

ATA DA 144ª REUNIÃO ORDINÁRIA DA CONITEC

Comitê de Medicamentos

Membros do Comitê Presentes: CFM, SECTICS/MS, SAES/MS, SGTES/MS, SVSA/MS, ANVISA, CNS, CONASS, CONASEMS, AMB e NATS.

Ausentes: SAPS/MS, SE/MS, SESAI/MS e ANS.

As reuniões da Conitec têm ocorrido, desde a 107ª Reunião Ordinária, em formato híbrido. Essa reunião foi gravada em vídeo e está disponibilizada no sítio eletrônico da Comissão.

03 de setembro de 2025

Assinatura da ata da 143ª Reunião Ordinária e das 24ª e 25ª Reuniões Extraordinárias da Conitec.

Apreciação das contribuições de consulta pública do sunitinibe para o tratamento de indivíduos com tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe.

Título do Tema: sunitinibe para o tratamento de indivíduos com tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe.

Tecnologia: Sunitinibe

Indicação: Tratamento do tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe.

Solicitação: Incorporação

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (SECTICS/MS)

Apresentação: Unidade de Avaliação de Tecnologias em Saúde (UATS) do Hospital Alemão Oswaldo Cruz (HAOC)

ATA: "Esse texto foi elaborado com auxílio de inteligência artificial". Inicialmente uma técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) fez uma contextualização sobre a demanda, lembrando que a apreciação inicial do tema ocorreu durante a 139ª reunião ordinária da Conitec, momento em que se emitira recomendação preliminar favorável à incorporação do sunitinibe para tratamento de segunda

linha de tumor do estroma gastrointestinal (GIST) após a falha ao imatinibe. Passou então a apresentar os resultados da análise qualitativa das contribuições recebidas por meio da consulta pública de número 40 de 2025. Disse que foram recebidas cinco contribuições consideradas válidas e que todos os participantes se posicionaram favoravelmente à incorporação da tecnologia em função de aspectos como a possibilidade de controle da doença nos casos de progressão e a melhora na qualidade de vida dos pacientes. Disse que dois respondentes alegaram experiência prévia com a tecnologia em avaliação, empregando-a para o tratamento de câncer com metástase após falha ao imatinibe. Mencionou que os participantes da consulta pública destacaram que as outras tecnologias existentes para tratamento da doença seriam empregadas na primeira linha, citando o imatinibe, e na terceira linha, a exemplo do regorafenibe. Na sequência, pesquisador da Unidade de Avaliação de Tecnologias em Saúde (UATS) do Hospital Alemão Oswaldo Cruz (HAOC) iniciou a apresentação da análise das contribuições técnico-científicas recebidas por meio da referida consulta pública. Falou que foram recebidas duas contribuições para a parte de evidências clínicas e outras duas sobre as evidências econômicas. Explicou que um profissional de saúde mencionou um estudo clínico de fase 3, que seria o mesmo já incluído no parecer técnico-científico original submetido ao Comitê de Medicamentos antes da apreciação inicial do tema. Explicou que, nessa contribuição, o profissional de saúde apontara para um ganho de sobrevida livre de progressão, associado à toxicidade manejável com o uso do sunitinibe. Disse que a Sociedade Brasileira de Oncologia (SBOC) submetera uma contribuição na qual se manifestara favoravelmente à incorporação, reforçando que esse tema deveria receber priorização intermediária a alta. O técnico explicou que a SBOC, em sua contribuição, aplicaria os critérios de avaliação de implementação de medicamentos para incorporação no SUS, que abrangeia vários blocos, incluindo benefício clínico, necessidade terapêutica não atendida, carga da doença e os parâmetros de custo-efetividade e impacto orçamentário. Continuou dizendo que entre os motivos para o posicionamento favorável da SBOC, foram citados o escore atribuído ao medicamento pela escala de benefício clínico da Sociedade Europeia de Oncologia Médica (ESMO). Disse que o sunitinibe recebera um escore quatro em uma escala que varia de um a cinco, onde cinco seria a pontuação máxima. Explicou que, além desse aspecto, a SBOC citou outras justificativas para a incorporação do sunitinibe, a saber, o alto nível de evidência e uma forte recomendação para o emprego do sunitinibe como tratamento preferencial de segunda linha; atendimento ao critério de necessidade terapêutica não atendida, pois não haveria tratamento disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) após a falha ao imatinibe; população elegível restrita, com baixa prevalência e consequentemente impacto orçamentário limitado e cumprimento aos critérios de custo-efetividade. Em seguida apresentou um quadro comparativo no qual mostrou os principais aspectos relacionados à demanda, clínicos e econômicos, antes e após a consulta pública. Explicou que, na apresentação inicial, em relação às evidências clínicas, indicara-se que o tratamento com sunitinibe demonstrara ser mais eficaz que o placebo em termos de sobrevida global e livre de progressão e ganho de tempo até a progressão do tumor, com perfil de segurança gerenciável. Disse sobre a parte econômica que se observara como resultado do estudo econômico, uma razão de custo-efetividade incremental de R\$ 20

mil por ano de vida ajustado à qualidade e R\$ 13 mil por ano de vida ganho. Disse que o impacto orçamentário projetado fora de R\$ 1,4 milhão no primeiro ano, chegando a R\$ 4,1 milhões no quinto ano, totalizando R\$ 13 milhões em cinco anos. Disse que após a avaliação das contribuições da consulta pública, não houve nenhuma alteração nesses parâmetros. Na sequência, uma técnica do DGITS apresentou os resultados do monitoramento do horizonte tecnológico para essa doença. Disse que foram selecionadas quatro tecnologias para esse horizonte, citando o masitinibe, ripretinibe, nivolumabe e inlexisertibe. Disse que alguns desses quatro medicamentos já estariam em estudos clínicos de fases dois ou três, completos ou em desenvolvimento, mas que nenhum deles apresentaria registro para essa condição específica. Encerrada a apresentação, a representante da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico Industrial da Saúde (SECTICS) disse que não houvera nenhuma mudança nas informações que foram apresentadas na apreciação inicial do tema, após a qual emitir-se recomendação preliminar favorável à incorporação do medicamento. Explicou dizendo que, em relação aos aspectos clínicos, o tratamento com sunitinibe preencheria um vazio terapêutico após falha ao imatinibe, dado que a progressão de doses com imatinibe estaria associada a restrições. Comentou que o tratamento com sunitinibe estaria associado a um prolongamento de sobrevida livre de progressão e a aspectos econômicos favoráveis, como relação de custo-efetividade incremental de R\$ 21 mil por ano de vida ajustado pela qualidade e impacto orçamentário acumulado em cinco anos de R\$ 13 milhões. Comentou que os dados apresentados na consulta pública reforçariam a recomendação inicial. Sem outras manifestações se encerrou a apresentação desse tema.

Recomendação final: os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião ordinária da Conitec no dia três de setembro de 2025 deliberaram por unanimidade por recomendar a incorporação do sunitinibe para o tratamento de indivíduos com tumor do estroma gastrointestinal avançado ou metastático, após falha ao imatinibe, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Assim, foi assinado o Registro de Deliberação nº 1.035/2025.

Apreciação das contribuições de consulta pública do regorafenibe para o tratamento de indivíduos com tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe e sunitinibe.

Título do tema: Regorafenibe para o tratamento de indivíduos com tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe e sunitinibe.

Tecnologia: Regorafenibe

Indicação: Tratamento do tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe e sunitinibe.

Solicitação: Incorporação

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (SECTICS/MS)

Apresentação: Unidade de Avaliação de Tecnologias em Saúde (UATS) do Hospital Alemão Oswaldo Cruz (HAOC)

ATA: "Esse texto foi elaborado com auxílio de inteligência artificial". Inicialmente uma técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) fez uma contextualização sobre a demanda, lembrando que consulta pública de número 34 de 2025 permanecera aberta durante o período de 30 de maio a 18 de junho de 2025. Disse que a apreciação inicial do tema ocorrera durante a 139ª reunião ordinária da Conitec, momento em que se emitira recomendação preliminar desfavorável à incorporação da tecnologia. Falou que durante a apreciação preliminar se reconheceria o benefício clínico da tecnologia, mas também a associação a uma elevada razão de custo-utilidade incremental e elevado impacto orçamentário para o Sistema Único de Saúde (SUS). Passou então a apresentar os resultados da análise qualitativa das contribuições recebidas por meio da consulta pública. Disse que foram recebidas e validadas 30 contribuições, das quais 50%, emitidas por cuidadores ou responsáveis, relataram experiência com a tecnologia. Falou que todos os participantes se manifestaram favoravelmente à incorporação dessa tecnologia. Disse que os participantes apontaram como pontos favoráveis à incorporação da tecnologia a garantia do acesso ao tratamento, a possibilidade de ampliação das opções terapêuticas, o aumento da sobrevida livre de doença, a melhora na qualidade de vida dos pacientes e a estabilização da doença. Comentou que outros efeitos positivos destacados foram os eventos adversos manejáveis e a possibilidade do uso da medicação na residência dos pacientes. A respeito dos efeitos negativos ou dificuldades, destacou os eventos adversos, como diarreia, intolerância à dose plena, toxicidade, síndrome mão-pé, dificuldade de acesso ao medicamento e a necessidade de cautela no escalonamento da dose. A respeito de outras tecnologias que foram mencionadas, destacou imatinibe e sunitinibe mencionando os efeitos positivos desses tratamentos, tais como benefício clínico na fase inicial do tratamento, controle prolongado da doença avançada e aumento da sobrevida global. Sobre os efeitos negativos desses medicamentos, mencionou a resistência ao tratamento, a dificuldade de acesso ao imatinibe, perfil dos eventos adversos do sunitinibe e a tolerabilidade, considerando que teriam um perfil similar ao regorafenibe. Por fim disse que os eventos adversos como a síndrome mão-pé e diarreia foram considerados manejáveis pelos participantes da consulta pública. Na sequência, técnico da Unidade de Avaliação de Tecnologias em Saúde (UATS) do Hospital Alemão Oswaldo Cruz (HAOC) iniciou a apresentação das contribuições técnico-científicas. Disse que foram identificadas quatro contribuições para parte de evidências clínicas e uma sobre evidências econômicas. Explicou que três profissionais de saúde submeteram contribuições mencionando o estudo clínico GRID, por meio do qual, segundo os participantes, se estabeleceria a eficácia do tratamento com regorafenibe pelo ganho de sobrevida livre de progressão, principalmente. Complementou dizendo que outro aspecto citado foi a necessidade não atendida para o paciente em progressão. O técnico disse que o citado estudo GRID fora incluído no relatório inicial apresentado ao Comitê de Medicamentos. Em seguida disse que a empresa detentora do registro do

medicamento submeteu uma contribuição na qual alguns pontos foram destacados. Entre esses pontos citou a necessidade não atendida, mencionado a falta de terapias para as segunda e terceira linhas de tratamento de GIST no momento, o que comprometeria o cuidado ao paciente. Disse que a empresa afirmou que o tratamento com regorafenibe teria eficácia clínica comprovada, citando o estudo clínico GRID, e mencionado o ganho de sobrevida livre de progressão e o potencial para ganho de sobrevida global. Disse que a empresa mencionou a existência de recomendação de tratamento com regorafenibe em diretrizes nacionais e internacionais, como as publicadas pela *National Comprehensive Cancer Network* (NCCN), *European Society for Medical Oncology* (ESMO) e Sociedade Brasileira de Oncologia Clínica (SBOC). O técnico disse que a empresa citou algumas agências internacionais de avaliação de tecnologias em saúde (ATS) que recomendaram o tratamento com regorafenibe, a saber, *Canada's Drug Agency* (CDA), *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) e a *Scottish Medicines Consortium* (SMC). Disse que a empresa em sua contribuição ofereceu programa de suporte ao paciente, que poderia favorecer a adesão ao tratamento, o manejo de eventos adversos e menor uso de recursos para o SUS. Seguiu apresentando o conteúdo da contribuição da empresa. Disse que a empresa submeteu uma evidência adicional que se trata de um resumo de congresso. Explicou que, nesse estudo, havia análises estatísticas adicionais dos dados do estudo GRID para se estimar de forma mais precisa o efeito do medicamento na sobrevida global, dado o extenso *crossover* do grupo placebo para o grupo experimental com regorafenibe, no estudo original. Reforçou que na apresentação inicial do tema explicara-se que no estudo GRID permitira-se que os pacientes que faziam uso do placebo em algum momento utilizassem o regorafenibe (*crossover*) e por esse motivo haveria um potencial confundimento nesse desfecho de sobrevida global. Continuou falando sobre os resultados das análises constantes no resumo de congresso. Disse que para o braço de pacientes que foi tratado com regorafenibe, a mediana da sobrevida global estimada foi de 17,4 meses e para o grupo placebo de 11,1 meses, pelo método IPE, e 11,9 meses pelo método RPSFT e que isso representaria um *hazard ratio* de 0,62, com intervalo de 0,44 a 0,87 pelo método RPSFT, indicando um maior benefício para o grupo que recebera o tratamento com regorafenibe. Disse que com base nesse resumo de congresso, o UATS do HAOC ajustou o modelo econômico. Sobre ajuste explicou que todos os parâmetros iniciais foram mantidos, com a exceção do *harzard ratio* para a sobrevida global, que foi alterado, juntamente com o intervalo de confiança, para inserir os dados apresentados no resumo de congresso. Disse que há limitações na utilização de resumos de congresso para extrair dados para compor modelos econômicos, em especial pela ausência de informações que são relevantes, mas que de qualquer maneira, o técnico refez o estudo com o novo parâmetro. Disse que, com esse ajuste, as novas razões de custo-efetividade incrementais foram de R\$ 211 mil por ano de vida ajustado à qualidade (AVAQ) e de R\$ 155 mil por ano de vida ganho (AVG). Explicou que isso representou uma redução em relação à análise original, com valores estimados de R\$ 361 mil por AVAQ e de R\$ 257 mil por AVG. Por fim fez um resumo ressaltando as diferenças entre as informações apresentadas na discussão inicial do tema e as disponíveis após a consulta pública. Disse, sobre os resultados do estudo de custo-efetividade que tanto as razões

de custo-efetividade estimadas antes e depois do ajuste da sobrevida global estaria acima do limiar de disposição a pagar estabelecido para o SUS e que não houve modificações em outros resultados. Na sequência uma técnica do DGITS iniciou a apresentação dos resultados do monitoramento do horizonte tecnológico para a doença. Disse que foram selecionadas quatro tecnologias, o avapritinibe que já fora avaliado em estudo clínico de fase três e seria o único com registro na *Food and Drug Administration* (FDA) e *European Medicines Agency* (EMA) desde 2020, e os demais que não possuem registro no FDA ou em outras agências sanitárias, o lenvatinibe, cabozantinibe e sorafenibe, estão em análise em estudos clínicos de fases dois ou três. Em seguida representante do Conselho Nacional dos Secretários de Saúde (CONASS) pediu ao técnico do HAOC que relembrasse a magnitude de benefício ou tamanho de efeito do tratamento com regorafenibe em termos de sobrevida global antes e após a correção com os dados provenientes do resumo de congresso submetido pela empresa. Solicitou também que o técnico falasse sobre o risco de viés do estudo publicado em resumo de congresso. O técnico respondeu que não fez a avaliação do risco de viés do estudo por falta de dados suficientes. Em relação à mudança na magnitude de efeito disse que, no estudo principal, que é o artigo completo, havia sido demonstrado benefício em relação à sobrevida livre de progressão, mas que, em relação à sobrevida global, não houve diferença estatística na comparação entre dois grupos. Disse que com o ajuste estatístico foi possível alcançar um resultado favorável ao tratamento com regorafenibe em termos de sobrevida global, observando-se uma diferença estatística em favor desse tratamento. O técnico explicou o tratamento estatístico dos dados de sobrevida dizendo que seria possível fazer esse ajuste de exposição que varia com o tempo e simular a situação em que todos os participantes do estudo ficaram com o tratamento no tempo pleno. Disse que apesar disso, haveria a necessidade de uma análise mais rigorosa sobre a confiabilidade desse tratamento estatístico, o que seria difícil por se tratar de uma publicação em forma de resumo de congresso. Em seguida médico especialista, representante da SBOC, disse que a principal informação em relação ao regorafenibe e sobre a evidência clínica em contexto, seria o aumento na sobrevida livre de progressão. Disse que esse efeito estaria bem consolidado, mencionado uma magnitude de efeito relativo com *hazard ratio* de 0,27 e uma mediana que poderia variar entre um e quatro meses. Seguiu explicando que esse dado de sobrevida global sempre seria passível de discussão. Disse que tanto a ferramenta estatística quanto o impacto disso precisam ser discutidos com muito cuidado, porque a rigor seria uma simulação do que aconteceria com os pacientes do grupo placebo se não tivessem feito o *crossover*. Seguiu dizendo que fazendo esse exercício estatístico a mediana do grupo placebo passou de 17 meses para 11 meses. Finalizou resumindo que seria possível afirmar com segurança que há um aumento de sobrevida livre de progressão, e uma sugestão de aumento de sobrevida global a partir dessa análise estatística. Em seguida o representante do CONASS afirmou que o custo do regorafenibe seria alto para o SUS, mesmo para um limiar de R\$ 120 mil por AVAQ. Em seguida perguntou para o técnico e o especialista qual, considerando o ponto de vista populacional e de custo para o sistema de saúde, seria a relevância da incorporação do tratamento com regorafenibe. O especialista médico respondeu que a Sociedade Brasileira de

