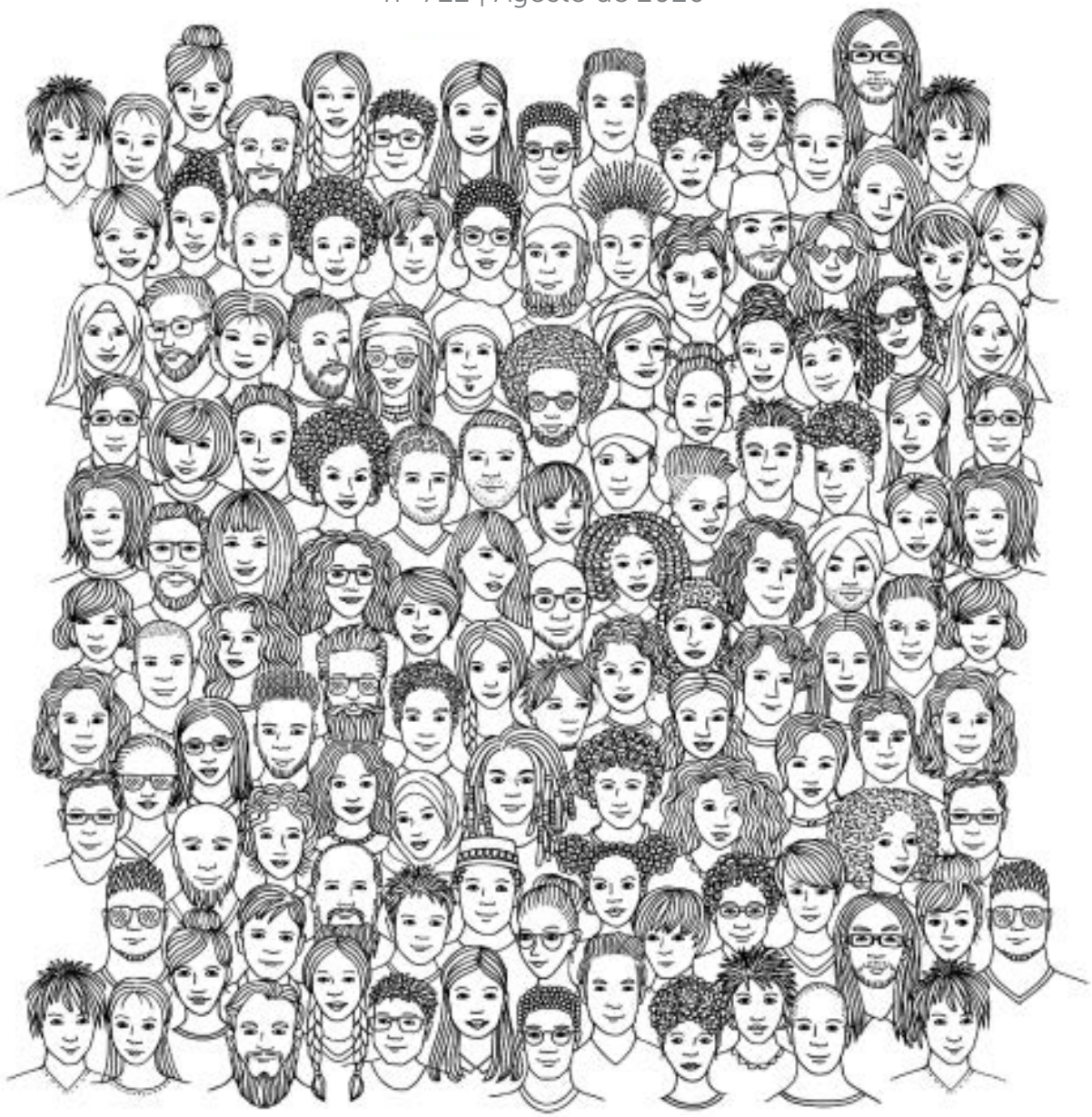
nº 722 | Agosto de 2026



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

CROVALIMABE

para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40 kg com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5

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
Marina Kuebler Silva
Dyana Helena de Souza
Melina Sampaio de Ramos Barros
Nayra Thamires Alves Ramos

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 HPN são tratados no SUS? 5

Medicamento analisado: crovalimabe 5

Perspectiva do Paciente 7

Recomendação inicial da Conitec 7

Resultado da consulta pública 8

Discussão da Conitec na apreciação final 9

Recomendação final da Conitec 9

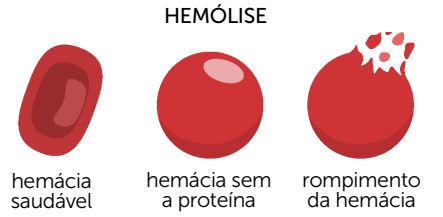
Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa 11

CROVALIMABE

para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40 kg com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5

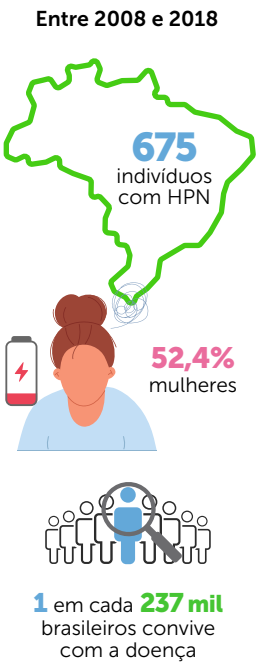
O que é Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)?

