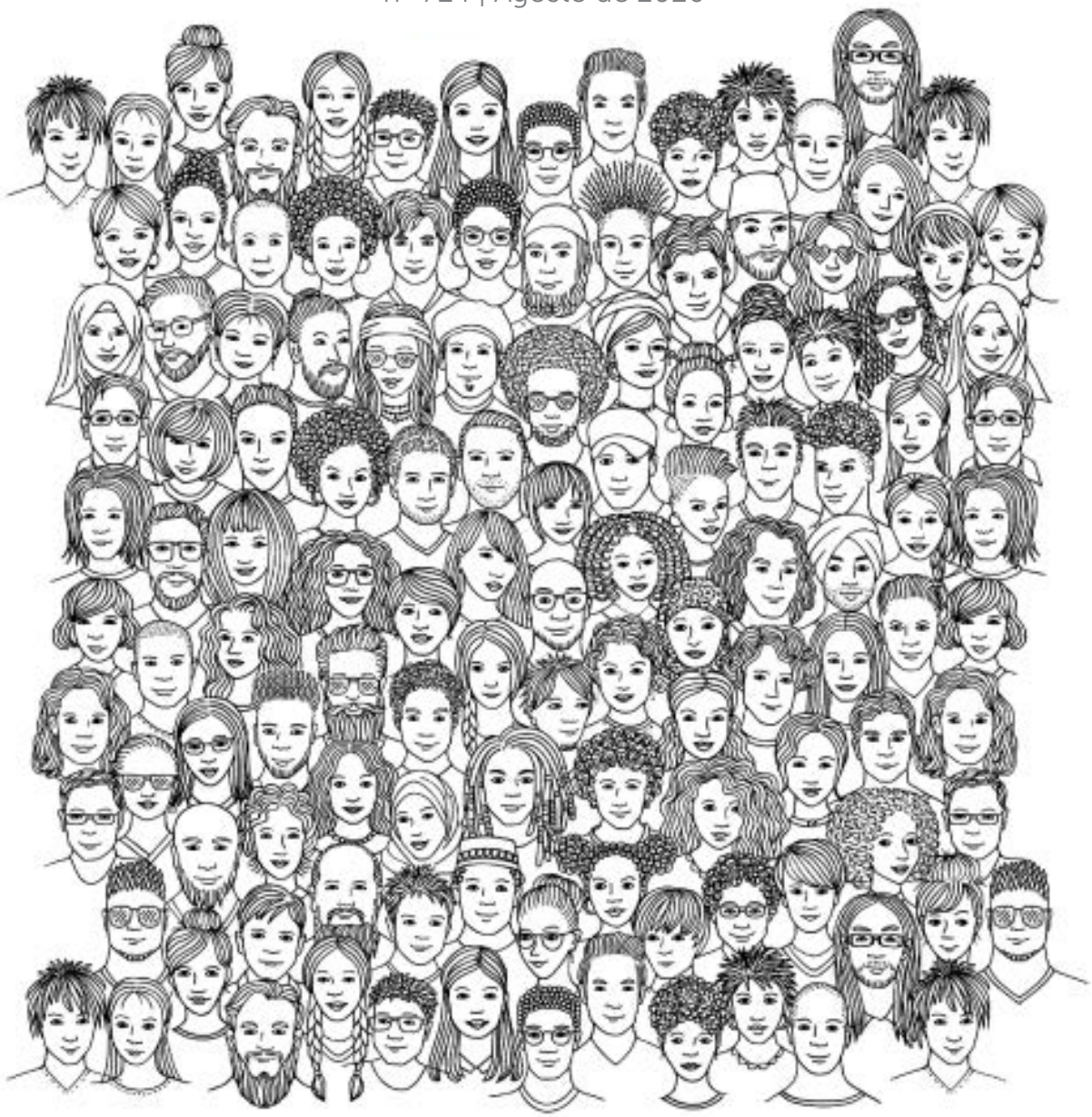
nº 724 | Agosto de 2026



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

RAVULIZUMABE, CROVALIMABE, PEGCETACOPLANA E IPTACOPANA

no tratamento de indivíduos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna

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
Dyana Helena de Souza
Melina Sampaio de Ramos Barros

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

Medicamentos analisados: ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana....5