Oncologia Clínica (SBOC) criou algumas ferramentas para tentar estimar da forma mais fiel possível a magnitude do benefício clínico e o impacto populacional. Disse que a impressão da SBOC sobre esses aspectos fora encaminhada durante a consulta pública. Seguiu explicando que, pela análise do estudo clínico de fase três, haveria um balanço positivo em favor do tratamento com regorafenibe. Disse, entretanto, que em escala de benefício clínico da ESMO graduada de um a cinco, em que cinco seria a maior magnitude do benefício clínico, o regorafenibe atingira dois pontos nesse contexto. Resumiu dizendo que o entendimento seria de benefício intermediário, claramente presente, mas intermediário. Seguiu dizendo que a partir dessa informação, a SBOC fez algumas avaliações adicionais, considerando, por exemplo, o fato de ser uma necessidade clínica não atendida, e desenvolveu um escore próprio segundo o qual a priorização do regorafenibe nesse contexto seria intermediária. Disse que o entendimento da Sociedade foi o de priorizar o sunitinibe em relação ao regorafenibe, o que, na verdade, constituíra a discussão anterior com recomendação favorável à incorporação do sunitinibe. Na sequência a representante da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico Industrial da Saúde (SECTICS) disse que o GIST se tornou um tumor manejável com o advento desses inibidores de tirosina quinase como o imatinibe e agora também o sunitinibe. Disse que o benefício clínico resultante do tratamento com regorafenibe parecia pequeno, de três meses de sobrevida livre de progressão. Perguntou ao especialista médico qual seria a sobrevida do paciente com GIST sem a medicação, referindo-se à história natural da doença. O médico respondeu que o contexto em análise seria o de um paciente que apresentou falhou terapêutica ao tratamento com imatinibe e sunitinibe. Disse que nesse contexto se instituiria tratamento paliativo pela falta de atual de padronização de tratamento no SUS. Explicou que nesse cenário a expectativa de sobrevida seria em torno de um ano a um ano e meio, de acordo com as melhores evidências disponíveis. A representante da SECTICS disse que durante a avaliação preliminar da demanda se discutira sobre a possibilidade de a empresa fabricante do medicamento submeter uma proposta de preço mais baixo. Seguiu dizendo que a empresa não apresentou proposta de preço, mas uma proposta de ajuste na sobrevida global e no modelo econômico. Disse que esses ajustes foram feitos e os resultados discutidos durante essa reunião. Falou que a partir dos relatos de pacientes na avaliação preliminar da tecnologia pôde-se depreender que poderia haver uma estabilização da doença com o tratamento com regorafenibe, mas que esse efeito poderia ser heterogêneo, dado alguns relatos desfavoráveis em termos de eventos adversos e de sustentabilidade de sobrevida livre de progressão. Resumiu dizendo que em termos de evidência clínica, haveria uma magnitude de efeito muito pequena de três meses de sobrevida livre de progressão, com um impacto orçamentário ou uma razão de eficiência, de custo-efetividade incremental bem acima do que se considera aceitável em parâmetros de eficiência. Sem mais comentários encerrou-se a análise desse tema.

Recomendação final: os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião ordinária da Conitec no dia três de setembro de 2025 deliberaram por unanimidade por não recomendar a incorporação do

regorafenibe para o tratamento do tumor do estroma gastrointestinal (GIST) avançado ou metastático, após falha ao imatinibe e sunitinibe. Assim, foi assinado o Registro de Deliberação nº 1.036/2025.

Apreciação das contribuições de consulta pública do selumetinibe para o tratamento de pacientes pediátricos a partir de 2 anos de idade que apresentem neurofibromas plexiformes (NP) sintomáticos e inoperáveis.

Título do tema: Selumetinibe para o tratamento de pacientes pediátricos a partir de 2 anos de idade que apresentem neurofibromas plexiformes (NP) sintomáticos e inoperáveis.

Tecnologia: Selumetinibe

Indicação: Tratamento de pacientes pediátricos a partir de 2 anos de idade que apresentem neurofibromas plexiformes (NP) sintomáticos e inoperáveis;

Solicitação: Incorporação

Demandante: AstraZeneca do Brasil Ltda.

Apresentação: Técnico do DGTIS/MS.

ATA: "Esse texto foi elaborado com auxílio de inteligência artificial". Inicialmente o médico representante da empresa demandante fez uma apresentação sobre a doença, neurofibromas plexiformes inoperáveis e sintomáticos, enfatizando o quadro clínico que a compressão do neurofibroma pode causar sobre os órgãos. Seguiu com a apresentação dos efeitos do selumetinibe na diminuição do neurofibroma plexiforme que são inéditos até o momento. A gerente de acesso da empresa demandante assumiu a apresentação e explanou os dados econômicos, inicialmente definindo a população, apresentou nova proposta de preço e enfatizou o impacto sobre os familiares e os benefícios a longo prazo, e, portanto, que os cenários de perda de qualidade de vida dos cuidadores e sem o desconto fossem considerados na decisão. Após a apresentação, foi aberto para a plenária para perguntas e discussão, que iniciou-se com o questionamento em relação ao diagnóstico e toda a jornada de tratamento da doença aos médicos especialistas, e foi respondido que muitas vezes, 90%, o diagnóstico é clínico através de manchinhas e de massas, e que somente 10% apresentam crescimento dos tumores internamente e são diagnosticadas de forma mais tardia e o tratamento cirúrgico seria o ideal, mas que muitas vezes envolve nervos e vascularização abundante, causando grandes sequelas, e que o trauma cirúrgico por si só pode ser um indutor de novo tumor, chegando a taxas de recidivas muito elevadas e por isso, o selumetinibe é uma tecnologia disruptiva, possibilitando uma redução de tumores inoperáveis. Outro questionamento foi em relação ao tamanho da população brasileira que seria potencial para o uso do selumetinibe no contexto da incorporação, e foi respondido que não modificou do dossiê inicial, sendo de 978 indivíduos. Durante a discussão, também foi feita uma explanação da representante do CONASS que lembrou a importância dos orçamentos entre os países, para que posteriormente, as pessoas não pensem que foi

incorporado em um país e no Brasil não, e não entendem as diferenças entre os países ou que a Conitec não tenha sensibilidade em relação a população brasileira, quando é ao contrário, a comissão tem como objetivo fazer uma decisão que optimiza os recursos, na tentativa de manter o sistema sustentável atingindo o maior número de pessoas da população brasileira. Complementar a este raciocínio, quando foi questionado sobre o subgrupo de paciente, o médico especialista respondeu que, na verdade a população deveria ser mais ampla, mas que dado as restrições orçamentárias, esta era a população que mais se beneficiaria da incorporação. Foi questionado, que pouco se modificou em relação ao entendimento da doença, e, portanto, mesmo com a nova proposta de preço que trazia um pequeno desconto adicional, se haveria alguma negociação adicional. Foi respondido pelo demandante que não, que este era o menor preço possível a ser negociado para a incorporação. Também foi questionado os eventos adversos, e foi respondido que ocorrem principalmente nos primeiros meses e que são todos de fácil manejo clínico. Seguiu-se a discussão questionando como estava o contexto clínico, já que não há protocolo clínico ainda no SUS. Foi respondido que o tratamento tem protocolos no mundo inteiro e que no Brasil se segue estes protocolos. Finalizando os questionamentos para a empresa, iniciou-se a apresentação da consulta pública apresentando a decisão inicial de recomendação inicial de não incorporação que considerou incerteza sobre a magnitude de efeito e a razão de custo-utilidade incremental e impacto orçamentário não compatível com um SUS sustentável. Foram recebidas 1362 contribuições, sendo que a maioria era a favor da incorporação do selumetinibe ao SUS, e que o aumento ao acesso era importante, apesar de reconhecer o elevado preço da tecnologia. Em relação aos aspectos positivos, foi frequente o relato do impacto da eficácia na redução do tumor, que no alívio da dor, atividades de vida diária, autoestima e integração social e em relação aos aspectos negativos, quase não houve declarações, e os que experimentaram a tecnologia foi relatado que houve pouco problema relacionado a eventos adversos. Na sequência foram apresentadas as contribuições técnico científicas, pelo técnico do DGTIS, em que diversas organização e institutos se manifestaram à favor da incorporação do selumetinibe, mas entre as contribuições e anexos não foi identificado evidências adicionais em relação ao contexto da incorporação. Em relação aos aspectos econômicos, houve um anova proposta de preço, com um desconto adicional de 3,5% em relação a proposta inicial que refletiu menor razão de custo-utilidade incremental, R\$ 309,5 Mil/AVAQ, e menor impacto orçamentário incremental em relação ao relatório inicial, com redução de 8,2%. Assim, foi encerrada as apresentações e deu-se início a discussão da plenária, que iniciou com posicionamento da representante do DGTIS que esclareceu sobre a taxa de desconto, que sim, que deveria ser considerada na análise, devido as características da doença, e que mesmo entendendo o impacto da doença sobre os familiares/cuidadores, os custos indiretos não devem ser considerados na perspectiva do SUS e que usar pressupostos deste custos aumentariam o viés dos resultados e a comparabilidade com outras tecnologias já discutidas pela Conitec. Isto posto, seguiu-se discutindo sobre o a importância do medicamento em relação a sua eficácia, mas a discussão pautou-se na parte econômica da tecnologia. Foi questionado o Market-share de 30% inicial com incremento de 10% anual, e o técnico respondeu

que este era um cenário do demandante e que a robustez desta estimativa era de difícil conferência e que só o CAD, a agência do Canadá, usou um market-share inicial de 40% chegando a 85% em 5 anos. No entanto, foi questionado que antes de qualquer discussão sobre o impacto orçamentário, havia uma discussão anterior, que é o valor da razão de custo-utilidade incremental (RCUI) e que o desconto de 3,5% no preço proposto inicial não modificou em quase nada da proposta inicial, complementado pelo técnico a incerteza na magnitude de efeito, e assim, além da estimativa pontual de um RCUI alta, ainda há muita incerteza com possibilidade real do ICER ser bem maior, como visto na análise de sensibilidade, e mesmo que a população da demanda seja mais restrita ela foi captada pela análise, pois a população do estudo era similar ao da demanda. Terminado os pontos de discussão sobre os aspectos técnicos da incorporação, foi feita uma fala de quão difícil é deliberar sobre as tecnologias de forma a não recomendar uma tecnologia quando esta tem potencial de gerar grandes benefícios a população brasileira, e dado as restrições e os critérios utilizados no momento, para uma decisão à favor, deveríamos discutir uma política específica para estas doenças, que assim pudéssemos incorporar mais e mais tecnologia com potencial benefício para a população brasileira, e em contraponto, ou de forma complementar, também é necessário discutir os preços praticados para as novas tecnologias que as empresas tem apresentado, e é por isso, que esta comissão existe, para uma avaliação crítica das tecnologias considerando a sustentabilidade do SUS.

Recomendação final: os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião ordinária da Conitec no dia três de setembro de 2025 deliberaram por maioria simples por não recomendar a incorporação do selumetinibe para o tratamento de pacientes pediátricos a partir de 2 anos de idade que apresentem neurofibromas plexiformes (NP) sintomáticos e inoperáveis. Assim, foi assinado o Registro de Deliberação nº 1.037/2025.

Apreciação das contribuições de consulta pública do trióxido de arsênio para o tratamento de adultos com leucemia promielocítica aguda de risco baixo a intermediário em primeira linha de tratamento.

Título do tema: Trióxido de arsênio para o tratamento de adultos com leucemia promielocítica aguda de risco baixo a intermediário em primeira linha de tratamento.

Tecnologia: Trióxido de Arsênio (Trisenox®)

Indicação: Tratamento de adultos com leucemia promielocítica aguda de risco baixo a intermediário em primeira linha de tratamento.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular – ABHH

Recomendação preliminar da Conitec para informações adicionais: Aos 03 dias do mês de julho de 2025, os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 142^a Reunião Ordinária Conitec deliberaram por maioria simples pela recomendação DESFAVORÁVEL sobre a incorporação do Trióxido de Arsênio para tratamento de adultos com Leucemia Promielocítica Aguda de risco baixo a intermediário em primeira linha. Para essa recomendação preliminar foram levados em consideração os seguintes fatores que foram amplamente discutidos. Melhora no custo da tecnologia através de proposta comercial de preço do demandante, melhor definição nas análises impacto orçamentário da população de risco baixo à intermediário, necessidade de diálogo com ANS para verificar o comportamento de difusão da tecnologia pós incorporação deixando o cálculo do impacto orçamentário mais preciso já que a tecnologia é para primeira linha de tratamento.

Consulta Pública (CP) nº 67/2025: disponibilizada no período de 31 de julho de 2025 a 19 de agosto de 2025.

Apresentação das contribuições recebidas na CP nº 39/2025: Realizada por consultores técnicos do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS).

