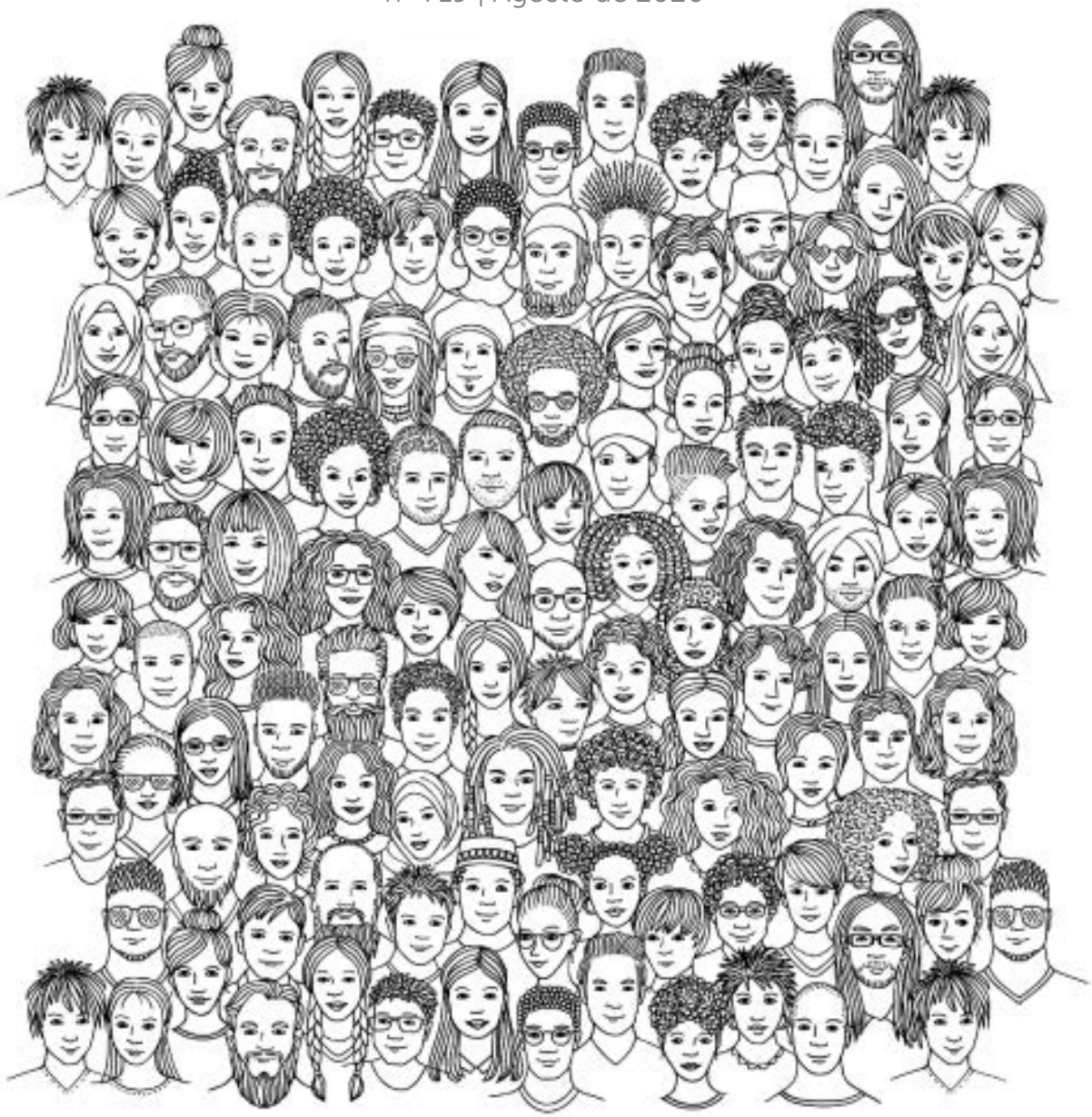
nº 719 | Agosto de 2026



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

PEGCETACOPLANA

no tratamento de pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) previamente tratados com inibidores do complemento

Conitec

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
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 a Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)?....4