Perspectiva do Paciente....9

Discussão da Conitec na apreciação inicial....10

Recomendação inicial da Conitec....11

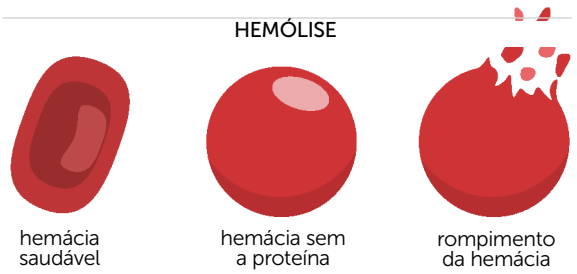
Resultado da consulta pública....11

Discussão da Conitec na apreciação final....12

Recomendação final da Conitec....13

Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa....14

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 (o sistema complemento), provocando a ausência de proteínas que protegem as hemácias (células do sangue). Como resultado, essas células podem ser destruídas (hemólise) e a hemoglobina - proteína rica em ferro presente no interior das hemácias e responsável pelo transporte de oxigênio no sangue – pode ser eliminada em excesso pela urina deixando-a mais escura. Além disso, a doença pode causar danos aos órgãos, como rins e pulmões, e aumentar o risco de problemas de circulação, com eventos de obstrução do fluxo sanguíneo a partir da coagulação do sangue, como trombose e embolia.

A perda crônica de hemoglobina causa 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 doença 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 nacional 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 HPN no país, sendo a forma clássica da doença 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) o ravulizumabe para o tratamento da doença. O eculizumabe e o ravulizumabe são administrados diretamente na veia e atuam para inibir a proteína C5 no sistema complemento, contribuindo para o bloqueio do ataque às hemácias.

Medicamentos analisados: ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana

A Coordenação de Gestão Estratégica e Cooperação Interfederativa do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica solicitou à Conitec a avaliação de incorporação, ao SUS, do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana.

O ravulizumabe atua bloqueando a proteína C5 do sistema complemento. Com isso, ajuda a reduzir a destruição das hemácias dentro dos vasos sanguíneos (hemólise intravascular). O medicamento é administrado por infusão intravenosa (na veia), com dose ajustada de acordo com o peso corporal. O tratamento começa com uma dose inicial, seguida de uma segunda aplicação após duas semanas. Depois disso, entra-se na fase de manutenção, com aplicações em intervalos mais longos: geralmente a cada 8 semanas para a maioria dos pacientes, ou a cada 4 semanas para aqueles com menor peso. Cada infusão deve ser realizada em ambiente de saúde.

O crovalimabe atua bloqueando a proteína C5 do sistema complemento, ajudando a prevenir a destruição das hemácias dentro dos vasos sanguíneos (hemólise intravascular). O tratamento começa com uma primeira dose administrada na veia (intravenosa). Depois disso, as aplicações passam a ser feitas sob a pele (via subcutânea), inicialmente com doses mais frequentes nas primeiras semanas. A partir da fase de manutenção, o medicamento é aplicado uma vez por mês. Após as primeiras semanas, a aplicação pode ser realizada pelo próprio paciente ou por um cuidador, desde que devidamente treinados, mantendo acompanhamento da equipe de saúde.

A pegcetacoplana atua ao se ligar à proteína C3. Por agir em uma etapa mais inicial desse sistema, ajuda a controlar a destruição das hemácias tanto dentro dos vasos sanguíneos (hemólise intravascular) quanto fora deles (hemólise extravascular). A administração ocorre sob a pele (via subcutânea), por meio de uma bomba de infusão, geralmente na dose de 1.080 mg duas vezes por semana, com intervalos regulares entre as aplicações. Em caso de resposta inadequada, a frequência de uso pode ser ajustada.

A iptacopana é um medicamento de uso oral que atua ao inibir o fator B da via alternativa. Com isso, reduz a ativação dessa via e ajuda a controlar a destruição das hemácias tanto dentro dos vasos sanguíneos (hemólise intravascular) quanto fora deles (hemólise extravascular), podendo contribuir para melhora da anemia e redução da necessidade de transfusões. É administrada por via oral, geralmente na dose de 200 mg duas vezes ao dia. Por ser um tratamento em comprimidos, pode oferecer maior praticidade em comparação com terapias administradas por infusão.

As evidências clínicas analisadas incluíram estudos com avaliação dos resultados de acordo com diferentes perfis de pacientes: sem tratamento prévio, previamente tratados com inibidores de C5 em condição estável e pacientes com resposta inadequada ao tratamento.

