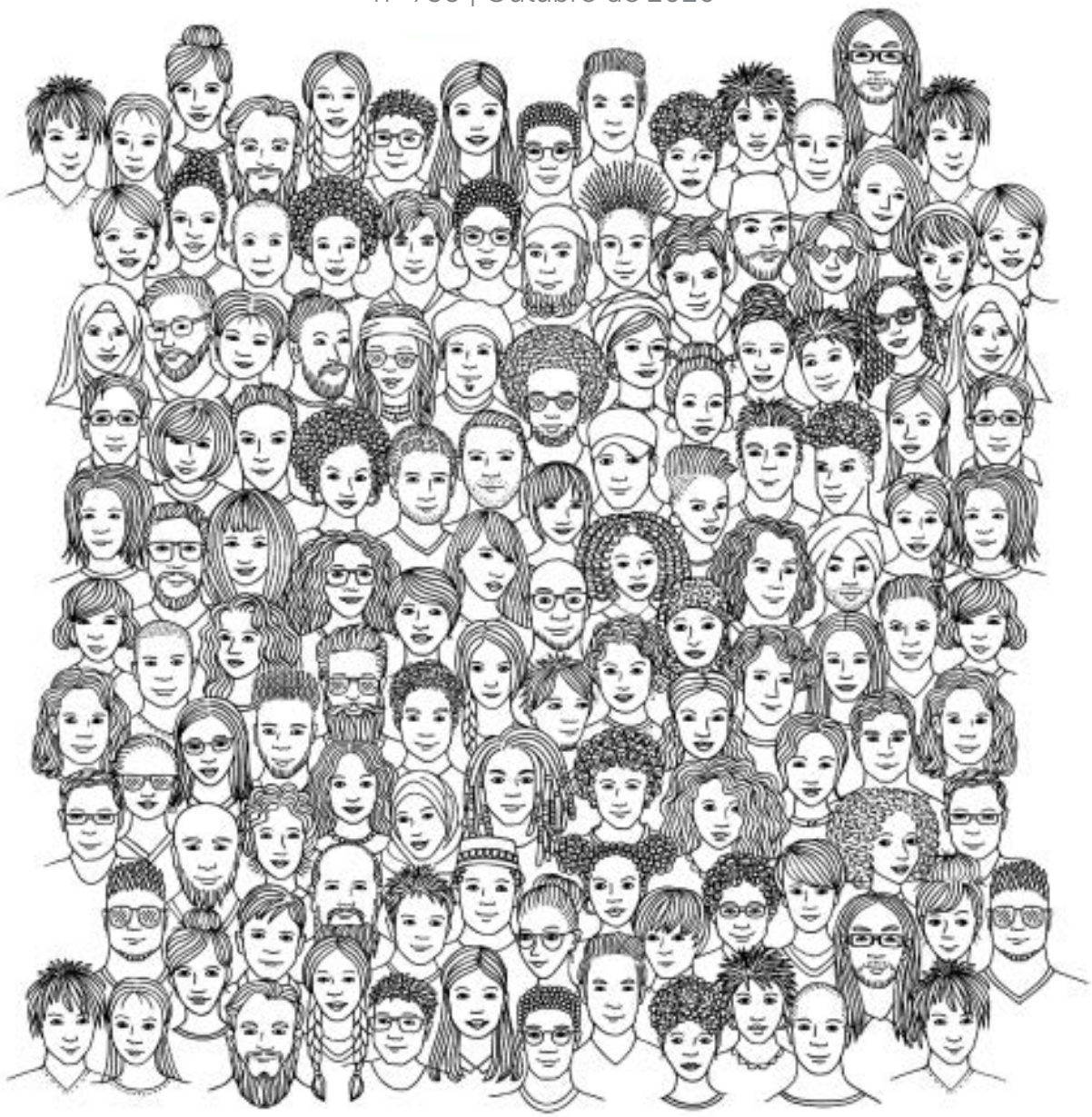
nº 738 | Outubro de 2026



RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

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

ELAFIBRANOR

para o tratamento de pacientes com colangite biliar primária com resposta inadequada ou intolerantes ao ácido ursodesoxicólico