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

Medicamento analisado: pegcetacoplana....5

Perspectiva do Paciente....7

Discussão da Conitec na apreciação inicial....7

Recomendação inicial da Conitec....8

Resultado da consulta pública....8

Discussão da Conitec na apreciação final....9

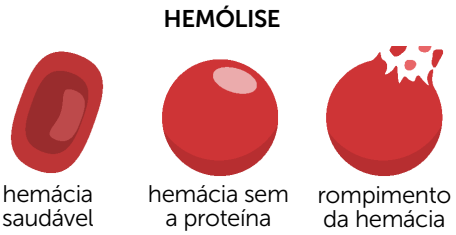
Recomendação final da Conitec....9

Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa....10

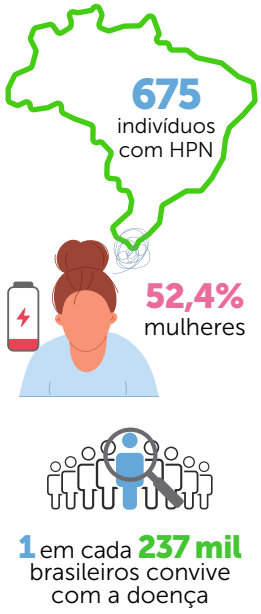
O que é Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)?

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença rara no sangue. A condição é causada por um defeito genético adquirido, que afeta parte do sistema de defesa do corpo (sistema complemento), provocando a ausência de proteínas protetoras na superfície de células sanguíneas conhecidas como hemácias. Esse processo pode ocasionar a destruição das hemácias (hemólise) e a eliminação em excesso de hemoglobina pela urina (hemoglobinúria), que dá uma coloração escura ao líquido. A HPN também pode gerar danos aos órgãos, como rins e pulmões, e causar eventos de obstrução do fluxo sanguíneo a partir da coagulação do sangue, como trombose e embolia.

A hemoglobina é uma proteína rica em ferro presente no interior das hemácias e responsável pelo transporte de oxigênio no sangue. A perda crônica dessa proteína pode causar deficiência de ferro e anemia. Assim, as manifestações da doença incluem cansaço, pele amarelada, dificuldade para engolir, dor abdominal, doença renal crônica e disfunção erétil.



A HPN é classificada em três formas, são elas: a forma clássica, quando o indivíduo manifesta hemólise sem possuir outro distúrbio de falha na medula óssea; a HPN associada a outros distúrbios primários da medula óssea, como a anemia aplástica, síndromes mielodisplásicas ou leucemia mieloide aguda, comumente relacionada à falência da medula óssea e à produção insuficiente de células sanguíneas; e a forma subclínica, caracterizada pela ausência de sinais clínicos ou laboratoriais de hemólise ou trombose. Entretanto, por ser uma doença com características complexas e dinâmicas, a forma de HPN pode mudar ao longo do tempo.



Estima-se que ocorram 1,3 novos casos para cada um milhão de indivíduos por ano. A doença acomete homens e mulheres aproximadamente na mesma proporção e pode ser identificada em qualquer idade, mas a maioria das pessoas com diagnóstico possui entre 40 e 60 anos. No Brasil, um estudo realizado entre 2008 e 2018,

identificou 675 indivíduos com HPN, dos quais 52,4% eram mulheres. O estudo também estimou que uma a cada 237 mil pessoas possui a doença no país, sendo a forma clássica a mais comum entre os brasileiros.

Para o diagnóstico de HPN, considera-se a suspeita clínica a partir dos sintomas e recomenda-se a realização do teste direto de antiglobulina (teste de Coombs direto), seguido da citometria de fluxo para avaliar a redução do lipídio glicosilfosfatidilinositol (GPI) na superfície das células sanguíneas.

Como os pacientes com HPN são tratados no SUS?

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Hemoglobinúria Paroxística Noturna, publicado em 2019 pelo Ministério da Saúde, indica, como único tratamento curativo, 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 à doença.

O tratamento não curativo envolve o manejo de sintomas e recomenda o uso de eculizumabe, corticoides, androgênios, imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e realização de transfusões sanguíneas.

Posteriormente à elaboração do PCDT, em 2024, foi incorporado ao Sistema Único de Saúde (SUS) outro medicamento da classe dos inibidores do complemento para o tratamento da doença, o ravulizumabe. Ambos os medicamentos dessa classe, o eculizumabe e o ravulizumabe, são administrados diretamente na veia e atuam para inibir a proteína C5 no sistema complemento, bloqueando o ataque às hemácias.

Medicamento analisado: pegcetaclopana

A empresa Pint Pharma Ltda solicitou à Conitec a avaliação de incorporação ao SUS do pegcetacoplana para o tratamento de adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) previamente tratados com inibidores do complemento (C5).