Na população sem tratamento prévio e na população previamente tratada com condição clínica estável, não foram observadas diferenças estatisticamente significativas entre eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe nos resultados de independência de transfusão, manutenção dos níveis de hemoglobina e cansaço, sugerindo benefício semelhante entre esses medicamentos. Também foram observados resultados comparáveis quanto ao controle da hemólise, qualidade de vida, eventos adversos, mortalidade e descontinuação do tratamento. Para o resultado de hemólise de escape (destruição das células vermelhas do sangue mesmo durante o tratamento), ravulizumabe e crovalimabe demonstraram não ser inferiores em eficácia em relação ao eculizumabe.

Em pacientes previamente tratados com inibidores de C5 (como ravulizumabe e crovalimabe) que apresentam resposta clínica inadequada, caracterizada por persistência da anemia mesmo

durante o tratamento, residual, a iptacopana e a pegcetacoplana demonstraram benefícios adicionais em comparação aos tratamentos anti-C5. Esses benefícios incluíram aumento dos níveis de hemoglobina, maior proporção de pacientes livres de transfusão e melhora do cansaço, além de redução da ocorrência de hemólise de escape no caso da iptacopana.

No entanto, a comparação entre pegcetacoplana e iptacopana não demonstrou diferenças estatisticamente significativas para alguns resultados, como níveis de lactato desidrogenase (LDH), marcador de hemólise e cansaço. Além disso, as análises comparativas apresentam limitações importantes, como diferenças no resultado dos estudos, tempos distintos de acompanhamento e necessidade de ajustes metodológicos.

A qualidade das evidências variou de moderada a muito baixa em todas as comparações. De forma geral, eventos adversos como hemólise de escape, eventos tromboembólicos (problemas relacionados à formação de coágulos no sangue), eventos adversos graves e mortalidade apresentaram resultados semelhantes entre eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe. A segurança sobre os resultados desses estudos variou de moderada na população sem tratamento prévio a baixa ou muito baixa em pacientes previamente tratados. Para a iptacopana, em comparação aos inibidores de C5 em pacientes com resposta inadequada ao tratamento prévio, foi observada redução na ocorrência de hemólise de escape.

As análises econômicas foram realizadas separadamente para diferentes grupos de pacientes com HPN, considerando o perfil clínico e a resposta ao tratamento. Para pacientes sem tratamento prévio e para aqueles previamente tratados com inibidores de C5 em condição estável, foram conduzidas análises de custo-minimização. Essas análises partem do pressuposto de que eculizumabe, ravulizumabe e crovalimabe apresentam eficácia e segurança semelhantes, sendo a comparação baseada principalmente nos custos.

Considerando o preço atual do eculizumabe, o crovalimabe apresentou menor custo de tratamento em comparação aos demais medicamentos, com economia de até R$ 65.742,14 no primeiro ano e de até R$ 203.088,60 no segundo ano. No entanto, em cenários que consideraram a redução do preço do eculizumabe, associada à possível entrada de biossimilares no mercado brasileiro, o eculizumabe passou a apresentar os menores custos, com economia de até R$ 724.577,06 no primeiro ano e de até R$ 500.651,47 no segundo ano de tratamento.

Para pacientes previamente tratados com inibidores de C5 que apresentam resposta inadequada, foi realizada uma análise do custo da tecnologia em relação aos benefícios clínicos comparando iptacopana e pegcetacoplana. O modelo utilizado considerou a evolução dos pacientes ao longo da vida e diferentes estados de saúde, incluindo a necessidade ou não de transfusões sanguíneas, com ou sem anemia.

Nessa análise, o custo total estimado do tratamento foi maior para a iptacopana (R$ 25.698.590,07) em comparação à pegcetacoplana (R$ 23.142.867,17), resultando em um custo adicional de R$ 2.555.722,90. Em termos de resultados em saúde, a iptacopana apresentou ganho adicional pequeno, em relação à pegcetacoplana. Como consequência, a análise econômica dos custos em relação ao ganho de qualidade de vida foi elevada (R$ 203.704.266,72).

A análise de impacto orçamentário considerou um período de cinco anos (2027 a 2031) e o número de pacientes que podem receber o tratamento foi calculado a partir de estimativas sobre quantas pessoas têm a doença e quantas são atendidas pelo SUS. Foi considerado o cenário com disponibilização apenas do eculizumabe. As análises foram estruturadas conforme três grupos de pacientes: indivíduos sem tratamento prévio, pacientes previamente tratados com inibidores de C5 com resposta adequada e pacientes previamente tratados com resposta clínica inadequada.