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.



As hemácias são destruídas de forma excessiva, o que pode causar anemia e aumentar o risco de complicações graves, como trombose e danos aos órgãos.

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.

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: crovalimabe

A Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. solicitou à Conitec a avaliação para incorporação, ao SUS, do crovalimabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40 kg com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN), virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5.

O medicamento tem indicação aprovada na Anvisa para pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais com HPN e peso corporal de pelo menos 40 kg. A posologia é feita por doses de ataque e de manutenção, cuja administração pode variar entres infusões intravenosas (diretamente na veia), realizadas por profissionais de saúde, e injeções subcutâneas (embaixo da pele), em que é possível a autoadministração ou administração por um cuidador.

O crovalimabe é um anticorpo monoclonal que se liga a proteína C5 e impede que ela ative uma reação em cadeia que causa a destruição das células sanguíneas (cadeia do sistema complemento). Além disso, o medicamento consegue ter um efeito prolongado no organismo, por captar essas proteínas e eliminá-las. Dessa forma, sua administração pode ser feita em volumes menores e em intervalos de tempo maiores entre as doses.

Dos três estudos de evidências clínicas analisados, dois avaliaram o crovalimabe em comparação ao eculizumabe, e um avaliou o crovalimabe sem comparar com outro medicamento. Em relação aos efeitos desejáveis, a avaliação indicou que o medicamento foi capaz de controlar a destruição das células sanguíneas (hemólise), de evitar transfusões do sangue e de promover ganhos relacionados à qualidade de vida. No caso de efeitos indesejáveis, o crovalimabe apresentou mais eventos adversos, incluindo reações relacionadas à infusão, infecções e alterações nos exames de sangue. Ainda assim, esses eventos não levaram à descontinuidade do tratamento.

A avaliação econômica comparou os custos do crovalimabe com os inibidores de C5 disponíveis no SUS, o eculizumabe e o ravulizumabe, e considerou os custos de disponibilização do medicamento por toda a vida dos usuários. Na análise econômica enviada pelo demandante, o crovalimabe apresentou custos anuais menores que o eculizumabe e ravulizumabe. Contudo, devido às incertezas no modelo e à possível redução no preço no eculizumabe biossimilar, a ser disponibilizado no Brasil, o crovalimabe perdeu a vantagem de oferecer um tratamento mais barato quando comparado às projeções de preço de um eculizumabe produzido nacionalmente. No cálculo de dois cenários possíveis, o crovalimabe passaria a custar de R$ 288.775,22 a R$ 662.460,31 a mais no primeiro ano e de R$ 87.356,89 a R$ 438.530,83 a mais a partir do segundo ano de tratamento.

Com relação ao impacto orçamentário da incorporação do medicamento no SUS para a população elegível, foram estimados, ao longo de cinco anos, os custos de aquisição e administração do crovalimabe, também em comparação ao eculizumabe e ao ravulizumabe. O modelo considera, também, a migração de pacientes entre tratamentos no cenário proposto. Assim, o impacto indicaria uma economia de aproximadamente R$ 72,2 milhões ao final dos cinco anos. Considerando o cenário de aquisição de um eculizumabe biossimilar, que custaria menos, o impacto orçamentário teria uma economia de R$ 115.942.154,39 no mesmo período, influenciado pela redistribuição do uso dos medicamentos ao longo dos cinco anos.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 61/2025 esteve aberta durante o período de 11/07/2025 a 21/07/2025 e recebeu 4 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.

O representante 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 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.

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

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por maioria simples, a não incorporação, ao SUS, do crovalimabe para o tratamento de pessoas com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN). 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 avaliou conjuntamente tecnologias indicadas para o tratamento da HPN. A análise integrada foi realizada após solicitação do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos, que demandou avaliação conjunta das tecnologias ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana, considerando tratar-se de alternativas terapêuticas para a mesma condição clínica no âmbito do SUS. Essa avaliação conjunta visa harmonizar a análise, a fim de aprimorar a tomada de decisão no contexto dessa condição.

Os membros do Comitê discutiram principalmente sobre questões relacionadas ao impacto orçamentário, considerando a futura disponibilidade de biossimilares (ou seja, versões

altamente semelhantes a um medicamento biológico de referência que já teve sua patente expirada) do eculizumabe a partir de 2027. Na avaliação conjunta das tecnologias - que inclui o crovalimabe -, foram questionadas as premissas adotadas na avaliação econômica e na análise de impacto orçamentário, bem como incertezas relacionadas aos preços futuros e à implementação de Parcerias para o Desenvolvimento Produtivo (PDP) para o eculizumabe. Além disso, destacou-se como aspecto central do debate a comodidade posológica e os potenciais ganhos em qualidade de vida proporcionados pelo crovalimabe, conforme relatos dos pacientes.