ATA: A reunião iniciou-se com a apresentação da empresa fabricante do Trióxido de Arsênio enviou esclarecimentos aos questionamentos referentes à reunião inicial e nova proposta de preço do medicamento com uma redução de 30,26% no preço, ficando o valor unitário de R\$ 860,00 o frasco de 2mg/ml. Com esse novo valor a empresa apresentou uma nova razão de custo utilidade de R\$ 42.778,82 Para o cálculo de impacto orçamentário o fabricante explicou que a estimativa da população elegível para tratamento de LPA foi baseada na demanda aferida, usando dados do DATASUS (CID C92.4) de 2022-2023, resultando em média de 513 novos casos/ano. O valor foi ajustado à população brasileira (IBGE) e à proporção de pacientes com risco baixo a intermediário (75%), obtendo-se cerca de 387 a 395 casos anuais. Aplicando-se as taxas de permanência em tratamento, recidiva e óbito derivadas de modelo de Markov, estimou-se que o número de pacientes em 1^a linha de tratamento com ATRA+quimioterapia varia de 364 no primeiro ano para cerca de 999 acumulados ao quinto ano. Abaixo está descrito a diferença nos resultados das análises de impacto orçamentário enviada com a taxa de difusão variando em 5% ao ano com valor original e novo valor proposto. A empresa foi questionada pela técnica do DGITIS sobre o preço reduzido ser mantido independente da informação da empresa sobre a informação que produto é desonerado, conforme Convênio ICMS 162/94, aplicável a medicamentos oncológicos e similares comprados por órgãos públicos para fins de cálculo de descontos, utiliza-se como base o valor do PMVG 18%. A representante da empresa afirmou que o desconto será mantido. Após, a colaboradora do DGITS (Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde) da CITEC apresentando a análise qualitativa da demanda, informando que se trata de uma demanda externa, oriunda de uma solicitação da ABHH, e que a consulta pública recebeu 156 contribuições e consideradas válidas. Foi informado que, na 142^a Reunião Ordinária da Conitec, o Comitê de Medicamentos emitiu uma recomendação desfavorável à incorporação da tecnologia no âmbito do SUS e, na ocasião, o comitê considerou as evidências científicas de eficácia e segurança adequadas, no entanto, apontou a necessidade de uma definição mais precisa da população-alvo no cálculo do impacto

orçamentário e uma proposta de preço da indústria fabricante. 155 respondentes manifestaram-se favoravelmente à incorporação do trióxido de arsênio enquanto um respondente declarou não possuir opinião formada. Entre os principais argumentos destacados pelos participantes para a incorporação do trióxido de arsênio no SUS estão a remissão da leucemia, o aumento da sobrevida, a diminuição do tempo de hospitalização e o tratamento associado ao custo-efetividade para o SUS, a melhora da qualidade de vida, a redução da mortalidade, e a segurança do medicamento vinculada à baixa toxicidade e à redução de eventos adversos. A experiência com o medicamento avaliado foi mencionada por 86 participantes, sendo estes majoritariamente profissionais de saúde. Foram citados efeitos positivos e facilidades da tecnologia em avaliação, como a segurança do medicamento, a menor toxicidade, a redução de eventos, o menor tempo de tratamento, a redução do tempo de internação, o aumento da sobrevida, a otimização dos recursos do SUS, a melhora da qualidade de vida e o alcance da remissão da condição de saúde. O custo elevado e a dificuldade de acesso ao trióxido de arsênio no SUS foram citados como dificuldades. Além disso, os respondentes apontaram, como efeitos negativos relacionados ao uso da tecnologia em avaliação, a necessidade de monitoramento do paciente, a dificuldade de administração e a ocorrência de eventos adversos apesar de considerados manejáveis. Já em relação à experiência com outras tecnologias, os principais medicamentos citados no âmbito da consulta pública foram: a quimioterapia com antraciclina (idarrubicina, daunorrubrícina ou mitoxantrona) e tretinoída. Sobre os aspectos positivos relacionados ao uso dessas tecnologias para o tratamento da condição de saúde em questão, os participantes destacaram o alcance da remissão, a facilidade na administração, a boa resposta terapêutica, a redução do tempo de internação e o aumento da sobrevida, apesar de inferior à resposta do trióxido de arsênio. A associação de antraciclina com tretinoína é o tratamento padrão para LPA disponível no SUS. Foram mencionados aspectos negativos e dificuldades da quimioterapia com antraciclina (idarrubicina, daunorrubrícina ou mitoxantrona) e tretinoína, como a maior toxicidade, a redução da imunidade e da qualidade de vida e o aumento do tempo de internação, dos custos gerais com o tratamento, dos eventos adversos e da mortalidade. Após, uma colaboradora do DGITIS/CGATS apresentou as contribuições técnico-científicas a respeito do trióxido de arsênio. Foram identificadas 23 contribuições para evidências clínicas, e 16 para evidências econômicas. As principais contribuições sobre as evidências clínicas foram: melhora do prognóstico da LPA, melhora da sobrevida global e redução de recaídas em pacientes com LPA de risco baixo a intermediário, melhora na segurança com menor toxicidade e maior taxa de cura, maior eficácia e efetividade que quimioterapia e melhora na qualidade de vida. Em relação aos estudos econômicos foram citadas a maior qualidade de vida e maior expectativa de vida, redução de custos com internações, manejo de eventos adversos graves (neutropenia febril, sepse e necessidade de transfusões), redução de uso de antibioticoterapia, menor tempo de tratamento e necessidade de retratamento por recidiva, alternativa terapêutica custo-efetiva a médio prazo. Uma associação de pacientes enviou contribuição destacando a importância do parecer favorável à incorporação do trióxido de arsênio pelo SUS, considerando seu impacto positivo na sobrevida, menor toxicidade, melhor qualidade de vida dos pacientes.

e custo-efetividade do tratamento. O tratamento com ATO+ ATRA é uma terapia eficaz, segura e de menor toxicidade, promovendo melhores taxas de sobrevida global, sobrevida livre de doença e sobrevida livre de eventos, com menor incidência de recaídas. Afirmaram ainda ser um regime custo-efetivo dentro do limiar do SUS, justificando sua incorporação tanto do ponto de vista clínico quanto econômico, alinhando-se a diretrizes internacionais e à prática de referência no cuidado de pacientes com LPA. Foi apresentada a contribuição da ABHH discordando da recomendação preliminar desfavorável. Destacou o tratamento com trióxido de arsênio como sendo menos tóxico que quimioterapia e destacando a melhor qualidade de vida relacionada à saúde. A técnica apresentou novamente as contribuições enviadas pela empresa fabricante. Para o retorno da consulta pública foi elaborado pela técnica responsável pelo relatório de recomendação um novo cenário de impacto orçamentário com taxa de difusão mais agressiva, variando a porcentagem de pacientes de 40% até 80% no quinto ano tratados com ATO+ATRA considerando a incidência de 75% e com a nova proposta de preço de R\$ 860,00, o que gerou um impacto orçamentário em cinco anos de R\$75.023,752. Após a apresentação, um especialista indicado pela AMB complementou as apresentações da empresa e da técnica e sugeriu ,baseado em um estudo que não foi utilizado no dossiê, que fosse feita a análise de impacto orçamentário com uma incidência de 64,1% e não 75% conforme foi utilizado pelo demandante. Na sequência a técnica apresentou essa análise sugerida com a taxa de difusão mais agressiva, variando a porcentagem de pacientes de 40% até 80% obtendo um resultado no impacto orçamentário em cinco anos de R\$ 64.120,300. Em seguida a representante da SECTICS abriu para comentários e votação e foi reforçado pelo representante do CONASS que a proposta da empresa tornou o medicamento custo-efetivo reforçando que a eficácia e segurança já haviam sido comprovadas anteriormente. Nessa linha todos os representantes presentes no Comitê de Medicamentos votaram favorável à incorporação do trióxido de arsênio

Recomendação final: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 144ª Reunião da Conitec, realizada no dia 03 de setembro de 2025, deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação ao SUS do recomendado a incorporação do Trióxido de Arsênio para tratamento de adultos com Leucemia Promielocítica Aguda de risco baixo a intermediário em primeira linha, considerando que houve proposta de desconto de 30,26% sobre o preço do medicamento. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 1038/2025.

Apreciação das contribuições de consulta pública do micofenolato de mofetila/micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica em crianças e adolescentes.

Título do tema: micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica em crianças e adolescentes.

Tecnologia: micofenolato de mofetila (MMF) e micofenolato de sódio (MFS).

Indicação: tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente (SNCD) e síndrome nefrótica com recaída frequente (SNRF), não respondedores aos tratamentos anteriores, associado ao corticoide.

Solicitação: incorporação.

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (SECTICS/MS).

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, reunidos na 140ª reunião ordinária realizada em 07/05/205, deliberaram, por unanimidade, pela submissão da matéria à consulta pública, com recomendação preliminar favorável à incorporação do micofenolato de mofetila e do micofenolato de sódio para o tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente e recaída frequente. Considerou-se a possibilidade de oferecer alternativas terapêuticas ao tratamento padrão, de forma complementar e em associação, para as crianças adolescentes que não respondem ou são intolerantes aos medicamentos já disponíveis.

Consulta Pública (CP) nº 53/2025: disponibilizada no período de 24 de junho de 2025 a 14 de julho de 2025.

Apresentação das contribuições recebidas na CP nº 53/2025: Realizada por um consultor técnico do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) e um membro do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS) do Hospital das Clínicas da Unicamp (HC UNICAMP).

ATA: A pauta foi iniciada com o técnico do DGITS declarando não possuir conflito de interesses com a matéria. Em seguida, foi apresentada uma contextualização do tema, ressaltando a recomendação preliminar favorável à incorporação da tecnologia ao Sistema Único de Saúde (SUS) pelo Comitê de Medicamentos, a fim de oferecer alternativas terapêuticas complementares ou em associação ao tratamento padrão para crianças e adolescentes que não respondem ou são intolerantes aos medicamentos já disponíveis. Em seguida, foi apresentada a análise qualitativa da CP. Das seis contribuições recebidas, todas foram favoráveis à incorporação e relataram experiência com as tecnologias em avaliação. As principais opiniões favoráveis incluíram a disponibilidade de alternativa terapêutica para casos de corticodependência, corticorresistência e falta de resposta ou eventos secundários ao uso de inibidores de calcineurina (CNI). A efetividade do tratamento, as recomendações internacionais, a melhora na qualidade de vida e a viabilidade econômica também foram pontos destacados. Em relação à experiência com as tecnologias avaliadas, destacou-se a efetividade como ponto positivo. Por outro lado, problemas gastrointestinais e a dificuldade de acesso foram os principais pontos negativos relatados. Em relação à experiência com outras tecnologias foram destacadas a efetividade e a facilidade de adesão, como efeitos positivos. Já como efeitos negativos foram mencionados os eventos adversos, incluindo a fibrose renal a longo prazo causada por ciclosporina (CsA) e tacrolimus. Também foram citados os diversos riscos do uso prolongado de corticoides, a indisponibilidade do levamisol no Brasil, o risco de esterilidade da ciclofosfamida quando usada por mais de um ciclo, e os eventos adversos do CNI. Ademais, a dificuldade de acesso a

medicamentos como o rituximabe, que depende de judicialização para a sua aquisição, também foi um ponto relevante apresentado. Em seguida, o representante do NATS/HC UNICAMP declarou não possuir conflito de interesses e apresentou as contribuições técnico-científicas obtidas na CP. Foram ressaltadas, como evidências clínicas, as recomendações de estudos internacionais que apoiam o uso do MMF/MFS em crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente e recaída frequente, assim como para aqueles que se mostrem intolerantes ou dependentes de CNI e que não respondem aos tratamentos disponíveis atualmente. A eficácia e a segurança do medicamento também foram apresentadas. Não houve contribuições sobre a avaliação econômica e o impacto orçamentário. Adicionalmente, um dado da Organização da Sociedade Civil foi abordado, demonstrando que o acesso judicial ao medicamento, no estado de Minas Gerais, gera um custo de aproximadamente R\$ 6,7 milhões/ano. Em comparação com as apreciações inicial e final, as evidências clínicas, a avaliação econômica, o impacto orçamentário e os demais pontos relevantes se mantiveram inalterados. As evidências clínicas mostraram que o esquema terapêutico com MMF apresentou maior risco de recaídas em comparação com a ciclosporina (CsA), porém com menores eventos adversos, sendo a certeza de evidência baixa. Foi relatado que embora o MMF possa ter uma efetividade possivelmente inferior a outras opções, sua segurança e tolerabilidade o tornam relevante para uso pediátrico, sendo utilizado de forma complementar e em associação com outros imunossupressores, após falha de resposta ou intolerância às opções padrão. Na avaliação econômica, o MMF+CE *versus* CsA+CE mostrou uma razão de custo-efetividade incremental (RCEI) de R\$ R\$ 524.722/AVAQ. O impacto orçamentário foi de -R\$ 2.741.379 ao longo de 5 anos, com uma projeção de -R\$ 419.946 a -R\$ 675.952 entre 2026 a 2030. Por fim, o uso do MFS foi apontado como o mais comum na prática clínica, quando comparado ao MMF, devido à sua menor toxicidade gastrointestinal. Finalizada a apresentação, o representante da SECTICS deu início à deliberação, consultando os demais membros presentes quanto ao alinhamento com a recomendação preliminar favorável ao uso do MMF e MFS. Não havendo manifestações contrárias ou objeções, a recomendação favorável foi encaminhada e a exibição do registro de deliberação solicitada.

Recomendação final: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 144ª Reunião da Conitec, realizada no dia 03 de setembro de 2025, deliberaram por unanimidade recomendar a incorporação ao SUS do micofenolato de mofetila e micofenolato de sódio para o tratamento da síndrome nefrótica em crianças e adolescentes, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 1039/2025.

Apreciação das contribuições de consulta pública do rituximabe para o tratamento da Síndrome Nefrótica em crianças e adolescentes

Título do tema: Rituximabe para o tratamento da síndrome nefrótica em Crianças e Adolescentes.

Tecnologia: Rituximabe.

Indicação: Tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente (SNCD) e síndrome nefrótica com recaída frequente (SNRF), não respondedores aos tratamentos anteriores, em monoterapia e/ou associado a corticoide e/ou a inibidor de calcineurina (CNI) ou ciclofosfamida (CPM) em monoterapia e/ou associado a corticoide.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (SECTICS/MS).

Recomendação preliminar da Conitec para informações adicionais: Os membros do Comitê de Medicamentos, reunidos na 140ª Reunião Ordinária realizada em 07/05/2025, deliberaram, por unanimidade, pela submissão da matéria à consulta pública com recomendação preliminar favorável à incorporação do rituximabe para o tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica corticodependente e recaída frequente. Considerou-se a possibilidade de oferecer alternativas terapêuticas ao tratamento padrão, de forma complementar e em associação, para as crianças e adolescentes que não respondem ou são intolerantes aos medicamentos já disponíveis.

Consulta Pública (CP) nº 56/2025: disponibilizada no período de 04 de julho de 2025 a 23 de julho de 2025.

Apresentação das contribuições recebidas na CP nº 39/2025: Realizada por consultor técnico do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) e colaborador do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Unicamp – NATS/HC UNICAMP.