A pegcetacoplana age de forma mais precoce que os inibidores de complemento da proteína C5 ao bloquear a proteína C3, controlando a destruição de hemácias nos vasos sanguíneos (intravascular) e fora da corrente sanguínea (extravascular), como fígado e baço. Assim, o medicamento contribui para evitar a anemia hemolítica extravascular residual. O medicamento é aplicado embaixo da pele, por infusão subcutânea, duas vezes por semana e pode ser

administrado em domicílio após treinamento adequado. Atualmente, tem indicação aprovada na Agência de Vigilância Sanitária (Anvisa) para o tratamento de adultos com HPN.

As evidências clínicas analisadas apresentam que, em comparação com o eculizumabe, o uso de pegcetacoplana foi associado a maior proporção de pacientes livres de transfusões sanguíneas em 16 semanas de uso (85% versus 15%), além de aumento da hemoglobina, redução da contagem de hemácias imaturas (reticulócitos) e melhora da fadiga. Para os níveis de lactato desidrogenase (LDH), enzima presente nas hemácias que pode indicar aumento de hemólise, a diferença foi pequena e imprecisa, embora análises complementares tenham identificado maior proporção de normalização de LDH com pegcetacoplana.

Em relação ao perfil de segurança, a frequência de eventos adversos foi semelhante ao do eculizumabe, mas foi identificada maior ocorrência de reações no local da injeção e de diarreia com pegcetacoplana. A longo prazo, as reações no local da injeção foram avaliadas como leves e tenderam a diminuir com a continuidade do tratamento. Entretanto, eventos hemolíticos, incluindo episódios repentinos de hemólise mesmo sob tratamento medicamentoso, mantiveram-se como eventos adversos relevantes ao longo do tempo de uso. Também foram observados eventos adversos graves, descontinuações por eventos adversos e raros eventos tromboembólicos associados ao uso da pegcetacoplana. A qualidade das evidências variou entre moderada a baixa para os resultados apresentados, o que significa que ainda existem incertezas relacionadas às evidências.

A avaliação econômica comparou a pegcetacoplana com o eculizumabe e o ravulizumabe, considerando os custos médicos diretos, como medicamentos, complicações associadas à doença (trombose, sobrecarga de ferro e hemólise), vacinas e acompanhamento clínico. Para os medicamentos, foram consideradas as recomendações posológicas apresentadas em bula, juntamente com as informações de apresentação, preço do medicamento e custo por ciclo de uso. Como resultado, a aquisição da pegcetacoplana em relação ao eculizumabe geraria uma economia de R$ 1.899.884,94 por ano de vida ajustado por qualidade. Já em comparação ao ravulizumabe, a aquisição da pegcetacoplana geraria uma economia de R$ 3.564.777,50 por ano de vida ajustado por qualidade.

Para estimar o impacto orçamentário, foram utilizados os registros existentes sobre o uso de eculizumabe no SUS como comparativo. No primeiro cenário analisado, mais conservador, 30% do público-alvo receberia pegcetacoplana no primeiro ano, com aumento anual de 7%, seria gerada uma economia de R$ 83 milhões ao longo de cinco anos. Em outro cenário, mais agressivo, 50% da população de interesse receberia o medicamento no primeiro ano de incorporação, com adição anual de 5%, o SUS teria uma economia de aproximadamente R$ 138 milhões ao final de cinco anos.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 34/2026 esteve aberta durante o período de 9 a 19 de março de 2026 e recebeu 13 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 representante titular relatou que foi diagnosticada com HPN em 2015 e iniciou o tratamento com eculizumabe logo em seguida. Entretanto, considerou que o medicamento não apresentou efetividade completa, uma vez que houve aumento da frequência de transfusões sanguíneas, bem como dos níveis de ferritina. Além disso, informou ter sido hospitalizada algumas vezes em decorrência de complicações associadas à doença.

Desse modo, em abril de 2025, foi realizada a substituição terapêutica do eculizumabe pela pegcetacoplana. Conforme relato, após o uso do medicamento, percebeu melhora significativa da disposição física para realizar atividades diárias e laborais, sem episódios de fadiga e de esquecimento.

A participante também destacou considerar a administração da pegcetacoplana prática e de fácil manejo, tendo em vista que é realizada por meio de uma bomba de infusão que insere a agulha automaticamente após o acionamento de um botão e a remove sozinha com o fim da infusão. Por fim, referiu que, na ausência da bomba de infusão, retoma o uso do eculizumabe para não precisar realizar mais transfusões sanguíneas.

O vídeo da 28ª Reunião Extraordinária pode ser acessado aqui.

