolia) são uma complicação grave, acometendo cerca de 40% dos pacientes. Ademais, indivíduos com HPN têm risco aumentado de desenvolver doenças oncológicas da medula óssea. O risco é de 5% para síndrome mielodisplásica e de 2,5% para leucemia mieloide aguda, o que representa um risco 100 vezes maior do que o observado na população geral.

A HPN é classificada em três subtipos, conforme suas manifestações clínicas:

1. HPN clássica: o paciente manifesta o rompimento de hemácias (hemólise), sem outro distúrbio de falha na medula óssea.

2. HPN associada a outros distúrbios primários da medula óssea: comumente relacionada à falência da medula óssea e à produção insuficiente de células do sangue.

3. HPN subclínica: os pacientes não apresentam sinais clínicos ou laboratoriais de hemólise ou trombose.

Trata-se de doença ultrarrara, com aproximadamente um e dois casos novos a cada milhão de

habitantes. No Brasil, entre 2008 e 2018, foram identificados 675 indivíduos com HPN. A idade média do diagnóstico foi de 44,2 anos, sendo ligeiramente mais comum em mulheres (52,4%).

Como os pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna são tratados no SUS?

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Hemoglobinúria Paroxística Noturna, publicado em 2019 pelo Ministério da Saúde, recomenda que o único tratamento curativo da doença é a realização de Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas Alogênico (TCTH-AL). Contudo, o documento também estabelece medidas medicamentosas e não medicamentosas para reduzir a destruição de hemácias, além de prevenir e tratar a formação de coágulos no sangue e outras complicações relacionadas.

O tratamento é instituído de acordo com as manifestações clínicas da doença e há várias alternativas terapêuticas, não curativas, mas que podem reduzir as suas complicações, como o uso de corticoides, androgênios, imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e realização de transfusão de sangue.

O PCDT recomenda, desde 2019, o uso do eculizumabe para o tratamento de HPN. Recentemente, em 2024, também foi incorporado ao SUS o ravulizumabe para o tratamento da doença. Ambos os medicamentos são administrados diretamente na veia e atuam para inibir a atuação da proteína C5 no sistema complemento, bloqueando o ataque às hemácias.

Medicamento analisado: iptacopana

A Novartis Biociências S.A. solicitou à Conitec a avaliação de incorporação, ao SUS, de iptacopana para o tratamento de pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e mantendo hemoglobina sérica inferior a 10 g/dL. O iptacopana contribui para interromper o ataque às hemácias ao bloquear o início de ativação do sistema complemento, ligando-se à proteína denominada Fator B.

Segundo as evidências científicas, o uso de iptacopana resultou em maior proporção de pacientes livres de transfusões sanguíneas após 24 semanas, além de melhora da qualidade de vida e redução de casos de hemólises de escape (episódios repentinos de destruição das hemácias mesmo sob tratamento medicamentoso). O medicamento apresentou um perfil de segurança semelhante aos medicamentos da classe dos inibidores de C5 (eculizumabe e ravulizumabe), que são injetáveis. A administração por via oral foi considerada mais vantajosa para alguns pacientes, embora possa apresentar maior risco nos casos de má adesão. A

qualidade das evidências variou entre moderada a baixa para os resultados apresentados, o que significa que ainda existem incertezas relacionadas às evidências.

A empresa demandante apresentou uma avaliação econômica que demonstrou que o iptacopana comparado com o eculizumabe teve mais benefícios clínicos e menor custo, com o ganho de 2,03 anos de vida com qualidade e economia de R$ 935.905. Já em comparação com o ravulizumabe, o iptacopana apresentou o mesmo ganho de anos de vida com qualidade e maior custo (R$ 15.627.006 versus R$ 14.632.817). Ao reproduzir os cálculos, o grupo elaborador do relatório técnico da Conitec encontrou uma vantagem clínica menor do que a que foi apresentada pelo demandante: o iptacopana proporcionou um ganho de 0,78 anos de vida com qualidade em vez de 2,03. Apesar disso, a análise concluiu que, devido aos preços das tecnologias comparadoras, o medicamento ainda seria uma opção economicamente vantajosa, gerando uma economia de recursos ao SUS de R$ 1.299.947 (comparado ao eculizumabe) e R$ 2.492.678 (comparado ao ravulizumabe).