ATA: A reunião iniciou-se com a colaboradora do DGITS (Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde) apresentando a análise qualitativa da demanda, informando que se trata de uma demanda interna, oriunda de uma solicitação da SECTICS (Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde), e que a consulta pública número 56 recebeu 95 contribuições. No entanto, apenas 94 foram consideradas válidas, porque uma tratava de outro tema. Foi informado que, na 140ª Reunião Ordinária da Conitec, o Comitê de Medicamentos emitiu uma recomendação favorável à incorporação da tecnologia no âmbito do SUS e, na ocasião, considerou a possibilidade de oferecer alternativas terapêuticas ao tratamento padrão, de forma complementar, em associação para crianças e adolescentes que não respondem ou são intolerantes aos medicamentos já disponíveis no SUS para essa condição de saúde. Todos os respondentes manifestaram-se favoravelmente à incorporação do Rituximabe. Entre as opiniões favoráveis, os principais argumentos mobilizados nas contribuições foram a garantia de acesso, devido ao alto custo da tecnologia, e a efetividade, principalmente relacionada à diminuição das crises dos pacientes. Um familiar/amigo-cuidador mencionou que, após o início do tratamento com Rituximabe, o paciente não teve mais crises na mesma proporção, além de permanecer mais de um ano sem apresentar nenhuma crise. Foi observada também uma melhora da qualidade

de vida desses pacientes e uma redução de custos com o tratamento, em razão da diminuição de hospitalizações e do uso de outros medicamentos. Em relação à experiência com a tecnologia avaliada, a efetividade relacionada à diminuição das crises e das internações foi reiterada, bem como a melhora da qualidade de vida e a redução de custos com o tratamento. Soma-se, nesse âmbito, a descontinuação do uso de corticoide, possibilitada pelo Rituximabe. O familiar/amigo-cuidador mencionou que somente após a aplicação do Rituximabe conseguiram realizar o desmame do corticoide do filho, permanecendo mais de cinco meses sem o uso do medicamento. Quanto aos efeitos negativos ou dificuldades da experiência com a tecnologia, foi mencionada a dificuldade de acesso devido ao alto custo e à necessidade de acompanhamento especializado. Já em relação à experiência com outras tecnologias, os principais medicamentos citados no âmbito da consulta pública foram: corticoides (metilprednisolona e prednisolona), ciclosporina, ciclofosfamida, enalapril, dapsona, micofenolato e eltrombopague olamina. Sobre os aspectos positivos da experiência com esses outros medicamentos, destacaram-se a efetividade, a melhora da qualidade de vida e o ganho de sobrevida. Quanto aos aspectos negativos, foram mencionados eventos adversos, como síndrome de Cushing associada ao corticoide; aumento de peso, causando obesidade infantil, associado à ciclosporina; soluços e doenças de refluxo, relacionados ao enalapril; além da refratariedade observada tanto com corticoides quanto com a ciclosporina. Após, um colaborador do NATS apresentou as contribuições técnico-científicas a respeito do Rituximabe. Em relação às evidências clínicas, as contribuições enfatizaram a eficácia do Rituximabe na manutenção da remissão, na redução do número de recaídas, na redução da dose cumulativa de corticoides e na menor necessidade de seu uso. Não houve nenhuma contribuição em relação à avaliação econômica e ao impacto orçamentário. Houve, entretanto, uma contribuição da Biomanguinhos, que apresentou um panorama da produção nacional do Rituximabe biossimilar, por meio de uma Parceria para o Desenvolvimento Produtivo, informando que, atualmente, essa produção está na etapa de rotulagem, embalagem, formulação e envase, sendo a próxima etapa a produção nacional. Concluiu-se que, em relação à apreciação inicial, havia um consolidado de 18 estudos que demonstraram redução do risco de recaídas, sem diferença na ocorrência de eventos adversos e eventos adversos graves, quando o Rituximabe foi associado ao inibidor de calcineurina e corticoides. Na apreciação final, não houve alteração. Na avaliação econômica, os esquemas que incluíam o Rituximabe mostraram-se dominantes nas duas avaliações, e não houve alteração na versão final, mantendo-se o impacto orçamentário, que em cinco anos foi negativo em cerca de 1 milhão e 600 mil. Em seguida, o representante da SECTICS ressaltou que já havia uma recomendação preliminar favorável e que as contribuições reforçaram o posicionamento do Comitê. Perguntou se havia alguma dúvida ou questionamento, ou se poderia seguir com a recomendação final favorável à incorporação do Rituximabe no tratamento de crianças e adolescentes com síndrome nefrótica primária, córtico-dependente e de recaída frequente, conforme o protocolo clínico do Ministério da Saúde. Todos os membros presentes foram favoráveis.

Recomendação final: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 144ª Reunião da Conitec, realizada no dia 03 de setembro de 2025, deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação ao SUS do Rituximabe para o tratamento da síndrome nefrótica em Crianças e Adolescentes. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 1040/2025.

Apresentação das contribuições de consulta pública da exclusão da selegilina para o tratamento de pacientes com doença de Parkinson.

Título do tema: exclusão da selegilina para o tratamento de pacientes com doença de Parkinson.

Tecnologia: Selegilina.

Indicação: Tratamento da Doença de Parkinson

Solicitação: Exclusão.

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde - SECTICS.

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 141ª Reunião Ordinária da Conitec, no dia 04 de junho de 2025, deliberaram, por unanimidade, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar favorável à exclusão da selegilina para o tratamento de pacientes com doença de Parkinson, no SUS. Essa recomendação baseia-se na ausência de registro sanitário ativo da selegilina, bem como os dados de utilização da selegilina que indicam redução progressiva da dispensação do fármaco desde 2020.

Consulta Pública (CP) nº 58/2025: disponibilizada no período de 11/07/2025 a 30/07/2025.

Apresentação das contribuições recebidas na CP nº 58/2024: realizada por colaboradora do DGITS.

ATA: Inicialmente, a técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) relembrou que a recomendação inicial foi desfavorável, principalmente devido à ausência de registro sanitário ativo da selegilina, assim como aos dados de utilização que indicam redução progressiva da dispensação do fármaco desde 2020. Na Consulta Pública nº 58/2025, foi recebida apenas uma contribuição, enviada pela Coordenadoria de Assistência Farmacêutica (CAF) da Secretaria de Estado da Saúde de São Paulo. A manifestação concordou com a recomendação inicial da Conitec, sugerindo a exclusão da selegilina, em razão da indisponibilidade do medicamento no país e do histórico de insucessos em sua aquisição. Adicionalmente, destacou-se que não foram recebidas contribuições no tópico de evidências clínicas ou estudos econômicos. Não havendo mais dúvidas ou questionamentos diversos, o Comitê de Medicamentos da Conitec iniciou a votação para deliberar sua recomendação. Como resultado, o comitê deliberou por unanimidade recomendar a exclusão da selegilina para o tratamento da doença de Parkinson. Como principais razões para essa recomendação,

considerou-se a ausência de registro sanitário ativo da selegilina, bem como os dados de utilização da selegilina que indicam redução progressiva da dispensação do fármaco desde 2020. Por fim, o Comitê deliberou mantendo seu entendimento tido na recomendação inicial sobre o pleito, que foi ser favorável à exclusão, por unanimidade.

Recomendação: Os membros presentes deliberaram, por unanimidade, recomendar a exclusão da selegilina para o tratamento da Doença de Parkinson. Assim, foi assinado o Registro de Deliberação nº 1041/2025.

Carbetocina 100 mcg/mL - solução injetável para a prevenção da hemorragia pós-parto devido à atonia uterina;

Item retirado de pauta.

Apresentação das contribuições de consulta pública do nusinersena para atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo 3, em pacientes com capacidade de deambulação.

Título do Tema: nusinersena para atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo 3, em pacientes com capacidade de deambulação.

Tecnologia: Nusinersena 12 mg/5 mL solução injetável.

Indicação: Tratamento de pacientes com capacidade de deambulação com atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Biogen

Recomendação preliminar da Conitec: Aos 05 dias do mês de junho de 2025, os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 141ª Reunião Ordinária Conitec deliberaram por maioria simples por encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar DESFAVORÁVEL à incorporação do nusinersena para atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo 3, em pacientes com capacidade de deambulação. Para essa recomendação preliminar foram levados em consideração os seguintes fatores que foram amplamente discutidos. 1) os estudos de evidências possuem alto grau de incerteza, são estudos observacionais e os resultados mostram que em alguns casos os pacientes tiveram piora conforme escala qualitativa aplicada; 2) a proposta comercial da empresa não está clara e aliada aos estudos de impacto orçamentário, possivelmente a análise está subestimada com potenciais chances de aumento de uso populacional se implementada; 3) O tratamento medicamentoso por si só não assegura o melhor resultado, deve ser aliado a outras terapias e que nesse caso podem ter variação do acesso a depender do município; 4) O conceito de deambulação para a população de uso ainda é bastante subjetivo carecendo de protocolos.

Consulta Pública (CP) nº 63/2025: Disponibilizada no período de 11 de julho a 30 de julho de 2025.

Apresentação: Representantes da empresa demandante e colaboradores do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde do Ministério da Saúde (DGITS/SECTICS/MS) e do Centro Colaborador do SUS para Avaliação de Tecnologias e Excelência em Saúde da Universidade Federal de Minas Gerais (CCATES/UFMG).

ATA: A representante da empresa lembrou das submissões de 2019 e 2021, que resultaram na incorporação do nusinersena para o tratamento de pacientes com AME tipo 1 e tipo 2, e dos motivos da não incorporação para a AME tipo 3, que estavam relacionados com as incertezas das evidências de eficácia e segurança a longo prazo e o elevado impacto orçamentário devido ao alto custo da tecnologia; informou as novidades da submissão atual, que apresenta cerca de 30 novos estudos observacionais e de mundo real confirmando a eficácia e a segurança do nusinersena a longo prazo, a oferta inicial de 17% de desconto sobre todos os frascos vendidos atualmente para o MS, a fim de garantir a inclusão dos pacientes com AME tipo 3 com capacidade de deambulação, e o aumento da oferta anterior para 24% de desconto sobre todos os frascos vendidos atualmente para o MS, a fim de garantir a inclusão de todos os pacientes com AME tipo 3, sem restrições quanto à deambulação, na CP nº 63/2025, considerando as reflexões da Conitec durante a apreciação inicial da demanda; reforçou que o desconto proposto será aplicado a todos os frascos atualmente vendidos para o MS com o objetivo de garantir que não haja nenhum impacto orçamentário incremental com a ampliação de uso do nusinersena para o tratamento dos pacientes com AME tipo 3 e que a proposta permanece válida mesmo diante de possíveis variações da população elegível ao longo dos anos, não estando atrelada a volume; enfatizou que a tipo 3 representa uma pequena parcela do total de casos de AME, que é uma doença progressiva e degenerativa, causando danos irreversíveis aos pacientes, com perda da capacidade motora e surgimento de comorbidades, gerando impactos negativos aos familiares e ao sistema de saúde e podendo levar ao óbito dos pacientes quando não tratados; recordou que o nusinersena foi a primeira terapia modificadora da doença aprovada mundialmente e possui um programa clínico robusto, com mais de 40 estudos comprovando a eficácia e a segurança do medicamento, inclusive a longo prazo, que boa parte dos pacientes apresenta ganhos significativos com o medicamento e que a maioria dos indivíduos com AME tipo 3 considera a estabilização da doença como um benefício muito importante; ressaltou que os estudos observacionais e de mundo real são recomendados para acompanhar os desfechos a longo prazo dos pacientes com AME, devido às características das doenças raras e à inviabilidade de produção de novos estudos clínicos, e que é consenso em agências internacionais, como NICE, EMA e FDA, nos contextos regulatórios e de avaliação de tecnologias em saúde; destacou os resultados de alguns estudos demonstrando a melhora dos parâmetros motores dos pacientes com AME tipo 3, de acordo com as diferentes escalas, o ganho motor clinicamente e estatisticamente significativos a longo prazo apontado por um estudo nacional com população brasileira e o ganho de benefício clínico dos pacientes tratados com nusinersena sumarizado por uma revisão sistemática incluída no Dossiê e esclareceu que, para se chegar ao valor de 24% de desconto no preço do

nusinersena e neutralizar o impacto orçamentário com a ampliação de uso do medicamento para todos os pacientes com AME tipo 3, considerou-se o mesmo número de pacientes totais elegíveis, independente da capacidade de deambular, apontado pelo CCATES, com base no estudo nacional de Mendonça de 2024, o *market share* que alcança 80% no quinto ano para o tipo 3, considerado o cenário menos agressivo pelo CCATES e muito agressivo pelo demandante, por acreditar que dificilmente uma nova tecnologia chegaria no quinto ano com este percentual, e um cenário ainda mais agressivo, onde se considera um *market share* de tipo 1 e tipo 2 menor e de tipo 3 bem maior, chegando a 90% no quinto ano, e que a nova condição proposta permanece válida ao longo do tempo, independentemente das variações de população elegível, e não atrelada ao volume. O representante fez saber que a empresa refletiu sobre a deliberação da Conitec na apreciação inicial em relação à possibilidade de amplitude da população elegível com AME tipo 3, propondo uma nova proposta de preço com o objetivo de alcançar a neutralização do impacto orçamentário. Questionada, a representante da empresa afirmou que a redução do *market share* do tipo 1, entre 17,5% e 32,5%, e do tipo 2, entre 20% e 45%, foi para atender o cenário mais agressivo de *market share* do tipo 3, entre 50% e 90%, para que os valores direcionados para a ampliação de uso do nusinersena com o novo preço proposto estivesse contido no atual contrato da empresa com o MS, neutralizando o impacto orçamentário; que os percentuais propostos para estes *market share* estão alinhados com os Relatórios anteriores da Conitec para o tratamento de pacientes com AME tipos 1 e 2 e que envolveram outras tecnologias; que na prática a empresa não acredita no *market share* de 50% no primeiro ano e nem de 90% no quinto ano do nusinersena para o tipo 3, com base na difusão deste medicamento nos primeiros anos de incorporação para o tipo 1, quando ainda não havia outras tecnologias compondo o cenário no SUS; que diante deste *market share* a economia seria de aproximadamente R\$ 22,0 milhões em cinco anos; que o *market share* proposto está em linha com o previsto para o tipo 1 na demanda de 2019 e considera as informações do DataSUS, embora exista outra composição de dados oriundos de ações judiciais que não foi observado; que o estudo nacional apontando ganho motor estatisticamente significativo pela escala HFMSE com o uso do nusinersena em pacientes com AME tipos 2 e 3 foi em 12 e 24 meses; que este estudo também apontou melhor resposta do tratamento a longo prazo quando se inicia mais cedo o uso do medicamento e que o uso do nusinersena é por toda a vida, interrompendo somente quando há progressão da doença, com possibilidade de troca do medicamento. Após a despedida dos representantes da empresa, a colaboradora do DGITS relembrou a recomendação preliminar da Conitec, que considerou as incertezas relacionadas com a população elegível, as evidências clínicas, a avaliação econômica, o impacto orçamentário e a proposta comercial apresentada; disse que foram recebidas 2.660 contribuições, sendo 98,9% favoráveis à incorporação; salientou que as opiniões favoráveis à incorporação foram com base na dificuldade de acesso, devido ao alto custo e à indisponibilidade de tratamento medicamentoso no SUS, na ampliação do acesso, devido à indicação de uso para os tipos 1 e 2, à equidade e ao direito à saúde, no avanço progressivo da doença, na aprovação em outros países, na ausência de PCDT e no impacto psicológico positivo; realçou que o controle da progressão da doença, com ganhos motores,