No grupo de pacientes sem tratamento prévio, a incorporação do crovalimabe resultou em economia com o preço atual do eculizumabe (R$ 1.718.328,16), mas gerou aumento de custos nos cenários que consideraram redução de preço desse medicamento, podendo atingir até R$ 60.612.812,64. Já o ravulizumabe apresentou impacto adicional em todos os cenários analisados, variando de R$ 4.329.948,72 a R$ 66.661.089,52 ao longo dos cinco anos.

Para pacientes previamente tratados com resposta adequada, tanto o crovalimabe quanto o ravulizumabe apresentaram um padrão semelhante: impacto adicional, seguido de economia ao longo do tempo no cenário com o preço atual do eculizumabe, uma economia acumulada de até R$ 129.321.759,45 e R$ 72.354.972,31, respectivamente.

No grupo de pacientes previamente tratados, mas que não responderam adequadamente ao tratamento, a incorporação da iptacopana e da pegcetacoplana resultou em economia, totalizando R$ 38.475.089,30 e R$ 79.862.480,27, respectivamente. Entretanto, nos cenários com redução de preço, ambas as tecnologias passaram a gerar impacto adiconal, podendo ultrapassar R$ 350 milhões.

Na análise que considerou a incorporação simultânea de iptacoplana e pegcetacoplana, assumindo participação de mercado igual entre as duas tecnologias, observou-se que a pegcetacoplana apresentou maior custo no primeiro ano, enquanto a iptacopana passou a ter maior impacto orçamentário a partir do segundo ano. Ao final do período analisado, a diferença acumulada foi de R$ 44.860.336,81, favorável à pegcetacoplana.

Perspectiva do Paciente

Para esta demanda, foram abertas quatro chamadas públicas da Perspectiva do Paciente: a Chamada Pública nº 35/2026, referente ao ravulizumabe, aberta de 27/03/2026 a 06/04/2026, com 15 inscrições; a Chamada Pública nº 61/2025, referente ao crovalimabe, aberta de 11/07/2025 a 21/07/2025, com 4 inscrições; a Chamada Pública nº 36/2026, referente à iptacopana, aberta de 31/03/2026 a 09/04/2026, com 14 inscrições; e a Chamada Pública nº 34/2026, referente ao pegcetacoplana, aberta de 09/03/2026 a 19/03/2026, com 13 inscrições. Os representantes titular e suplente de cada chamada pública foram definidos por meio de sorteio realizado em plataforma digital, com transmissão em tempo real e posterior envio da gravação a todos os inscritos.

A representante com experiência com o ravulizumabe relatou ter sido diagnosticada com HPN há 10 anos. Como tratamento inicial, utilizou o eculizumabe, administrado por infusões quinzenais. Embora considere o tratamento essencial, destacou que a frequência das infusões acarretava impacto na sua rotina, especialmente na vida laboral, em razão das ausências frequentes para realização do tratamento. Reside em Minas Gerais, destacando que no estado há poucos hospitais de referência em HPN, o que exige longos deslocamentos para realizar as infusões. Também mencionou que, apesar do tratamento ser oferecido pelo SUS, existem os gastos com transporte, alimentação e hospedagem. Nesse sentido, a mudança para o ravulizumabe contribuiu para reduzir as infusões, que passaram a ser realizadas a cada oito semanas. Relatou que houve melhora na qualidade de vida, maior autonomia, mais estabilidade profissional, além de maior segurança para organizar a rotina e viajar com a família. Faz uso do medicamento desde setembro de 2025, referindo boa adaptação e ausência de eventos adversas relevantes. Destacou, ainda, menor desgaste das veias e dos acessos venosos, considerando que o maior intervalo entre as infusões favorece a recuperação física.

Por sua vez, o representante com experiência com o crovalimabe relatou ter iniciado tratamento para HPN com o eculizumabe, em 2021, obtido por meio de judicialização. No entanto, houve falha terapêutica e precisava realizar várias transfusões, além de ser internado em diferentes momentos. Segundo seu relato, como acessava o medicamento por meio de judicialização, havia atrasos recorrentes, o que prejudicava o seu tratamento. Posteriormente, por meio de participação em pesquisa clínica em um Centro de Referência para tratamento de HPN, passou a ter acesso ao crovalimabe. Segundo seu relato, desde o início do uso do medicamento não necessitou mais de novas transfusões sanguíneas. Em relação a administração, informou que a sua filha (enfermeira) aplica na região abdominal, no intervalo de 28 dias, com retirada do medicamento na clínica a cada três meses. Destacou

ainda que, atualmente, consegue praticar atividade física e não precisa mais faltar no trabalho para realizar o tratamento, diferentemente do período em que realizava infusões frequentes com eculizumabe.