Discussão da Conitec na apreciação inicial

Na 28ª Reunião Extraordinária da Conitec, os membros do Comitê de Medicamentos enfatizaram o potencial benefício clínico da pegcetacoplana em pacientes com anemia persistente após uso prévio de inibidores do complemento, bem como sua maior conveniência posológica em relação ao eculizumabe. Contudo, foram ressaltadas incertezas quanto ao impacto orçamentário, à sustentabilidade para o SUS e à competitividade do preço proposto em comparação ao eculizumabe, além da necessidade de análises comparativas de custo-efetividade entre eculizumabe e as opções de segunda linha.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, da pegcetacoplana para o tratamento de HPN em adultos previamente tratados com inibidores do complemento. Esse tema foi discutido durante a 28ª Reunião Extraordinária da Comissão, realizada no dia 11 de maio de 2026. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou as incertezas quanto à custo-efetividade das opções de segunda linha de tratamento, pegcetacoplana e iptacopana, entre si e com o eculizumabe, bem como a baixa competividade do preço proposto para pegcetacoplana em comparação ao eculizumabe.

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

- Você já utilizou eculizumabe ou ravulizumabe? Se sim, qual foi o medicamento e o motivo da sua interrupção?
- Após o início do uso da pegcetacoplana, houve mudança na frequência de transfusões de sangue que você recebe?
- O uso da pegcecoplana alterou os seus níveis de hemoglobina?
- Ocorreu melhora na fadiga após a experiência com pegcetacoplana?
- Houve melhora no quadro de anemia com a pegcetacoplana?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 44, durante 20 dias, no período de 16/6/2026 a 6/7/2026, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 223 contribuições. A maioria dos participantes foi favorável à incorporação da pegcetacoplana, destacando a equidade de acesso, a redução de judicialização, a ampliação das opções terapêuticas, a comodidade posológica, a adesão ao tratamento, o ganho de qualidade de vida, a possibilidade de individualização do tratamento e o atendimento de necessidades terapêuticas ainda não contempladas no SUS, além da potencial economia de recursos para o sistema de saúde. Entre os argumentos desfavoráveis, foram mencionadas as limitações das evidências clínicas, as incertezas da avaliação econômica, dificuldades na administração e ocorrência de eventos adversos. As menções acerca dos aspectos positivos da pegcetacoplana enfatizam a melhora dos marcadores laboratoriais, da anemia, do controle da hemólise intra e extravascular e da redução da fadiga. Também reforçaram a comodidade posológica e a redução da necessidade de transfusões. Quanto aos aspectos negativos, foram

reportadas barreiras de acesso, o receio de interrupção do tratamento, eventos adversos de hemólise de escape, reações no local de aplicação e dificuldades relacionadas à adesão ao tratamento. Sobre a experiência com outras tecnologias, houve menção ao eculizumabe, ravulizumabe e iptacopana. Nas contribuições da consulta pública acerca das evidências clínicas e dos estudos econômicos, foram abordados a existência de uma necessidade não atendida no SUS, as evidências clínicas advindas dos estudos PEGASUS e PRINCE, de estudos clínicos não controlados e de evidências de mundo real, os altos custos envolvidos na aquisição de medicamentos que poderiam auxiliar pacientes que não respondem aos inibidores de complemento e o fato de que o sistema de infusão da pegcetacoplana dispensa a necessidade do paciente se deslocar para receber o tratamento. Todas as contribuições foram avaliadas detalhadamente, porém não houve apresentação de novas evidências ou outros aspectos que modificassem as análises já empreendidas sobre a demanda.

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 Ordinária da Conitec foi realizada no dia 19 de agosto de 2026. O Comitê de Medicamentos recomendou a não incorporação, ao SUS, da pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento. O Comitê considerou que, embora exista necessidade não

atendida para pacientes em segunda linha de tratamento, a avaliação conjunta indicou a iptacopana como alternativa terapêutica mais vantajosa por apresentar melhor relação de benefícios clínicos e menor custo em comparação à pegcetacoplana.

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 14/4/2025 para o pegcetacoplana (Empaveli®):

- Tratamento de adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN).
- Tratamento de adultos e adolescentes com idades entre 12 e 17 anos com glomerulopatia C3 (C3G) ou glomerulonefrite membranoproliferativa primária de complexos imunes (IC-MPGN).

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de adultos com HPN previamente tratados com inibidores do complemento.

Recomendação inicial da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou, inicialmente, a não incorporação de pegcetacoplana para o tratamento de adulto com HPN previamente tratados com inibidores de HPN.

*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.