maior mobilidade, resistência muscular e manutenção da deambulação, a redução das quedas, a minimização das sequelas, a melhora respiratória, a efetividade do medicamento, a independência e a autonomia, a possível redução de custos ao SUS, a melhor qualidade de vida, a baixa efetividade dos demais tratamentos, a segurança do medicamento, como ausência de eventos adversos, e a gravidade da doença, com comprometimento motor e de órgãos e avanço progressivo da doença, estavam relacionados com benefícios clínicos; destacou que a alta adesão, o tratamento tolerável, a efetividade, a segurança do medicamento, a melhor qualidade de vida, com independência e autonomia, a mudança de fenótipo e os benefícios clínicos, com melhora na escoliose, permanência da capacidade de deambulação, fortalecimento muscular, estabilidade motora, melhora da deglutição, melhora respiratória, impacto psicológico positivos, melhora do sono e redução da fadiga, estavam relacionados com os efeitos positivos do nusinersena e que a dificuldade de acesso, como alto custo, ausência de PCDT, indisponibilidade de centros especializados, alto custo do tratamento, judicialização, indisponibilidade no SUS e indicação restrita, a administração do medicamento, com necessidade de exames, aplicação invasiva e dificuldade na adesão, os eventos adversos, como cefaleia, agravamento da escoliose e dor no local da aplicação, a necessidade de internação e a falta de profissionais qualificados estavam relacionados com os efeitos negativos do nusinersena; acentuou que a melhora na qualidade de vida, o impacto psicológico positivo, os ganhos motores relacionados com a fisioterapia e a comodidade posológica, a efetividade, os ganhos motores e a melhora respiratória relacionada com o onasemnogeno abeparvoveque e o risdiplam foram efeitos positivos ou facilidades apontados para outras tecnologias e que a falta de profissionais qualificados, a duração das sessões, a irregularidade das sessões, a fadiga, a progressão da doença, a ausência de ganhos motores relacionados com a fisioterapia, a dificuldade de acesso, devido ao alto custo e à indicação de uso restrita, os eventos adversos, como refluxo e náuseas relacionados com o onasemnogeno abeparvoveque e o risdiplam, os eventos adversos, como hepatotoxicidade, microangiopatia, náuseas e perfil de segurança baixo relacionados com o onasemnogeno abeparvoveque, a dificuldade de acesso, devido à indisponibilidade no SUS, à judicialização e ao alto custo, e o armazenamento, devido à necessidade de refrigeração, relacionados com o risdiplam foram efeitos negativos ou dificuldades apontados para outras tecnologias, e informou que o cuidado multiprofissional durante o tratamento com o nusinersena, como a necessidade de fisioterapia contínua, foi amplamente mencionado nas contribuições. A colaboradora do CCATES repassou as principais observações do grupo durante a apreciação inicial do tema, como a eficácia do nusinersena no tratamento dos pacientes com AME tipo 3, as limitações das evidências para AME tipo 3 em indivíduos com capacidade de deambulação, a heterogeneidade dos estudos observacionais, os resultados da avaliação econômica, as incertezas quanto ao impacto orçamentário, como a estimativa populacional a ser contemplada, a necessidade de terapia multiprofissional e reabilitação e a falta de opções terapêuticas no SUS para AME tipo 3, e recordou que o grupo optou por desfechos alinhados com as medidas de benefício presentes no PCDT na pergunta de pesquisa e que foram incluídos 16 estudos observacionais na síntese de evidências clínicas; disse que houve 108 contribuições de cunho técnico-científicas

na CP nº 63/2025, que não foram incluídas novas evidências clínicas, apesar de vários estudos anexados, que alguns destes já compunham a síntese de evidências do Relatório, que a maioria das contribuições apoiava a incorporação ampla do nusinersena, sem restrição quanto à capacidade de deambulação, e destacava a qualidade de vida e o impacto da doença na vida dos pacientes, que a dificuldade em obter amostras maiores nos estudos é devido à AME tipo 3 ser a forma menos prevalente, que a ausência de ensaios clínicos específicos com a população com tipo 3, o pequeno tamanho amostral e a baixa certeza da evidência são esperados em estudos de doenças raras e que a utilização de outras escalas além da HFMSE também foram abordadas pelas contribuições na CP nº 63/2025; frisou que o demandante apresentou nova proposta de preço, elevando o desconto de 17% para 24% em relação ao preço atual, de R\$ 160.000,00, e resultando no valor de R\$ 121.600,00 por frasco do nusinersena, frente aos R\$ 132.800,00 da submissão, independente de possíveis variações no número de pacientes elegíveis ao longo do tempo, não sendo atrelado ao volume, para todos os pacientes com AME tipo 3, sem restrições quanto à capacidade de deambular, e estendido aos tipos 1 e 2 de AME, e fez saber que o desconto de 24% é oriundo de uma variação de *market share* avaliado pelo demandante com o objetivo de não haver impacto orçamentário com a ampliação de uso do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3, mas alertou que esta estimativa depende da estabilidade das projeções de pacientes e da manutenção da política de desconto ao longo do tempo, dificultando assegurar que o impacto orçamentário seja realmente nulo. Questionado, o médico especialista convidado pela AMB afirmou que o estudo observacional brasileiro, o qual também participou, possui a vantagem de contar com grupo controle, pois, quando começaram a avaliar o nusinersena, a maioria dos pacientes não tinha acesso ao medicamento; que, no referido estudo, há melhora significativa no primeiro ano e depois uma estabilização até o segundo ano dos pacientes tipo 2 e 3 e há melhora no primeiro ano de tratamento e um leve declínio entre 12 meses e 24 meses dos pacientes do tipo 3, mas quando comparado ao grupo controle pode ser considerado uma estabilização, pois com nusinersena perde 0,1 ponto e sem nusinersena perda 4 pontos no mesmo período; que as evidências de mundo real atualmente são robustas; que o nusinersena é o que apresenta mais evidências quando comparado às outras tecnologias para a indicação proposta; que os estudos têm demonstrado melhora ou estabilização da AME e que a piora funcional na escala apontada pelos estudos geralmente estão relacionadas com complicações ortopédicas, deformidades e escoliose, que interferem na avaliação da pontuação da escala e que nem sempre significa que o medicamento não esteja trazendo benefícios; que o referido estudo contou com 30 pacientes tratados, sendo 16 com AME do tipo 3; que a perda de 4 pontos na escala HFSME é significativa, uma vez que entre 2 e 3 pontos já é considerada uma mudança clínica nesta escala específica para se estudar a história natural da AME tipo 2 e 3, que avalia, por exemplo, a capacidade de ficar sentado sozinho, elevar o braço e a mão até a cabeça ou até a orelha, flexionar o tronco, sair da posição de deitado pra sentado, ficar em pé com ou sem apoio, ficar de joelho e subir ou descer escadas; que os participantes do estudo nacional continuam sendo avaliados a cada seis meses e pela mesma equipe multiprofissional; que alguns pacientes do estudo ganham função motora, medida pela pontuação na

escala, no terceiro e no quarto ano, que certos pacientes não ganham mais pontos e permanecem estabilizados, parando de piorar, e que outros pacientes perdem ponto na escala, mas que a maioria está relacionada com as complicações ortopédicas que são inerentes à AME, como desenvolvimento de escoliose severa e necessidade de artrodese, principalmente quando se inicia o tratamento em pacientes sintomáticos; que é mais difícil a administração do nusinersena nos pacientes com escoliose severa ou com artrodese na coluna, necessitando da aplicação guiada por radiosкопia ou tomografia ou da troca de medicamentos; que a plausibilidade fisiológica e fisiopatológica do nusinersena trazer benefícios é a mesma em todos os tipos de AME e que o seu efeito terapêutico é mais a longo prazo e que os pacientes com AME tipo 3 chegam ao consultório e recebem o diagnóstico mais tarde, com cerca de três a cinco anos de idade. Questionados, os colaboradores do CCATES afirmaram que uma das incertezas das evidências clínicas está relacionada com a apresentação dos resultados dos pacientes com todos os tipos de AME conjuntamente, não estratificando para o tipo 3; que o estudo nacional pode ser considerado a melhor evidência disponível por apresentar um grupo controle, embora não apresente uma grande população, situação semelhante aos outros trabalhos, caso se decida que as incertezas dos estudos recuperados sejam aceitáveis; que a perda de pontuação na escala por pacientes do estudo nacional foi maior no grupo controle e que a perda no grupo nusinersena em relação à linha de base não foi estatisticamente significativa. Os colaboradores do CCATES alegaram que uma das incertezas da análise de impacto orçamentário é a possibilidade do surgimento de um número maior de pacientes com AME tipo 3 no decorrer do tempo; que não foi verificado divergências nos cálculos dos estudos econômicos apresentados pelo demandante; que a nova proposta comercial da empresa não se assemelha a um acordo de compartilhamento de risco por volume, mas um desconto fixo sobre o medicamento e que poderia ser verificado novamente pela equipe do DGITS; que a neutralização do impacto orçamentário se apresenta ao longo dos cinco anos e que esta economia de recursos cobriria a ampliação de uso do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3, sem restrição; que a razão de custo-efetividade incremental (RCEI) era de aproximadamente R\$ 2,8 milhões na submissão e passou para cerca de R\$ 2,5 milhões com a nova proposta de preço; que os cálculos do impacto orçamentário envolveram os custos com a aquisição e a aplicação do medicamento, não incluindo comparador, e que a população da análise de impacto orçamentário (AIO) foi um cenário com base no adicional do tipo 3 realizado por meio de um inquérito populacional realizado por uma associação de sociedade civil e outro cenário com base na aplicação deste adicional do tipo 3 projetado sobre as Autorizações de Procedimento de Alta Complexidade (APAC) aprovadas para a condição de saúde. O colaborador do CCATES ainda pontuou que, atualmente, para esta demanda, os estudos observacionais são as melhores evidências para a tomada de decisão e dificilmente surgirão outros tipos de estudos; que não há alternativa terapêutica específica para o tratamento dos pacientes com AME tipo 3 no SUS; que há possibilidades de um incremento orçamentário com a ampliação de uso do nusinersena devido às incertezas da estimativa populacional do tipo 3, apesar dos esforços do demandante na busca pela neutralidade orçamentária, e que um estudo de monitoramento realizado com o tipo

1 e 2 em Minas Gerais tem apontado uma grande suspensão do tratamento em função do PCDT, seja por judicialização para se conseguir outra tecnologia, seja pela ausência de ganho na escala motora, o que poderia refletir em um impacto orçamentário razoavelmente menor, mas que não é possível saber se este comportamento se estenderia ao tipo 3. Outra colaboradora do DGITS informou que o monitoramento do primeiro ano e do segundo ano da disponibilização do nusinersena no SUS está bem abaixo dos cenários estimados inicialmente para a AME tipo 1. Após solicitação de retorno à Reunião para esclarecimentos, a representante da empresa confirmou que a economia gerada com o desconto de 24% no preço do nusinersena, visando a sua ampliação de uso para os pacientes com AME tipo 3, ocorrerá anualmente, desde o ano 1 da AIO, pois contempla o contrato vigente com o MS para atender os pacientes com tipo 1 e 2; que não é esperado uma necessidade orçamentária nos anos que seguem após a ampliação de uso do medicamento para a AME tipo 3 devido à margem de desconto ofertada, que foi proposta com base na neutralidade orçamentária e na ausência de mais investimentos por parte do MS para atender maior número de pacientes; que, mesmo com um possível aumento no número de pacientes estimados para a AME tipo 3, a tendência é que haja uma redução no número de pacientes do tipo 1 e 2 devido ao comportamento da população elegível atualmente frente ao que fora estimado anteriormente, pensando, inclusive, nas outras tecnologias disponíveis; que, no contexto de doenças raras, a análise de custo-utilidade tem limitações e que, no modelo apresentado, foi adotado um parâmetro conservador, considerando apenas o custo de aquisição do medicamento, sem incluir custos associados às comorbidades ou outros impactos no sistema de saúde, e que os RCEI para o tipo 1 e 2 tendem a diminuir, devido ao desconto atual se estender ao contrato vigente com o MS, e que o RCEI para os pacientes com AME tipo 3 também reduzirá em relação ao valor da submissão, devido ao novo preço do nusinersena. O representante do CONASS discorreu sobre a necessidade de se conhecer o valor do RCEI da demanda atual para a tomada de decisão, com base no novo preço proposto pelo demandante, pois entende que o Comitê precisa saber o quanto será gasto por ano de vida ajustado pela qualidade (QALY) com a ampliação de uso do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3, pois, mesmo havendo recursos, o sistema de saúde deve avaliar o investimento considerando todas as doenças e todos os pacientes, refletindo sobre o quanto custa salvar uma vida dos pacientes com AME tipo 3 frente aos pacientes com outras condições. Questionado, o representante do CCATES esclareceu que necessitaria de um modelo de avaliação econômica dinâmico, que fosse capaz de acompanhar o custo do medicamento de acordo com a flutuação dos pacientes com tipos 1, 2 e 3 ao longo do tempo, caso considerem a extensão do contrato atual do nusinersena para AME tipo 1 e 2 com desconto no preço para atender os pacientes com AME tipo 3, e reforçou a ideia que se consolidasse o desconto somente para os pacientes com AME tipo 3, atualizando ou elaborando um novo modelo. Na sequência, o Comitê de Medicamentos da Conitec ponderou sobre algumas questões, como: (i) os estudos observacionais e a evidência de mundo real possuem alto valor científico quando a eficácia da tecnologia, a princípio, está bem consolidada, podendo até ser antiético propor novos estudos randomizados; (ii) as análises de subgrupos são úteis, mas nem

sempre essenciais, já que a ciência busca generalizar provas de conceito; (iii) as evidências clínicas acerca do nusinersena parecem consolidadas e possivelmente não haverá novos tipos de estudo; (iv) a proposta de neutralização do impacto orçamentário sugere a manutenção do mercado, diante da incorporação de outras tecnologias e da possível descontinuação de tratamento, e não a ampliação de mercado; (v) a proposta de neutralização do impacto orçamentário sugestiona um teto orçamentário com o propósito de ampliar o uso do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3, mas ainda há incertezas quanto à população estimada e à necessidade de alocação de recursos; (vi) a necessidade de conhecer o desconto e o custo real do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3; (vii) a RCEI do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3 após o novo preço proposto não foi apresentada, dificultando uma recomendação mais racional; (viii) o incômodo de se discutir o impacto orçamentário da ampliação de uso do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3 sem se conhecer e avaliar o indicador de eficiência da demanda; (ix) a possibilidade de uma proposta de acesso gerenciado da empresa junto ao MS e (x) o impacto da recomendação da Conitec acompanhada de condicionantes frente à capacidade de negociação de contratos pelo Departamento de Logística em Saúde da Secretaria Executiva (DLOG/SE/MS). Após, iniciou-se a votação quanto à incorporação do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3 com a declaração dos votos favoráveis da AMB; da ANVISA; do CFM e do CNS e desfavoráveis do CONASS, do NATS, da SAES, da SGTES e da SVSA, mas o CNS, o CONASS, o NATS e a SECTICS sugeriram que mais evidências econômicas fossem apresentadas pelo demandante, especialmente acerca da avaliação econômica, com o propósito de reduzir as incertezas e trazer mais subsídios à recomendação. Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião Ordinária, realizada no dia 03 de setembro de 2025, suspenderam a votação e concordaram em oficiar a empresa demandante para que apresente maiores esclarecimentos sobre o desconto real do nusinersena e a razão de custo-efetividade incremental assumindo o desconto real do nusinersena para os pacientes com AME tipo 3. A matéria retornará oportunamente em uma Reunião da Conitec para deliberação final.