A representante com experiência no iptacopana informou ter sido diagnosticada com HPN há 11 anos e que, durante sete anos, realizou tratamento infusional, com eculizumabe, no intervalo de 14 dias, porém sem alcançar resposta clínica completa. Relatou que, especialmente na segunda semana após as infusões, observava comprometimento importante na sua qualidade de vida, com dificuldades para realizar as atividades diárias. Ademais, também sentia fadiga, apatia, limitação física, como dificuldade para subir escadas, além de perda de concentração, memória e raciocínio. Segundo a participante, após começar o tratamento com iptacopana, as taxas de hemoglobina normalizaram, observou redução significativa da fadiga e melhora do desempenho físico e cognitivo. Sobre a via de administração do medicamento, destacou que, por ser oral tem mais autonomia. Além disso, pontuou que não apresenta dificuldades para ingestão do medicamento, sendo necessário apenas adaptar a rotina aos horários de administração, realizados em intervalos de 12 horas. Não relatou eventos adversos.

A representante com experiência com o pegcetacoplana informou ter sido diagnosticada com HPN em 2015. Naquele momento, iniciou o tratamento com eculizumabe, contudo, mesmo com o tratamento, os níveis de ferritina continuavam elevados, acarretando a necessidade de transfusões sanguíneas. A representante também informou ter sido hospitalizada em algumas ocasiões em decorrência de complicações associadas à doença. Em abril de 2025 passou a utilizar o pegcetacoplana. Após o início do novo tratamento, percebeu melhora significativa na disposição física para realizar as atividades diárias e laborais, além de ausência de episódios de fadiga e esquecimentos.

Durante o seu relato, a participante também destacou que a administração da pegcetacoplana é mais prática e de fácil manejo, realizada por meio de bomba de infusão. Sobre esse dispositivo, destacou que insere e remove automaticamente a agulha após o acioná-lo. Por fim, informou que, na ausência pegcetacoplana, retoma temporariamente o uso do eculizumabe para evitar a necessidade de novas 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 discutiram a incorporação de novas terapias para hemoglobinúria paroxística noturna, posicionando ravulizumabe e crovalimabe como opções de primeira linha e pegcetacoplana e iptacopana como alternativas para pacientes com falha aos inibidores de C5. Embora

tenha sido reconhecida a maior conveniência posológica dessas tecnologias em relação ao eculizumabe, especialmente diante das barreiras logísticas no SUS, prevaleceu a preocupação com a sustentabilidade econômica frente à possível redução de preços do eculizumabe com a entrada de biossimilares. Assim, concluiu-se, por maioria, pela recomendação preliminar desfavorável, condicionada à revisão das propostas comerciais pelas empresas.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, do ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana para o tratamento de pacientes com Hemoglobinúria Paroxística Noturna. 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 sobre a competitividade dos preços das tecnologias avaliadas e o potencial impacto sobre a sustentabilidade orçamentária com a adoção dessas tecnologias ao SUS. Embora tenha reconhecido vantagens operacionais associadas à maior comodidade posológica e à redução de barreiras assistenciais em comparação ao eculizumabe, medicamento atualmente disponível no SUS, o Comitê as considerou como insuficientes para justificar a incorporação diante das condições econômicas apresentadas. Os membros ressaltaram, ainda, que não se trata de uma população desassistida atualmente no SUS.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 49, 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 730 contribuições, sendo a maioria favorável à incorporação das tecnologias, destacando a garantia de acesso e a ampliação das opções terapêuticas para HPN no SUS, a comodidade posológica, a possibilidade de individualização do tratamento, o atendimento a necessidades terapêuticas não contempladas e a efetivação da incorporação do ravulizumabe no sistema de saúde. Também foram mencionadas a gravidade da HPN e possível redução de custos. As opiniões desfavoráveis defenderam a manutenção do eculizumabe como primeira linha de tratamento, tendo em vista a produção de biossimilares do medicamento, e a preocupação com a sustentabilidade orçamentária do SUS. Entre os benefícios da experiência com os medicamentos avaliados, os respondentes destacaram comodidade posológica, facilidade de administração, ganho de qualidade de vida, efetividade e segurança. As principais dificuldades associadas aos medicamentos incluíram dificuldade de acesso, resposta

terapêutica limitada e dificuldades relacionadas ao uso e à administração das tecnologias. O eculizumabe foi a tecnologia mais citada entre a experiência com outras tecnologias, sendo reconhecido por sua efetividade e pelos desafios associados à dependência de acesso venoso, menor intervalo entre as doses, redução da qualidade de vida e resposta terapêutica limitada.