A análise de impacto orçamentário, caso a tecnologia seja incorporada ao SUS, projetou uma economia de recursos no acumulado de cinco anos que ficaria entre R$ 110.790.364 (ao tratar 219 indivíduos) e R$ 158.136.362 (ao tratar 312 indivíduos).

Perspectiva do paciente

A Chamada Pública nº 50/2025 esteve aberta durante o período de 28 de maio a 6 de junho 2025 e recebeu oito 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 a todos os inscritos.

A participante relatou ter recebido o diagnóstico de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) em agosto de 2015, aos 39 anos de idade. No entanto, o primeiro sinal da doença surgiu em 2013, com dois episódios de escurecimento da urina no ano. Em 2014, esses episódios ocorreram a cada três meses, sempre associados a outras questões de saúde, como gripes, dores de cabeça, infecções e dores abdominais. Diante disso, procurou atendimento especializado, que confirmou o diagnóstico. O tratamento inicial incluiu anticoagulante, ácido fólico, ferro e vitamina B12.

Em 2017, após duas internações por infecções e complicações gastrointestinais, informou ter recebido indicação de uso de eculizumabe, cujo acesso foi conseguido por via judicial. A participante iniciou a terapia em abril do mesmo ano, interrompendo-a apenas quando a entrega do medicamento não era efetuada. Em 2024, ficou seis meses sem receber o medicamento.

Conforme sua avaliação, o eculizumabe proporcionava boa resposta clínica na primeira semana de uso, mas já na segunda semana registrava uma queda no seu estado de saúde. Mesmo sob tratamento, continuou a apresentar episódios de hemólise, a anemia persistiu e a urina, embora mais clara, manteve uma coloração escura. Sentia fadiga intensa e dormência nos membros superiores e inferiores, o que a impedia de subir um lance de escadas e a levou a abandonar a corrida, uma atividade que praticava com regularidade. Conseguiu, contudo, manter os treinos de pilates e musculação. Na época, considerava um "bom dia" aquele em que conseguia trabalhar sem sentir névoa mental (conjunto de sintomas cognitivos, como confusão mental e dificuldade de concentração).

Pelo fato de o eculizumabe se tratar de uma terapia de administração infusional frequente realizada em ambiente hospitalar, a participante informou que passava quase metade do dia no hospital, o que teve impacto significativo na sua vida profissional e culminou no seu desligamento da empresa onde trabalhava.

Em outubro de 2024, durante uma das suas consultas de avaliação trimestral, recebeu orientação médica para mudar do eculizumabe para o iptacopana. Após iniciar o uso do iptacopana, notou melhorias consideráveis: a fadiga diminuiu e a urina ficou límpida e transparente. Na terceira semana de tratamento, observou um rendimento físico muito superior. Atualmente, retomou a corrida, pedala 30 km de bicicleta e sobe 14 andares de escadas sem interrupção para descanso. A dormência e a dificuldade de concentração desapareceram, o sono melhorou e passou a acordar com mais disposição.

A sua qualidade de vida aumentou e os impactos sociais da doença foram reduzidos. Os exames de sangue apresentaram bons resultados desde o início do novo tratamento. A representante destacou ainda as vantagens de o iptacopana ser um medicamento administrado por via oral.

O vídeo da 145ª Reunião Ordinária pode ser acessado aqui.

Discussão da Conitec na apreciação inicial

Na 145ª Reunião Ordinária da Conitec, os membros do Comitê de Medicamentos enfatizaram as evidências sobre os benefícios clínicos do medicamento para essa condição ultrarrara. Ainda assim, alguns membros indicaram incerteza das evidências em decorrência do delineamento aberto do estudo principal e do pouco tempo de uso dos participantes. Frente ao achado de superioridade em termos de custo-efetividade em relação ao eculizumabe, foi destacado que existe perspectiva de produção nacional e de manufatura de biossimilares do eculizumabe, o que pode impactar a avaliação econômica. Apesar disso, o impacto orçamentário foi considerado similar a outras incorporações já aprovadas.