Declaração de conflito de interesses:

Registra-se que, previamente ao início da reunião, foi solicitado aos membros deste Comitê que declarassem eventuais conflitos de interesse relacionados aos temas constantes da pauta. Excetuando-se os conflitos declarados após a apresentação dos respectivos temas e pelos membros devidamente identificados, todos os demais participantes manifestaram, de forma expressa, a inexistência de situações que configurassem conflito de interesse, assegurando a legitimidade e a imparcialidade das deliberações realizadas.

Nome	INSTITUIÇÃO
Alceu José Peixoto Pimentel	CFM
Claudiosvam Martins Alves de Sousa	ANVISA
Guilherme Loureiro Werneck	SVSA/MS
Heber Dobis Bernarde	CONASS
Lívia Milena Barbosa de Deus e Mello	SGTES
Luciene Fontes Schluckebier Bonan	SECTICS/MS
Luis Cláudio Lemos Correia	CONASS
Marcos Vinicius Soares Pedrosa	SGETS
Maria Cristina Sette de Lima	CONASEMS
Miyuki Goto	AMB
Nelson Augusto Mussolini	CNS
Rachel Riera	NATS
Seila Tolentino	SECTICS/MS
Walquiria Cristina Batista Alves Barbosa	CNS

4 de Setembro de 2025

Apreciação das contribuições de consulta pública do sirolimo para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático durante a infância.

Título do Tema: Sirolimo para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático durante a infância.

Tecnologia: Sirolimo.

Indicação: Imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático durante a infância.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, do Ministério da Saúde (SECTICS/MS).

Recomendação preliminar da Conitec: A apreciação inicial ocorreu no dia 5 de junho de 2025, na 141º reunião ordinária da Conitec. Os membros do comitê deliberaram por unanimidade, recomendação inicial favorável para a incorporação do sirolimo para pacientes adultos submetidos a transplante hepático durante a infância.

Consulta Pública (CP) nº 64/2025: disponibilizada no período de 9 de junho de 2025 a 30 de junho de 2025.

Apresentação das contribuições recebidas na CP nº 64/2025: foi realizada pela técnica da Coordenação de Incorporação de Tecnologia (CITEC/DGITS/MS).

ATA: A pauta foi iniciada com a contextualização da demanda. Os membros do comitê de medicamentos consideraram o sirolimo como uma necessidade não atendida da população adulta que foi submetida a transplante hepático durante a infância, uma vez que esta população teria que interromper o tratamento com sirolimo após atingir a fase adulta. Ambas as pacientes foram favoráveis à incorporação, entretanto nenhuma delas teve experiência com a tecnologia ou outras para a mesma finalidade. Não houve contribuições técnico-científicas e propostas de preço. Dessa forma não houve mudança no entendimento sobre as evidências clínicas, a relação custo-benefício e o impacto orçamentário. Manteve-se assim a recomendação favorável.

Recomendação final: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 144ª Reunião da Conitec, realizada no dia 04 de setembro de 2025, deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação ao SUS do sirolimo para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático durante a infância, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Para esta recomendação foi considerada a necessidade não atendida de pacientes que iniciaram o sirolimo na infância e passaram para a fase adulta, bem como o custo benefício e o impacto orçamentário. Foi assinado o Registo de Deliberação nº 1042 /2025.

Apresentação das contribuições de consulta pública do tacrolimo de liberação prolongada para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático.

Título do tema: Tacrolimo de liberação prolongada para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático.

Tecnologia: Tacrolimo

Indicação: Imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde, do Ministério da Saúde (SECTICS/MS).

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 141^a Reunião Ordinária da Conitec, no dia 05 de junho de 2025, deliberaram, por maioria simples, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do TAC de liberação prolongada para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático. O Comitê considerou a necessidade de esclarecimentos adicionais sobre os preços, a capacidade de produção e a possibilidade de uso direcionado para pacientes com baixa adesão.

Consulta Pública (CP): nº 62/2025, disponibilizada no período de 11 de julho de 2025 a 30 de julho de 2025.

Apresentação das contribuições recebidas na CP nº 62/2025: Realizada por uma técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) e um representante do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto da Universidade de São Paulo (NATS-HCFMRP-USP).

ATA: Inicialmente, a técnica do DGITS apresentou a análise qualitativa da consulta pública, declarando não possuir conflitos de interesses com a matéria. Foram recebidas oito contribuições, todas favoráveis à incorporação da tecnologia. Entre os respondentes, cinco relataram experiência prévia com a tecnologia, sendo quatro profissionais de saúde e um paciente. As manifestações de opiniões favoráveis à incorporação destacaram aspectos positivos relacionados à segurança, eficácia, efetividade, a garantia do acesso à tecnologia, a melhora da qualidade de vida e a melhora da adesão ao tratamento, considerando a comodidade posológica. Com relação às outras tecnologias, foram mencionadas as seguintes alternativas terapêuticas: ciclosporina, micofenolato, everolimo e basiliximabe. Entre os efeitos negativos e dificuldades relatadas, destacaram-se o risco de perda da função renal a longo prazo, dificuldade de adesão dos pacientes, elevação dos custos com o tratamento e a necessidade de internações em casos de rejeição. Nas considerações finais da análise, evidenciou-se a relevância de ampliar o acesso à tecnologia para a população elegível, com destaque para potenciais benefícios em adolescentes, grupo com maior risco de perda do enxerto devido à baixa adesão. Posteriormente, seguiu-se a reunião para a apreciação das contribuições técnico-científicas, com participação do representante do NATS-HCFMRP-USP, que igualmente declarou não possuir conflitos de interesses. Não foram registradas contribuições nos tópicos de evidências clínicas e estudos econômicos. A empresa fabricante encaminhou anexo contendo observações sobre adesão ao tratamento, conveniência posológica, variabilidade farmacocinética da formulação de liberação imediata e uma nova proposta de preço para a tecnologia, no valor de R\$ 446,20 de PMVG com ICMS 0%. Ressaltou-se, entretanto, que este valor é aproximadamente três vezes superior ao valor pago na última aquisição pública (mesma apresentação e formulação) e cerca de sete vezes superior ao preço da formulação da

mesma tecnologia, de outra apresentação, já incorporada ao SUS, aumentando de forma significativa o impacto orçamentário incremental estimado para cinco anos, com estimativas variando entre R\$ 427,3 milhões e R\$ 608,4 milhões. No seguimento da reunião, a representante da Sectics (Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde) destacou o alto impacto orçamentário e ressaltou a importância das contribuições recebidas na consulta pública, especialmente no que se refere à adesão dos pacientes, uma vez que a formulação de liberação prolongada reduz a frequência de administrações. Neste cenário, não havendo questionamentos ou manifestações adicionais, seguiu-se para o registro de deliberação, e o Comitê de Medicamentos, por unanimidade, manteve a recomendação inicial de não incorporação do tacrolimo de liberação prolongada para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático. Todos os participantes declararam não possuir conflito de interesses.

Recomendação final: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião Ordinária da Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde), realizada no dia 04 de setembro de 2025, deliberaram, por unanimidade, recomendar a não incorporação do tacrolimo de liberação prolongada para o tratamento da imunossupressão em pacientes adultos submetidos a transplante hepático. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 1043/2025.

Apreciação inicial da finerenona para o tratamento de pacientes adultos com doença renal crônica (estágios 3 e 4 com albuminúria) associada ao diabetes tipo 2.

Título do Tema: finerenona para o tratamento de pacientes adultos com doença renal crônica (estágios 3 e 4 com albuminúria) associada ao diabetes tipo 2.

Tecnologia: Finerenona (Firialta®)

Indicação: Tratamento de pacientes adultos com doença renal crônica estágios 3 e 4 com albuminúria em decorrência de diabetes mellitus tipo 2 (DM 2), em adjuvância ao tratamento usual.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Bayer S.A.

Apresentação: Realizada por uma representante do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital de Clínicas da Unicamp (NATS HC-Unicamp).

ATA: A pauta teve início com a representante do NATS HC-Unicamp que declarou não possuir conflitos de interesses com a matéria. Contextualizou a pergunta de pesquisa dentro do PCDT de Diabetes Mellitus tipo 2 (DM2), com estratégias para atenuar a progressão da doença renal crônica (DRC), as quais incluem mudanças no estilo de vida e tratamento farmacológico com medicamentos. Adicionalmente, diretrizes internacionais recomendam especialmente a finerenona, para pacientes que persistem com albuminuria, além do controle de

fatores de risco adicionais. Assim, a tecnologia em avaliação é a finerenona, disponível como comprimidos de 10mg e 20mg, com posologia de 20mg via oral uma vez ao dia. O preço proposto pela empresa foi de R\$ 127,19 (R\$ 4,54 por comprimido), sendo este o mesmo preço disposto pela CMED como preço máximo de venda ao governo (ICMS 18%), semelhante ao preço praticado em compras públicas. O estudo avaliou a associação da finerenona à terapia usual, que incluía inibidores da enzima conversora de angiotensina (iECA) ou bloqueadores dos receptores da angiotensina (BRA), com ou sem inibidor seletivo do cotransportador sódio-glicose tipo 2 (iSGLT2), como a dapaglifozina. Foram analisados desfechos relacionados à progressão da doença renal crônica (DRC), eventos cardiovasculares, hipercalemia, eventos adversos graves e descontinuação do tratamento. O demandante incluiu 4 ensaios clínicos randomizados (ECRs) comparando finerenona mais cuidados usuais *versus* placebo mais cuidados usuais. Cabe destacar que, na época da randomização, os cuidados usuais não incluíam medicamentos da classe iSGLT2, como a dapaglifozina. Além disso, os participantes dos estudos incluídos foram classificados com DRC estágios 1 e 2, população fora do foco principal. Subsequentemente, o NATS incorporou o estudo CONFIDENCE (2025), que avaliou o uso aditivo da finerenona em pacientes já tratados com dapaglifozina. Nos resultados, em eventos cardiovasculares, não houve diferença significativa para infarto agudo do miocárdio não fatal, AVC não fatal e morte cardiovascular (certeza moderada, rebaixada por imprecisão). Porém, a finerenona reduziu hospitalizações por insuficiência cardíaca e o desfecho cardiovascular composto, ambos com alta certeza de evidência. Quanto aos desfechos renais, a finerenona apresentou benefício na redução da relação albumina/creatinina urinária (RAC) (certeza baixa), na redução da taxa de filtração glomerular (TFG) em 40% (certeza baixa) e no desfecho renal composto, que inclui morte renal, sem diferença significativa na evolução para doença renal terminal (certeza baixa). A terapia combinada finerenona, empaglifozina e cuidados usuais mostrou benefício sobre finerenona isolada e placebo, (evidência moderada), com foco apenas na RAC, sem avaliação dos desfechos cardiovasculares e progressão renal. Em eventos adversos, não houve diferença significativa, mas a finerenona apresentou maior incidência de hipercalemia e descontinuação do tratamento (alta certeza de evidência). O demandante apresentou uma análise de custo-utilidade no modelo de Markov, considerando horizonte temporal por toda a vida, taxa de desconto de 5% e desfechos em QALY. A razão de custo-efetividade incremental (RCEI) foi de R\$ 9.586,90/QALY, sendo considerada custo-efetiva, confirmada pela análise probabilística em 96,7%. As principais limitações nas evidências clínicas e análise de custo-efetividade foram a população fora do foco principal, o baixo número de pacientes em uso de iSGLT2, uso de desfechos compostos e substitutos (TFG e RAC) e a avaliação do estudo CONFIDENCE apenas para RAC. No impacto orçamentário (AIO) apresentou-se um cálculo da população por estimativa epidemiológica, a população estimada ficou entre 142.590 até 151.551 pessoas no último ano. Em 5 anos o impacto orçamentário incremental seria de R\$33.505.277 de reais, com variação pela análise de sensibilidade. Como limitação da AIO, o racional para definição do custo anual do tratamento não foi explícito. A análise adicional do NATS considerou os custos dos medicamentos e demais parâmetros já apresentados pelo demandante. Nessa análise, o impacto orçamentário

incremental em 5 anos seria de R\$112.123.568 reais. Na avaliação pelas agências internacionais, optaram por recomendar a finerenona como terapia adicional ou tratamento adjuvante, algumas com acordos de redução de preço. No fim da apresentação, a representante da SECTICS (Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde) mencionou que foi realizada a busca do monitoramento de horizonte tecnológico (MHT), mas não houve nenhuma evidência. Posteriormente, uma técnica do DGITS apresentou a perspectiva do paciente, com chamada pública de nº 39/2025. O representante da sociedade mencionou o aumento do número de pacientes que adentram na insuficiência renal crônica principalmente pelo diagnóstico de DM2. Relatou vivência com insuficiência renal crônica e realização de transplante, destacando a limitação de opções terapêuticas, o alto custo da hemodiálise e transplante ao sistema de saúde e a relevância de novas tecnologias para postergar a progressão da doença, como a finerenona, que pode melhorar o quadro do paciente para que a doença não evolua. Após o relato, uma representante do CNS (Conselho Nacional de Saúde) questionou o representante da sociedade sobre a compreensão da jornada do paciente e sobre a evolução da DM2 para uma DRC, e se o paciente considera adequado o tratamento atualmente disponível e a experiência com a tecnologia. O representante respondeu que a maior dificuldade ocorre quando a doença evolui para estágios mais graves, sobretudo quando há necessidade de hemodiálise. Destacou que grande parte dos diabéticos não terá acesso ao transplante em razão da própria condição clínica, e que a finerenona poderia representar uma alternativa terapêutica, especialmente em casos mais conservadores, para retardar a progressão da doença. Considera que a rede básica de saúde e a atenção especializada ainda não conseguem atender adequadamente todos os pacientes. Após relato, a reunião prosseguiu com as considerações da especialista convidada, que reiterou os avanços observados desde a incorporação da dapaglifozina no SUS, com impacto positivo na redução da progressão da DRC. A especialista destacou que a finerenona tende a ser cada vez mais utilizada, alterando de forma significativa a trajetória clínica dos pacientes com DM2 e DRC. A representante da SECTICS questionou a especialista sobre a adesão, tolerância, reações adversas e eficácia da finerenona. A especialista informou que a finerenona é, em geral, bem tolerada, embora requeira monitoramento dos níveis de potássio. Ressaltou que a maioria dos pacientes não precisa descontinuar o tratamento, mas que o alto custo da tecnologia limita seu uso. Explicou que a utilização concomitante, como terapia adjuvante, decorre de novas recomendações e evidências, não havendo, até o momento, problemas relevantes de segurança. Questionada pela representante da SECTICS sobre a população elegível e a taxa de difusão colocada pelo demandante, afirmou considerar a estimativa realista diante da prevalência da doença, e quanto à taxa de difusão, também a considerou adequada, mas ponderou que, na prática, a taxa de difusão poderia ser ainda maior. Reforçou que a hipercalemia é a principal contra-indicação, mas não identifica barreiras para a prescrição pelos profissionais de saúde. Um dos representantes do CONASS (Conselho Nacional de Secretários de Saúde) questionou a especialista se, na ausência da finerenona, a espironolactona seria uma opção terapêutica, pontuando a comparabilidade entre os medicamentos, sugerindo estudo comparativo entre as