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

Revisão técnica
Laura Mendes Ribeiro
Pedro Henrique Santos Moraes

Layout e diagramação
Patricia Mandetta Gandara

Supervisão
Luciene Fontes Schluckebier Bonan

Sumário

O que é a Colangite Biliar Primária (CBP)? 4

Como os pacientes com Colangite Biliar Primária (CBP) são tratados no SUS?....5

Medicamento analisado: elafibranor....5

Perspectiva do Paciente....6

Discussão da Conitec na apreciação inicial....7

Recomendação inicial da Conitec....7

Resultado da consulta pública....7

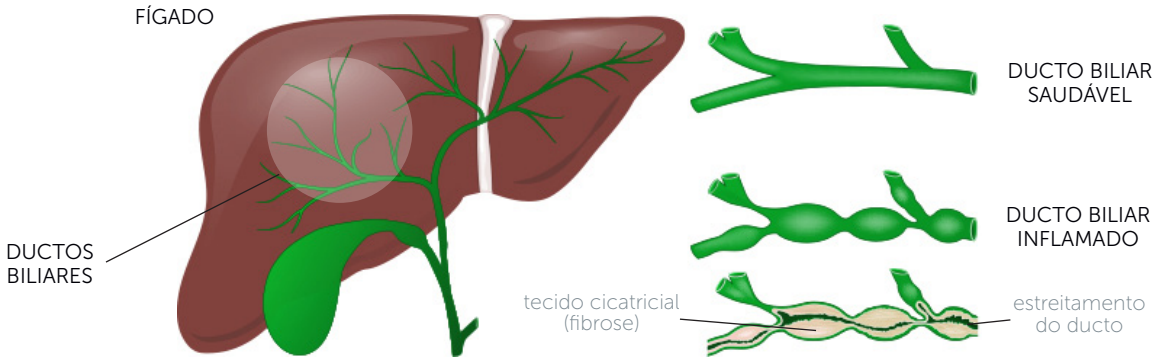
Discussão da Conitec na apreciação final....8

Recomendação final da Conitec....9

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

O que é a Colangite Biliar Primária (CBP)?

A Colangite Biliar Primária (CBP) é uma doença crônica e progressiva, que ocorre quando o sistema imunológico, responsável pela defesa do organismo, ataca os ductos biliares interlobulares, que são pequenos canais que transportam a bile (produzida com a finalidade de digerir gorduras) do fígado para o intestino. Essa alteração nos ductos pode gerar um acúmulo de bile no fígado, provocando uma inflamação contínua. Como defesa, o órgão produz o tecido cicatricial, que vai se acumulando, enrijecendo o fígado e dificultando o seu funcionamento. É quando ocorre a fibrose hepática, condição que, se não for tratada, pode evoluir para cirrose e insuficiência hepática, um comprometimento geral das funções do fígado.



A CBP pode ser causada por fatores genéticos e ambientais, como tabagismo, infecções urinárias e exposição a produtos cosméticos, que provocam a perda de tolerância imunológica das células que revestem os ductos biliares. A CBP atinge, geralmente, mulheres na faixa etária de 40 a 70 anos, o que sugere influência hormonal, particularmente dos estrogênios, que modulam a resposta imunológica. No entanto, apesar de ser mais comum entre mulheres, os homens costumam apresentar formas mais avançadas da doença ao serem diagnosticados.