Recomendação inicial

A Conitec recomendou inicialmente a incorporação, ao SUS, de iptacopana para o tratamento de pacientes portadores de HPN previamente tratados com inibidores de C5 e anemia residual persistente. Esse tema foi discutido durante a 145ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 1º, 2 e 3 de outubro de 2025. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou que o balanço entre efeitos desejáveis e indesejáveis da tecnologia para a população proposta é positivo.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 88, durante 20 dias, no período de 23/10/2025 a 11/11/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 497 contribuições. A maioria dos participantes manifestou-se favoravelmente à incorporação da iptacopana, destacando os benefícios clínicos, como o melhor controle da doença, a melhora de sintomas relevantes e o impacto positivo na qualidade de vida, além da possibilidade de reduzir internações, procedimentos e custos ao SUS. Como efeitos positivos e facilidades da experiência com iptacopana, os respondentes mencionaram a comodidade posológica, especialmente pelo uso oral e possibilidade de tratamento em domicílio, a retomada de atividades cotidianas e a efetividade da tecnologia. Entre os efeitos negativos, foram citados o alto custo, a dificuldade de acesso, a necessidade de acompanhamento clínico contínuo e a ocorrência de eventos adversos, considerados manejáveis. Em relação a outras tecnologias, os participantes relataram que as terapias atualmente utilizadas apresentam limitações importantes, como posologia incômoda, dependência de infusões frequentes, maior incidência de eventos adversos, variação de efetividade e irregularidade no fornecimento, além da necessidade de judicialização para acessar as tecnologias em alguns casos. As contribuições de caráter técnico-científico destacaram aspectos de eficácia clínica da iptacopana na população previamente tratada com inibidores de C5 e com anemia residual persistente. No campo econômico, algumas manifestações abordaram questões metodológicas, porém nenhuma contribuição apresentou outros componentes que impactassem os resultados econômicos finais. Além disso, a empresa fabricante da tecnologia realizou uma nova proposta de preço: R$ 79.612,40 (56 cápsulas de 200 mg) e R$ 1.421,65 por cápsula. O novo impacto orçamentário calculado estimou uma economia de recursos, que varia de uma redução de R$ 34,0 milhões a R$ 48,5 milhões em cinco anos. O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 88, durante 20 dias,

no período de 23/10/2025 a 11/11/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Discussão da Conitec na apreciação final

Durante a 30ª Reunião Extraordinária da Conitec, foram apreciadas conjuntamente as tecnologias destinadas ao tratamento da HPN (ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana), organizadas por linhas de tratamento: a primeira, composta pelos inibidores de C5, ravulizumabe e crovalimabe, e a segunda, pelos inibidores proximais do complemento, pegcetacoplana e iptacopana. A apresentação dos resultados das avaliações e das contribuições decorrentes das consultas públicas foi realizada de maneira conjunta, de modo a favorecer maior coerência, consistência e comparabilidade na análise e na tomada de decisão pelo Comitê. Para a segunda linha, reconheceu-se a necessidade de alternativas para indivíduos com resposta inadequada aos inibidores C5. A discussão com o especialista destacou a persistência de anemia residual em parte dos usuários e o papel da hemólise extravascular, não adequadamente controlada pelos inibidores de C5. Considerando as evidências clínicas e econômicas, a relação de custo-efetividade e as características de administração dos medicamentos avaliados, o Comitê de Medicamentos emitiu recomendação favorável à incorporação da iptacopana e desfavorável à incorporação da pegcetacoplana para segunda linha.

Recomendação final da Conitec

A 30ª Reunião Extraordinária da Conitec foi realizada no dia 19 de agosto de 2026. O Comitê de Medicamentos recomendou a incorporação, ao SUS, de iptacopana para o tratamento de indivíduos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina inferior a 10 g/dL, conforme protocolo do Ministério da Saúde.

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 16/09/2025 para o iptacopana (FABHALTA®):

Tratamento de pacientes adultos com:

- Hemoglobinúria paroxística noturna (HPN).
- Glomerulopatia por complemento 3 (C3G).

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e mantendo hemoglobina sérica inferior a 10 g/dL.

*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.