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

- Você já utilizou outro medicamento inibidor do complemento (eculizumabe ou ravulizumabe)? Se sim, qual foi o medicamento e o motivo da sua interrupção?
- Em comparação aos inibidores, percebeu maiores benefícios clínicos ou dificuldades no tratamento com o crovalimabe?
- Ao longo do tratamento com o crovalimabe, como foi realizada a administração do medicamento?
- Após o início do uso do crovalimabe, houve mudança na frequência de transfusões de sangue que você recebe?
- O uso do crovalimabe alterou os seus níveis de hemoglobina?
- Ocorreu melhora na fadiga após a experiência com crovalimabe?
- Houve melhora no quadro de anemia com a crovalimabe?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 47, 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 94 contribuições de experiência e opinião, das quais 93 foram classificadas como válidas por tratarem do tema em avaliação. A maioria dos participantes manifestou-se favoravelmente à incorporação da tecnologia avaliada, afirmaram a importância da garantia de acesso devido ao alto custo do medicamento, a efetividade da tecnologia na remissão da doença e na melhora da qualidade de vida. Também destacaram a facilidade da aplicação do medicamento pela própria pessoa com a condição de saúde (aplicação subcutânea) e a redução de custos com o tratamento, no que se refere à internação e à necessidade de aplicação em ambiente hospitalar. Dificuldades de acesso e eventos adversos foram apontadas como limitações. Sobre outras tecnologias citadas para o tratamento da HPN, a efetividade,

a melhora da qualidade de vida e o ganho de sobrevida foram mencionados como efeitos positivos e as dificuldades de acesso, como negativo.

Foram enviadas 21 contribuições técnico-científicas, das quais 17 foram consideradas válidas (11 clínicas e 6 econômicas). Somadas aos seis anexos econômicos, totalizaram-se 12 contribuições econômicas e as seis contribuições sobre evidências científicas mencionaram estudos já incluídos no relatório de recomendação preliminar. A maioria das contribuições econômicas levantou questionamentos sobre os cenários relacionados ao possível preço do eculizumabe biossimilar e suas incertezas. O demandante apresentou uma nova proposta comercial, no valor de R$ 28.200,00 por frasco-ampola, a partir da qual foi elaborado um novo resultado de avaliação econômica. Na nova análise de custo-minimização, os resultados variaram conforme o preço considerado para o eculizumabe. Em comparação ao eculizumabe, o crovalimabe apresentou menores custos de tratamento nos cenários de preço atual e do possível preço do eculizumabe biossimilar. Entretanto, considerando o cenário de menor preço internacional do eculizumabe, o crovalimabe apresentou custos superiores. No que concerne à atualização da análise de impacto orçamentário, para os pacientes em primeira linha, o crovalimabe apresentou o menor custo de tratamento entre as tecnologias avaliadas, resultando em economia acumulada de aproximadamente R$ 354 milhões ao final de cinco anos no cenário base (preço atual do eculizumabe). No cenário alternativo (possível preço do eculizumabe biossimilar), o crovalimabe permaneceu como a alternativa de menor custo, com economia acumulada de R$ 83 milhões. Todavia, ao se considerar o menor preço internacional do eculizumabe, o crovalimabe apresentou impacto incremental, de aproximadamente R$ 251 milhões.

Discussão da Conitec na apreciação final

Durante a 30ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada em 19 de agosto de 2026, o Comitê de Medicamentos discutiu conjuntamente as tecnologias destinadas ao tratamento da HPN, considerando as evidências clínicas, os resultados das avaliações econômicas, os aspectos relacionados à administração e as perspectivas de evolução do mercado do eculizumabe. Para a primeira linha de tratamento, o Comitê considerou que ravulizumabe e crovalimabe apresentaram benefícios clínicos semelhantes aos do eculizumabe. Devido à similaridade em benefícios clínicos, os resultados econômicos assumiram papel central na discussão, com a consideração de diferentes cenários de preço para o eculizumabe. Nos cenários de preço atual e do possível preço do eculizumabe biossimilar, ravulizumabe e crovalimabe poderiam resultar em economia para o SUS; entretanto, no cenário de menor preço internacional do eculizumabe, ambas as tecnologias apresentaram custos superiores ao comparador. Também foram discutidos aspectos relacionados à administração das tecnologias e à organização da

rede assistencial. Ao final, considerando as evidências clínicas, os resultados econômicos e as perspectivas de evolução do mercado do eculizumabe, o Comitê de Medicamentos deliberou pela não incorporação do crovalimabe para o tratamento da HPN.

Recomendação final da Conitec

A 30ª Reunião Extraordinária da Conitec foi realizada no dia 19 de agosto de 2026. O Comitê de Medicamentos recomendou, por maioria simples, a não incorporação, ao SUS, do crovalimabe para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna.

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 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 proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento da HPN em pacientes adultos e pediátricos maiores de 13 anos e com peso de pelo menos 40kg, virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5.

*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.