O diagnóstico da CBP baseia-se na combinação de exames clínicos, laboratoriais, de imagem e histopatológicos, os quais envolvem a retirada de tecido hepático por meio de pequenos cortes ou cirurgias, para avaliação (biópsias). Esses exames são essenciais para estabelecer o diagnóstico, avaliar o estágio da doença e estimar o risco de progressão, a fim de definir o melhor tratamento para cada caso. Atualmente, o diagnóstico da doença ocorre em fases iniciais da condição, em que 50% dos casos são assintomáticos, que não apresentam nenhum sintoma perceptível ao longo de todo o quadro clínico. Entre os pacientes que apresentam sintomas, o cansaço extremo (fadiga) e as coceiras (prurido) são as manifestações mais frequentes.

Os registros estimam a ocorrência de 18,1 casos de CBP a cada 100 mil habitantes distribuídos ao redor do mundo todo. No entanto, ainda não existem dados que apresentem como está a ocorrência da CBP no Brasil.



Como os pacientes com Colangite Biliar Primária (CBP) são tratados no SUS?

O tratamento da CBP requer diagnóstico precoce, terapia farmacológica e constante acompanhamento da condição clínica para prevenir complicações e melhorar o estado da doença. O Protocolo Clínico e Diretriz Terapêutica (PCDT) atual, publicado em 2020, prevê apenas o uso do ácido ursodesoxicólico (AUDC) como primeira opção de tratamento para CBP no Sistema Único de Saúde (SUS). Este medicamento está associado a redução de colesterol e ao controle da doença. Apesar disso, não há melhora significativa em sintomas como fadiga, prurido ou complicações ósseas, além de poder ocasionar eventos adversos como ganho de peso, alterações gastrointestinais leves e piora do prurido. Atualmente, não há opções de tratamento para pacientes com contraindicação ou resposta inadequada ao uso do AUDC. O bezafibrato já está disponível no SUS para outras indicações e apresenta evidências promissoras como terapia combinada com o AUDC.

Medicamento analisado: elafibranor

A Beaufour Ipsen Farmacêutica Ltda. solicitou à Conitec a avaliação para incorporação, ao SUS, do elafibranor para o tratamento de pacientes com colangite biliar primária (CBP) com resposta inadequada ou intolerantes ao ácido ursodesoxicólico (AUDC).

O elafibranor possui indicação na Anvisa para o tratamento da CBP em combinação com AUDC em adultos com uma resposta inadequada ao AUDC, ou como monoterapia em adultos incapazes de tolerar o AUDC. A indicação é para uso adulto e a administração é por dose diária em via oral. O medicamento atua ativando genes que regulam o metabolismo da glicose e das gorduras, que reduzem a inflamação e que controlam o equilíbrio (homeostase) dos lipídios no organismo. Com isso, reduz a toxicidade da bile e o seu acúmulo no fígado, o que contribui para a redução de lesões no órgão e para a melhora no fluxo da bile (colestase).

A análise de evidências clínicas avaliou a eficácia e a segurança do elafibranor para a condição de saúde indicada, em comparação ao placebo. O placebo é uma substância sem efeito esperado sobre a doença, utilizada em pesquisas como comparador para ajudar a entender se os resultados observados estão relacionados ao medicamento avaliado. Dessa forma, o medicamento foi considerado eficaz na melhora ou normalização de exames laboratoriais

(fosfatase alcalina; bilirrubina total; marcadores não invasivos de fibrose hepática), do prurido, da qualidade de vida e da fadiga dos pacientes. Contudo, esses resultados devem ser interpretados com cautela, uma vez que foi encontrada baixa precisão em alguns desses efeitos, como é o caso do controle de prurido. A redução dos níveis de fosfatase alcalina, exame relacionado ao funcionamento do fígado, foi maior entre as pessoas que utilizaram elafibranor. Em relação à segurança, não foram encontradas diferenças significativas, embora haja tendência de maior ocorrência de eventos adversos com o uso do elafibranor do que com o uso do placebo.