tecnologias. A especialista esclareceu que, embora semelhantes, os fármacos não são equivalentes. Citou um estudo que avaliou o uso da espironolactona em pacientes com doença renal associada a comorbidades cardiovasculares, o qual precisou ser descontinuado devido à ausência de benefícios e à ocorrência de hipercalemia nesse grupo. Ressaltou, por fim, que as evidências são insuficientes e os riscos, como a hipercalemia, inviabilizam a prescrição da espironolactona para essa indicação. O representante da Anvisa questionou a especialista sobre o diagnóstico tardio, a proporção de pacientes em estágio terminal e o quadro clínico correspondente. A especialista respondeu que, em seu estado, esses casos são acompanhados por rede especializada em pactuação com o estado, havendo número expressivo de pacientes em estágio avançado. Destacou a importância de conter a progressão antes da necessidade de hemodiálise e ressaltou que a DRC apresenta poucos sintomas nos estágios iniciais, dificultando o diagnóstico precoce. Sem mais perguntas a especialista, a reunião seguiu para a deliberação. Solicitou-se ao NATS esclarecimentos sobre o impacto orçamentário incremental e o impacto do custo do medicamento. O NATS informou que o modelo do demandante não apresentou de forma clara o racional dos custos anuais e que sua análise considerou apenas o custo do medicamento, diferindo da AIO do demandante, que incluiu custos de acompanhamento e monitoramento. A diferença também se relaciona às premissas de difusão: o demandante considerou uma difusão maior em DRC estágio 4 e mais lenta em estágio 3, com média ponderada. A representante do NATS do comitê questionou a validade do ICER e os custos considerados pelo demandante e reiterou que a taxa de difusão proposta pelo demandante não parece realista, conforme apontado pela especialista, e solicitou ao comitê um modelo de *market share* comparativo em situações similares, para estimar o impacto. O NATS elaborador do estudo destacou que não refez a análise de custo-utilidade, pois faltam evidências sobre o uso aditivo da finerenona em pacientes em uso de dapagliflozina e não há dados de efetividade robustos para eventos cardiovasculares e progressão renal, o que gera incertezas na RCEI. A representante da SECTICS questionou a validação do ICER e a análise de custo realizada pelo demandante. O NATS explicou que foi anexada pelo demandante uma análise de microcusteio que explicava os valores, contudo, a AIO não ficou clara, com relação ao custo anual do tratamento. Um dos representantes do CONASS questionou a forma como o benefício da finerenona foi computado, destacando que o desfecho do principal estudo se baseia na taxa de filtração glomerular, um parâmetro clínico, e ponderou sobre a relevância clínica desse efeito incremental, enfatizando a necessidade de respaldo nos cálculos da análise de custo-efetividade. Ressaltou que, embora benéfico, trata-se de um efeito clínico marginal, incremental, em comparação a outros casos analisados pelo comitê, onde há benefícios maiores. Ele reitera que o benefício existe, mas pode ser de menor magnitude. O NATS pontuou que o estudo incluiu principalmente pacientes com DRC estágio 3 e 4, mas também pacientes em estágio 1 e 2, havendo variação no benefício entre os diferentes estágios. Observou que há evidência indireta em relação à população estudada e que persiste incerteza quanto ao benefício adicional da finerenona frente ao tratamento já disponível no SUS, principalmente porque os pacientes não faziam o uso de medicamentos da classe da

dapaglifozina. A representante do NATS do comitê questionou se a análise de sensibilidade de R\$40.000/QALY contemplou as incertezas da evidência indireta e os diferentes estágios da doença. O NATS respondeu que esses fatores não foram considerados no relatório. Ao ser questionado sobre a confiança na análise de custo-efetividade, o NATS afirmou que é possível extrapolar dados para grupos específicos, sendo o benefício maior se as incertezas fossem reduzidas, especialmente por meio de análises de subgrupos em incorporações específicas. Uma das representantes do CNS questionou se o debate contemplava a comparação entre as tecnologias, reforçando que a espironolactona não atua na população em questão e que os dois tratamentos possuem indicações e riscos diferentes, destacando que a utilidade social da finerenona é reduzir a progressão da doença renal, especialmente em estágios avançados. A representante da SECTICS esclareceu que o benefício da finerenona é adicional à associação de outros medicamentos utilizados pelo paciente, por isso essa discussão foi colocada. Um dos representantes do CONASS reiterou que a discussão foi levantada para entender os benefícios modestos dos medicamentos e a agregação desses benefícios no impacto orçamentário. O representante da Anvisa contribuiu na discussão sobre a importância de verificar as interações farmacocinéticas e os efeitos dos benefícios adicionais. Por fim, a representante da SECTICS pontuou que a RCEI depende dos inputs do modelo e dos custos do tratamento, destacando que o principal impacto está no monitoramento do medicamento e nos eventos relacionados às consequências da doença. Reiterou que o medicamento reduziria a progressão da doença, especialmente em pacientes que evoluem para hemodiálise, mas ressaltou que o valor pode ser variável. Observou que a taxa de difusão da tecnologia foi considerada lenta, constituindo mais um ponto de incerteza, e que, se essas incertezas fossem sanadas, o cenário seria mais realista. O NATS declarou que realizou avaliação criteriosa, contudo, não houve especialista nesta análise, mas buscarão um especialista para esclarecer as incertezas no retorno de consulta pública e trazer um cenário mais realista. Por fim, a reunião seguiu para o registro de deliberação, com manifestações sobre as incertezas pautadas e por maioria simples, o comitê de medicamentos recomendou a não incorporação da finerenona para o tratamento de pacientes adultos com doença renal crônica (estágios 3 e 4) associada ao Diabetes Mellitus tipo 2.

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 144ª Reunião Ordinária Conitec, no dia 04 de setembro de 2025, deliberaram, por maioria simples, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação da finerenona para o tratamento de pacientes adultos com doença renal crônica (estágios 3 e 4) associada ao DM2 (Diabetes Mellitus tipo 2).

Apreciação inicial do asciminibe para o tratamento de Leucemia Mieloide Crônica (LMC).

Título do tema: Asciminibe para o tratamento de Leucemia Mieloide Crônica (LMC).

Tecnologia: Asciminibe

Indicação: tratamento de leucemia mieloide crônica cromossomo Philadelphia positivo (LMC Ph+), em fase crônica, para pacientes adultos previamente tratados com dois ou mais inibidores da tirosina quinase (ITQs)

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Novartis

Apresentação: consultores técnicos do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS).

ATA: Durante a 144^a reunião de Medicamentos da Conitec realizada no dia 04 de agosto de 2025, a diretora do Comitê de Medicamentos, deu a fala para o consultor técnico do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS), que começou apresentando os dados epidemiológicos e de tratamento, reportou que a LMC é um tipo de câncer que afeta os glóbulos brancos do sangue, sendo caracterizada pela presença do gene de fusão BCR-ABL1, logo esse gene codifica uma proteína tirosina quinase com atividade anormalmente ativa, o que induz o crescimento descontrolado das células leucêmicas. A doença só tem cura com o transplante, mas não está disponível para todos e a evolução gera uma redução na sobrevida de forma significativa. Contudo, com a introdução dos inibidores de tirosina quinase a história da doença mudou, mas há de se destacar que existe resistência ou intolerância aos ITQs de primeira e segunda geração e que levou à necessidade de novas opções terapêuticas. Recentemente o ponatinibe foi incorporado aos SUS como uma terceira linha de tratamento, mas é a única opção nesta linha, pois o bosutinibe não foi incorporado ao SUS. O asciminibe é o primeiro inibidor STAMP (Specifically Targeting the ABL Myristoyl Pocket) da proteína BCR-ABL1, prometendo ser mais específico e com menor eventos adversos. Ele é indicado para pacientes com LMC-FC que falharam em duas ou mais terapias anteriores com ITQs . O preço proposto foi de R\$7.630,38 na apresentação de 20mg e de R\$12.285,84 na versão de 40mg, representando um desconto de 42,5% do valor apresentado no PMVG. No que tange a busca de evidências, a pergunta norteadora foi se o asciminibe era eficaz e seguro no tratamento de pacientes adultos com leucemia mieloide crônica cromossomo Philadelphia positivo (LMC-FC Ph+) resistentes ou intolerantes ao tratamento com pelo menos duas linhas terapêuticas com inibidores da tirosina quinase (ITQs), quando comparado a outros ITQs que estão disponíveis no SUS? Não houveram estudos de comparação direta, apenas estudos com o bosutinibe, sendo assim ausentes estudos comparativos. Há somente o estudo ASCEMBL é o único estudo de fase III atualmente disponível para a avaliação da eficácia de ITQs no tratamento de pacientes tratados com dois ou mais ITQs. O estudo foi randomizado, aberto, multicêntrico (incluindo centros no Brasil), mas o braço comparado é o bosutinibe, e este não está incorporado pelo SUS e a análise desta comparação não foi feita neste relatório. O asciminibe apresentou ainda um perfil de segurança mais favorável em comparação com outros inibidores de segunda e terceira geração, com menor incidência de eventos adversos graves, menor taxa de descontinuação e menor risco cardiovascular. Não há barreiras importantes para a implantação da tecnologia no SUS, visto que não implica na necessidade de criação de estruturas físicas ou treinamentos especializados para a

sua aplicação, devido a simples administração do medicamento, por via oral. Apesar dos resultados de segurança demonstrarem perfis de segurança aceitáveis, há uma preocupação com os eventos cardiovasculares oclusivos, principalmente com o uso do ponatinibe, que mostrou uma associação entre a dose e o número de eventos adversos. Já nas avaliações econômicas o modelo econômico apresentado foi desenvolvido para avaliar a custo-utilidade de asciminibe em comparação com outros três tratamentos (ponatinibe, dasatinibe e nilotinibe). O modelo usou uma abordagem de sobrevida partionada para capturar diferenças relevantes nos custos e desfechos entre as estratégias de tratamento. A análise usou o pressuposto que o asciminibe é devido aos custos envolvidos, principalmente o preço do medicamento, os resultados mostraram que ele é mais custoso para um benefício adicional que os comparadores. Na comparação com o ponatinibe a RCUI calculada foi de R\$ 109.711 por AVAQ ganho. Quando comparado com ITQs de segunda geração (nilotinibe, dasatinibe), asciminibe teve uma RCUI de R\$ 189.999 e R\$ 206.114. Sobre o impacto orçamentário, foi apresentado que a incorporação de asciminibe, indicou um aumento de custos de R\$ 2.977.740 para R\$ 642.520 no primeiro e quinto anos de análise, respectivamente, com R\$ 7,21 milhões acumulados em 5 anos para uma curva de incorporação de 10% a 50% em 5 anos. Observando as experiências internacionais, identificou-se que as agências Canadian Agency for Drugs (CAD-AMC), The National Institute for Health and Care Excellence (NICE) e o governo australiano, por meio do The Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS), emitiram recomendação favorável ao uso do Asciminibe no tratamento da LMC Ph+, em fase crônica, para pacientes adultos previamente tratados com dois ou mais ITQs. Na sequência a técnica do DGITS apresentou o monitoramento do horizonte tecnológico, onde foi identificada uma tecnologia para compor o esquema terapêutico de pacientes adultos diagnosticados com leucemia mieloide crônica cromossomo Philadelphia positivo (LMC Ph+), em fase crônica, previamente tratados com dois ou mais inibidores da tirosina quinase (ITQs). O medicamento olverembatinibe atua em diferentes alvos, inibindo a tirosina quinase fosfoinositideo 3, Kit, Flt3 e Src; e como antagonista do receptor PDGF e FGF. A tecnologia não possui registro para nenhuma indicação nas agências sanitárias Anvisa, EMA e FDA. Após foi dada a palavra para outra técnica que apresentou a perspectiva do paciente, na chamada pública número 52, que foi de 28 de maio a 06 de junho, e tão logo deu-se a palavra ao usuário, que começou narrando sobre seu acometimento de leucemia em 2021 e os diversos tratamentos que foram realizados com outros medicamentos que compunham o protocolo, sendo que os mesmos apresentaram diversos eventos adversos, até que em 2022 foi experimentado ao asciminibe, com respostas positivas. O mesmo narrou os desfechos de leucemia e a preocupação com pacientes não tratados. A representante do CNS (Conselho Nacional de saúde), questiona o depoente sobre os eventos colaterais e os custos, sendo respondido que os efeitos são bem baixos e sobre os custos, o mesmo relata que a indústria e a empresa que o mesmo trabalha são os pagadores. Outra representante do CNS, questionou sobre a qualidade de vida e a perspectiva de vida daqueles que não fazem uso de medicamento, sendo respondido que como atualmente ele mora no Canadá e recebe gratuitamente o medicamento, sua qualidade de vida é boa, mas causa preocupação a ausência de cobertura de tratamento no Brasil. Na sequência a diretora

do DGITS tece breves comentários sobre os históricos de incorporações e dá a palavra a especialista para que comente sobre os medicamentos recomendados e também comenta sobre as evidências existentes. Tece comentários sobre benefícios e questiona também as vantagens. Assim a representante da AMB (associação médica brasileira), fala de eventos adversos manejáveis e não manejáveis. Apresenta o cenário, separando os medicamentos tidos como primeira, segunda e terceira linha e separa também por gerações, sugerindo que alguém em tratamento de segunda geração sem taxa de sucesso, deve migrar para o tratamento de terceira geração, entre eles o asciminibe. Comparando o mesmo com ponatinibe, diz que este segundo apresenta maior grau de toxicidade, não sendo recomendado a alguns públicos, como idosos, pessoas com problemas vasculares, na mesma fala ainda levanta preocupação justamente com o nicho de pacientes que não podem fazer uso do ponatinibe e que não tem outra opção terapêutica. A mesma mostra que não se pode juntar a toxicidade hematológica com toxicidade não hematológica para computar eventos. Outra representante da AMB questiona sobre a relação com a saúde suplementar e a aprovação, sendo respondido pela especialista que apesar de aprovada, aspectos como verticalização nos planos, dificultam o acesso, se declarando que muitos casos acabam por esperar a judicialização. Na sequencia o representante do Conselho Nacional de Secretários de Saúde – CONASS externa opinião no sentido da necessidade de focalizar no público alvo e não na demonstração de superioridade apenas, sendo complementado pelo comentário da diretora do DGITS que as formas de pagamento e os valores sugeridos diante das outras opções terapêuticas eram bem diferentes, sugerindo que faria sentido em caso de APAC uma vez que se equiparasse com outras drogas. Na ocasião a especialista teceu um comentário sobre a possibilidade de negociação para melhorar a negociação. Outro representante do Conselho Nacional de Secretários de Saúde – CONASS explica enquanto profissional de saúde, que não haveria de comprovar a superioridade e dominância econômica, uma vez que a droga não é substitutiva da primeira linha e sim tratamento de terceira linha. Questionando o técnico sobre o custo de tratamento frente ao ponatinibe, o mesmo respondeu que os valores praticados eram próximos, sendo R\$13.270,00 para ponatinibe e R\$12.285,00 para o asciminibe. Diversos membros na discussão entendem que a demanda seria específica para ser terceira linha, chegando a conclusão que haveria necessidade de melhor explicitar a relação de preços comparados as drogas existentes e a relação de doses no transcorrer do uso. Outra questão levantada , direcionada a empresa Novartis, diz respeito ao modelo de aquisição, sugerindo que o modelo não centralizado, seria ideal, assim a empresa deveria explicitar se o preço praticado independe do modelo de aquisição. Ainda o representante do CONASS explica que apesar recomendar desfavoravelmente sem explicar, não seria o ideal, pois há uma ausência e informação. Assim há um debate onde a maioria concorda que a ausência de informação leva aos encaminhamentos de recomendação desfavorável. A representante da AMB explica que enquanto votante, seu voto é desfavorável diante da ausência de informações, mas clinicamente é favorável dada a necessidade de mais uma opção terapêutica. Os membros discutiram ainda brevemente sobre a colocação e priorização de drogas na segunda e terceira linha de tratamento. Uma vez que os membros votaram, deu-se por encerrada a reunião.