As contribuições de caráter técnico-científico apresentaram um novo estudo de comparação indireta entre iptacopana e pegcetacoplana, publicado após o relatório preliminar, que demonstrou superioridade da iptacopana para resultados de benefícios clínicos e segurança. Ademais, as fabricantes das quatro tecnologias enviaram propostas comerciais. Em comparação ao preço atual do eculizumabe, o ravulizumabe e o crovalimabe apresentaram menores custos de tratamento. Considerando o possível preço do eculizumabe biossimilar, apenas o ravulizumabe apresentou custo superior no primeiro ano e os dois apresentaram menores custos no segundo ano. Entretanto, quando considerado o menor preço internacional do eculizumabe, tanto o ravulizumabe quanto o crovalimabe apresentaram custos superiores. Na nova análise, a iptacopana passou a apresentar melhor relação de custo e benefício em comparação com a pegcetacoplana.

Com a atualização da avaliação de impacto orçamentário, para os pacientes em primeira linha, o crovalimabe apresentou o menor custo de tratamento entre as tecnologias avaliadas, ainda que o ravulizumabe também tenha apresentado economia. Entretanto, considerando o menor preço internacional de eculizumabe, tanto crovalimabe quanto ravulizumabe apresentaram acréscimo de custos. Para a segunda linha, a incorporação tanto de iptacopana como de pegcetacoplana promoveria redução do impacto orçamentário considerando o custo praticado atualmente pelo Ministério da Saúde e o possível preço da produção de biossimilar do eculizumabe. Considerando o menor preço internacional de eculizumabe e comparando iptacopana e pegcetacoplana, a pegcetacoplana apresentou o maior custo anual ao longo de todo o horizonte de cinco anos. Assim, a análise de impacto orçamentário confirma que a incorporação das novas tecnologias permanece estritamente dependente da política de preços do eculizumabe. A precificação atual do eculizumabe favorece a incorporação das novas alternativas sob a perspectiva de redução de custos para o SUS. Todavia, em cenários de redução de preço do eculizumabe, a maioria das tecnologias passa a gerar impacto orçamentário incremental.

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.

Para a primeira linha, considerou-se que ravulizumabe e crovalimabe apresentaram benefícios clínicos semelhantes ao eculizumabe, sem evidências de inferioridade, mas destacou que os resultados econômicos foram sensíveis ao preço futuro do eculizumabe. A nova proposta de preço do ravulizumabe, apresentada pela empresa demandante durante a reunião da Conitec, melhorou seus resultados e passou a favorecer essa tecnologia em relação ao crovalimabe, embora persistisse incertezas quanto ao preço futuro do comparador. Também foram considerados aspectos operacionais, como a autoadministração do crovalimabe e a menor frequência de administração do ravulizumabe.

Para a segunda linha, reconheceu-se a necessidade de alternativas para pacientes com resposta inadequada aos inibidores terminais. A discussão com o especialista destacou a persistência de anemia residual em parte dos pacientes e o papel da hemólise extravascular, não adequadamente controlada pelos inibidores de C5. O Comitê também considerou as evidências clínicas e econômicas, a relação de custo-efetividade e as características de administração.

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 exclusão do ravulizumabe para o tratamento de indivíduos com hemoglobinúria paroxística noturna; a não incorporação do crovalimabe para o tratamento de indivíduos com hemoglobinúria paroxística noturna virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5; a não incorporação de pegcetacoplana para o tratamento de indivíduos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL e a incorporação de iptacopana para o tratamento de indivíduos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <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 10/04/2026 para o Ravulizumabe (Ultomiris®):

Pacientes adultos e pediátricos com peso corporal igual ou superior a 10 kg com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 26/01/2026 para o Crovalimabe (Piasky®):

Tratamento de pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) e peso corporal de pelo menos 40 kg.

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 24/03/2025 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 em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 19/05/2025 para o Iptacopana (Fabhalta®):

- Tratamento de adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN).
- Tratamento de adultos com glomerulopatia por complemento 3 (C3G).

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de indivíduos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (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.