Na avaliação econômica, foram calculados os custos do elafibranor em comparação ao AUDC, considerando o seu uso pela população com CBP até o fim da vida. Inicialmente, a análise econômica elaborada pelo demandante – Beaufour Ipsen Farmacêutica Ltda. – apontou para um custo de R$ 661.295,00 por ano de vida ganho com qualidade (AVAQ). A avaliação desses dados encontrou limitações com relação aos desfechos em saúde e cálculos de custo do medicamento. Com isso, a análise econômica foi ajustada e estabeleceu que elafibranor custa R$ 720.196,00 por ano de vida ganho com qualidade (AVAQ), valor considerado acima do limiar de referência – R$ 40.000,00 – que o SUS adota para incorporações de tecnologias. Assim, o elafibranor não foi considerado custo-efetivo, o que significa que, nessa análise, os benefícios em saúde estimados para a incorporação do medicamento não justificariam o seu custo para o SUS.

A análise de impacto orçamentário (AIO), que estima as consequências financeiras da incorporação de um medicamento, considerou os custos da incorporação do elafibranor para pacientes adultos com CBP com resposta inadequada ou intolerantes ao AUDC, ao longo de cinco anos. Estimou-se que o medicamento teria uma difusão para 30% da população no primeiro ano, com um aumento gradual chegando a 70% da população no último ano. A princípio, a AIO considerou que a incorporação do medicamento teria um custo de R$ 1.2 bilhão ao final de cinco anos. Devido às limitações em relação aos dados apresentados, a comissão elaborou uma nova análise que chegou a um impacto orçamentário de R$ 2.7 bilhões em cinco anos.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 30/2026 foi aberta de 9/3/2026 a 19/3/2026 e recebeu cinco inscrições. A representante titular foi definida a partir de sorteio realizado em plataforma digital com transmissão em tempo real e com gravação enviada posteriormente para todos os inscritos, não houve representante suplente. No entanto, a representante definida não deu continuidade ao processo preparatório, sem tempo hábil para a consolidação de novas representações pela Secretaria-Executiva da Conitec. Assim, não houve participação.

Discussão da Conitec na apreciação inicial

Durante a 153ª Reunião Ordinária da Conitec, no dia 1 de julho, os membros do Comitê de Medicamentos deliberaram sobre a apreciação inicial deste tema. A discussão se concentrou na gravidade da CBP, considerando o diagnóstico frequentemente tardio e a resposta limitada ao tratamento com o AUDC, opção atualmente disponível no SUS. Além disso, foram debatidas as evidências de eficácia do elafibranor, como a redução da fosfatase alcalina, as limitações do uso off-label de fibratos e as incertezas do uso do elafibranor para a redução da necessidade de transplante hepático e de mortalidade. Foi sinalizado a intenção de analisar os resultados da consulta pública do elafibranor em conjunto com a avaliação do bezafibrato, considerando a necessidade de definir o posicionamento terapêutico e econômico mais adequado para o manejo da CBP no SUS.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por unanimidade, a não incorporação, ao SUS, do elafibranor para o tratamento de pacientes adultos com CBP com resposta inadequada ou intolerantes ao AUDC. A recomendação preliminar do Comitê fundamentou-se, principalmente, no elevado impacto orçamentário, em incertezas relacionadas à maturidade das evidências clínicas e no curto período de experiência pós registro da tecnologia. Esse tema foi discutido durante a 153ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 1, 2 e 3 de julho de 2026.

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 66, durante 20 dias, no período de 5/8/2026 a 24/8/2026, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 578 contribuições, das quais 576 foram consideradas válidas. A maioria dos participantes foi favorável à incorporação, ao SUS, do elafibranor, com base na carga da condição de saúde, nas limitações dos tratamentos disponíveis, na necessidade de ampliar as opções terapêuticas, nos benefícios da tecnologia e na garantia de acesso. Os argumentos contrários à incorporação, mencionaram o elevado impacto orçamentário, a possibilidade de incorporação de tecnologia com menor custo incremental e as limitações das evidências clínicas. Aqueles com experiência com a tecnologia destacaram, como aspectos positivos, sua efetividade no controle dos sintomas e da doença, na melhora da fibrose e dos marcadores

bioquímicos, na redução da necessidade de transplante e no aumento da sobrevida. Como aspectos negativos, apontaram barreira de acesso, ausência de evidências clínicas de longo prazo e eventos adversos. Outras tecnologias para tratamento da CBP mencionadas foram o ácido ursodesoxicólico e o bezafibrato, com destaque para a efetividade, o aumento da qualidade de vida e a facilidades de acesso. Como aspectos negativos, foram citados efetividade limitada, eventos adversos, limitações das evidências clínicas, necessidade de monitoramento e tecnologia sem indicação em bula.

As contribuições técnico-científicas corroboram com aspectos identificados no relatório preliminar, como uma necessidade terapêutica não atendida, os efeitos do elafibranor sobre parâmetros bioquímicos da doença e à relevância clínica da disponibilidade de uma opção de segunda linha. Foram identificadas contribuições que reconheceram as limitações apontadas no relatório, como a ausência de demonstração de benefícios em desfechos clínicos finais, o curto período de acompanhamento e o alto custo e impacto orçamentário da tecnologia. Diante do exposto, as contribuições recebidas na consulta pública não trouxeram novos elementos de evidência clínica capazes de mitigar as incertezas identificadas. A empresa demandante se manifestou pela revisão da recomendação preliminar desfavorável e, para embasar suas considerações, destacou a lacuna terapêutica existente, ressaltou que o elafibranor é a única tecnologia com registro sanitário no país para a CBP e apresentou uma nova proposta de preço (R$ 252,75 por comprimido). Dessa forma, as avaliações econômica e de impacto orçamentário foram recalculadas. No cenário base, calculou-se um custo de R$ 258.591,87 por ano de vida ganho com qualidade (AVAQ), enquanto no cenário alternativo de R$ 124.501,93 por AVAQ. Conforme as atualizações, o impacto orçamentário da incorporação, em cinco anos, seria de R$ 991.913.582,89 no cenário base e de R$ 336.247.682,13 no cenário alternativo.

Discussão da Conitec na apreciação final

Na 156ª Reunião Ordinária da Conitec, o Comitê de Medicamentos discutiu a efetividade, segurança e a viabilidade econômica da incorporação do elafibranor para o tratamento de pacientes adultos com CBP que apresentam resposta inadequada ou intolerância ao AUDC. Embora tenha sido demonstrado benefício na redução da fosfatase alcalina, não foi observada superioridade estatística robusta nos demais desfechos clínicos. A proposta de restringir o uso da tecnologia a pacientes com resposta inadequada ou intolerância ao bezafibrato gerou diferentes perspectivas entre os membros do Comitê, sobretudo diante da ausência de evidências clínicas específicas que fundamentassem sua utilização como terceira linha de tratamento. No âmbito econômico, destacou-se que o preço do elafibranor era aproximadamente 200 vezes superior ao do bezafibrato, além de as condições comerciais terem sido consideradas pouco favoráveis à sustentabilidade da incorporação. Diante das evidências disponíveis e dos

aspectos econômicos avaliados, o plenário deliberou, por maioria simples, desfavoravelmente à incorporação do elafibranor ao SUS, considerando que os benefícios demonstrados não justificavam seu elevado custo.

Recomendação final da Conitec

A 156ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 7, 8 e 9 de outubro de 2026. No dia 7, o Comitê de Medicamentos recomendou, por maioria simples, a não incorporação, ao SUS, do elafibranor para o tratamento de pacientes com colangite biliar primária com resposta inadequada ou intolerantes ao ácido usodesoxicólico.

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 07/04/2026 para o elafibranor (IQIRVO®):

Tratamento da colangite biliar primária (CBP) em combinação com ácido ursodesoxicólico (AUDC) em adultos com uma resposta inadequada ao AUDC, ou como monoterapia em adultos incapazes de tolerar o AUDC.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de pacientes adultos com CBP com resposta inadequada ou intolerantes ao AUDC.

*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.