Recomendação preliminar da Conitec: Aos 04 dias do mês de agosto de 2025, os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião Ordinária Conitec deliberaram por maioria simples pela recomendação DESFAVORÁVEL sobre a incorporação do asciminibe para o tratamento de Leucemia Mieloide Crônica (LMC), sendo os fatores preponderantes para a decisão: a) necessidade de apresentação de dados de eficácia e efetividade e custo-efetividade diretos e não apenas comparações indiretas; b) necessidade de proposta de equiparação de preços com outros medicamentos vigentes no protocolo, em caso do mesmo ser alocado como segunda e como terceira linha; c) Que o fabricante explique sobre a proposta comercial e a validade para a forma de pontuação e distribuição; d) necessidade de se discutir melhor o protocolo e prioridades de drogas que poderiam migrar para segunda linha ou permanecer como terceira linha.

Apreciação inicial das vacinas pneumocócicas conjugadas (VPC13, VPC15, VPC20) para imunização de crianças até 5 anos de idade contra doença pneumocócica.

Título do tema: Vacinas Pneumocócicas Conjugadas (VPC13, VPC15, VPC20) para imunização de crianças até 5 anos de idade contra doença pneumocócica

Tecnologia: vacinas pneumocócicas conjugadas (VPC) de valência 13 (Prevenar-13®), 15 (Vaxneuvance®) e 20 (Prevenar 20®)

Indicação: imunização de crianças até 5 anos de idade contra doença pneumocócica

Solicitação: incorporação

Demandante: Programa Nacional de Imunizações do Ministério da Saúde (PNI/MS) (demanda interna)

Apresentação: Grupo Colaborador - Núcleo De Avaliação De Tecnologias Em Saúde - Nats/Hbdf

A sessão iniciou-se com o representante do Programa Nacional de Imunizações (PNI) apresentando a razão do pedido da demanda. Para isso, foi apresentado brevemente o histórico dos pedidos das vacinas pneumocócicas para incorporação no SUS. Ele relatou que o PNI investigou os sorotipos do *Streptococcus pneumoniae* causadores da doença pneumocócica (DP), a fim de verificar quais eram os sorotipos circulantes mais presentes, e também, se havia escape de sorotipos após a vacinação com a vacina pneumocócica conjugada 10 valente (VPC10), vigente no SUS. Em seguida, explicou o escape vacinal observado através de um sistema de vigilância sentinelas no Brasil (considerou um total de 264 crianças que tiveram DP invasiva em 2023 e 2024). Mostrou que 75% dos casos observados foram com os sorotipos cobertos pela VPC 13-valente, não cobertos pela VPC10. Destacou que o sorotipo 19A é o mais incidente dos casos estudados e que desses, 201 casos foram vacinados com a VPC10 e manifestaram a doença grave (sorotipos 19A e 3). Explicou também que pode haver escape vacinal mesmo com sorotipos abarcados pela vacina, como ocorreu com aqueles vacinados com a VPC13. O representante do PNI apresentou as limitações desse estudo realizado pelo PNI e por fim, apresentou uma

comparação entre os sorotipos cobertos pelas VPCs disponíveis no Brasil, enfatizando que pode surgir na população brasileira sorotipos não cobertos pelas vacinas vigentes, e destacou que pode-se incorporar uma plataforma vacinal para DP, enfatizando que o processo de aquisição das vacinas pode ser norteado sorotipo circulante (observado pela situação epidemiológica), que dessa forma haveria disputa de preço pelas empresas. Esclareceu que a troca não seria imediata em virtude de características inerentes da DP, mas seria importante ter a liberdade dessa escolha das vacinas. Em seguida, a representante do NATS fez a sua apresentação, que iniciou com um panorama geral da DP e mostrou as VPCs disponíveis no Brasil com as suas respectivas indicações (coberturas). Em seguida, apresentou a incidência de cada sorotipo de acordo com aqueles cobertos pelas 4 VPCs disponíveis. Após esse início, apresentou a pergunta PICOT elaborada para a demanda, destrinchando cada ponto da pergunta e em seguida mostrou a síntese de evidências e chamou atenção para a dificuldade de encontrar comparações diretas das vacinas com a VPC10. Apresentou que os efeitos são semelhantes entre as vacinas, tanto para desfechos primários quanto para os secundários, porém, a maioria dos resultados foram oriundos de estudos observacionais. Em seguida, apresentou a avaliação econômica com modelo de Markov com custo-efetividade, sendo que as medidas e efetividade foram anos de vida ajustados pela qualidade (QALY) e anos de vida, com horizonte temporal de 10 anos e estimativa de cobertura de 100% da população alvo. Os valores utilizados para os cálculos da avaliação econômica e impacto orçamentário (IO) foram R\$ 65,22 para a VPC10, R\$ 84,22 para a VPC13, R\$ 76,49 para a VPC15 e R\$ 106,53 para a VPC20. Os cálculos mostraram que nenhuma das vacinas foi dominante em comparação com a VCP10 e não foram dominantes relacionado aos desfechos QALY e anos de vida. Considerando o valor de custo-efetividade estipulado pela Conitec de R\$ 40.000,00 por QALY adicionado, o valor das VPCs para que elas sejam custo-efetivas seria de R\$ 66,98 para a VPC20, R\$ 66,84 para a VPC15, R\$ 66,81 para a VPC13 e R\$ 65,46 para a VPC10. Na análise de sensibilidade determinística, o parâmetro com maior influência sobre os resultados das VCPs em comparação com a VPC10 foi a mortalidade dos estados de sepse, pneumonia hospitalar e meningite e na análise determinística para todas as vacinas, o RCEI foi acima do limiar de custo-efetividade. Para a análise de IO foi considerado um horizonte temporal de 5 anos no cenário principal, com cobertura aproximada de 92%. A incorporação da VCP20 custaria 1,3 bilhão de reais, da VCP15 custaria 378,5 milhões de reais e da VPC13 seria de 616,2 milhões de reais. No cenário alternativo, com 100% de cobertura (meta do PNI), a incorporação da VCP20 custaria 1,4 bilhão de reais, da VCP15 custaria 417,5 milhões de reais e da VPC13 seria de 679,7 milhões de reais. Para avaliar o IO considerando os valores custo-efetivos para cada uma das vacinas, a incorporação da VCP20 custaria 51,1 milhões de reais, da VCP15 custaria 46,4 milhões de reais e da VPC13 seria de 45,4 milhões de reais. A representante dos NATS continua apresentação mostrando que nenhuma das agências internacionais de ATS realizou estudos de comparação das VPCs com a VPC10, o NICE preconiza a imunização de crianças de até 16 semanas de idade com a VPC13 e dose de reforço com um ano de idade, o CDA-AMC há a recomendação das VPCs com valência 13, 15 e 20 para imunização de adultos de 18 a 64 anos, o CDC recomenda as VPCs 15 ou 20 para crianças menores de cinco anos com esquema de quatro doses no

total. E por fim, a representante do NATS apresentou as considerações finais, em que relembrou que há a evidências diretas de desfechos clinicamente relevantes apenas para a vacina de valência 13 em comparação com a VPC10, que há limitação dos estudos por serem observacionais, que em relação aos desfechos substitutivos, as vacinas VPC13 e VPC 20 demonstraram resposta imunológica semelhante à da VPC10, que o perfil de segurança foi semelhante entre as vacinas, que a incorporação das vacinas não atente ao limiar estabelecido pela Conitec, que as vacinas deveriam apresentar uma redução importante de valor para sustentar sua incorporação para serem custo-efetivas e que os dados de impacto orçamentário acompanharam os achados anteriores apresentados. A próxima sessão o monitoramento do horizonte tecnológico, em que não se observou tecnologias. Em seguida, foi aberta a perspectiva do paciente, conduzida pela funcionária do DGITS. Tal sessão foi de uma participante que iria contextualizar sobre a vacinação do seu filho com as VPCs, e iniciou sua participação informando que devido às condições financeiras do casal na época, conseguira contratar um médico especialista em gravidez de alto risco para acompanhar sua gestação. Essa contratação foi necessária em decorrência do seu histórico de abortos sofridos e que, posteriormente, limitou o orçamento familiar. Em 2021, o filho do casal nasceu e eles solicitaram informações ao pediatra da criança, que na época tinha apenas 1 mês de vida, sobre as vacinas necessárias e a eles foi informado que as vacinas do SUS eram suficientes para conferir imunidade à criança naquela idade, que se houvesse condições financeiras, poderiam adquirir as vacinas para meningite e a pneumocócica. Segundo a participante, o profissional informou ainda que a vacina disponível na rede privada para pneumococos era mais importante para crianças que moravam outros países, e por fim, não conseguiram comprá-la. Com 15 dias de nascido, o filho apresentou pequenas manchas vermelhas pelo corpo, e a suspeita diagnóstica seria COVID-19 ou alergia alimentar, com possibilidade de internação. O profissional aplicou adrenalina no paciente e informou que caso ele melhorasse, a COVID-19 seria descartada e o diagnóstico seria alergia a proteína do leite de vaca (APLV). Também, a criança apresentou pouca sustentação do pescoço, sendo, então, acompanhado no Hospital Sarah Kubitscheck de Brasília. Em decorrência de todos os gastos, não foi possível vacinar a criança com a vacina pneumocócica em 2022, apenas em janeiro de 2023 com a VPC13. Informou que nunca apresentou qualquer reação para qualquer vacina. Informou também que após início de atividades escolares, a criança apresentou otites e diversos episódios de princípios de pneumonia, e foi tratado diversas vezes com antibióticos. Um profissional médico também informou que seria importante vacinar com o reforço da vacina em março (após dois meses). A criança foi vacinada apenas em 2024, com a VPC-15. A mãe informou que a criança teve episódios de doença cada vez menos frequentes, porém, ainda mais frequente comparado com outras crianças. Foi esclarecido pela mãe da criança que os sintomas eram identificados e tratados, porém, sem qualquer internação. A discussão do plenário da Conitec iniciou-se com a representante da SECTICS fazendo um apanhado geral da situação vacinal, enfatizando que a VPC10 não está atendendo a demanda atual e que se pode aventar possibilidade de exclusão ou mesmo de atualização da população, que a RCEI foi elevada comparado com a VPC10, que está atualmente disponível, e que há perspectiva de que as VPCs

nesse momento avaliadas serão necessárias futuramente, porém, para que isso ocorra, é necessário que o PNI faça um esforço orçamentário ou retire do calendário de vacinação tal vacina. Para que isso seja viável, seria necessário que as vacinas sejam incorporadas com valor próximo ao que é pago hoje. Foi informado que a OPAS recomenda VPC20 e foi questionado como que se faz a comparação com o que não está suprindo a necessidade atual, e que a decisão sobre a incorporação das vacinas para pneumonia de 2023 foi um equívoco. Houve discordância do PNI de que a decisão de 2023 foi errada, baseado na cobertura vacinal, aumento de hospitalização e óbito, que também o voto foi correto para a época, uma vez que o impacto de saúde pública das vacinas é similar. O representante do PNI informou que há interlocuções com as indústrias farmacêuticas acerca dos preços a serem praticados, que o PNI vai comprar pelo menor valor entre as vacinas, pois o impacto na saúde pública delas é similar. Reforçou a importância de implementar uma plataforma de VPCs, em que houvesse disputa pela oferta das melhores condições comerciais, tendo o preço da VPC10 como balizador para as negociações. Foi levantado questionamentos quanto à intercambialidade das vacinas, se elas são substitutivas e foi esclarecido que, de fato, são intercambiáveis, que o PNI já está prevendo transição em caso de aprovação da plataforma. Operacionalmente, iria depender de qual oferecer melhor condição, até que apareçam outros sorotipos do pneumococo e que valha a pena trocar a vacina, por conta da cobertura vacinal. Outro questionamento levantado foi quanto a AIO, em que da forma que foi apresentado, é impraticável pelo SUS. Foi esclarecido que a compra seria realizada com base no preço da VPC10, que o PNI já disporia, então, desse orçamento e que qualquer proposta precisa necessariamente estar alinhada a esse valor para ser considerada. Outra pergunta realizada foi se o esquema vacinal seria parecido com o da Influenza. E pelo representante do PNI foi explicado a dinâmica da vacinação da influenza e pautou a diferença com as VPCs, destacando que essa última confere proteção contra uma bactéria, que possui um perfil mais lento e diferente de disseminação dos seus sorotipos, que depende, inclusive, da limitação pelo local geográfico. Foi discutido que a plataforma sugerida não se presta a substituir uma tecnologia por conta de sua superioridade, também não se prova a não inferioridade por questões de um uso mais conveniente e com menos eventos adversos e dessa forma, não se deveria realizar o cálculo de análise de custo-efetividade na avaliação econômica, uma vez que elas possuem efetividade semelhante. Se deveria, dessa maneira, realizar um estudo de custo-minimização. Especulou-se de considerar que o PNI não pagaria acima do valor atual da VPC vigente, caso necessário, seria plausível realizar um estudo de custo-efetividade, porém, com o comparador a situação de “não vacina”. Além disso, foi questionado se deveria realizar um novo cálculo de um ICER para cada vacina em comparação com a VCP10, e foi aventado que, como a proposta seria a deliberação a favor de uma plataforma de VPCs, não seria adequado fazer tal comparação, visto que a VPC10 também estaria incluída na plataforma e, portanto, não sendo uma tecnologia a ser substituída para ser objeto a ser comparado. Foi explicado que essa comparação foi realizada em detrimento das diretrizes atuais do MS, pois a VPC10 é a vacina que está incorporada no SUS, e sendo assim, elemento de comparação e se relembraram os dados do relatório sobre AVE. Foi explicado pelo representante do

PNI os possíveis cenários e foi sugerido que houvesse uma condição para que as vacinas pudessem participar da plataforma, caso fosse aprovada. Foi explanado que o que se deveria fazer, baseado nos valores e discussões, era um estudo de custo-efetividade de cada uma das vacinas e foi esclarecido que essa comparação responderia à pergunta sobre a vacinação das crianças com VPCs, e não responde à demanda, que então poderia ser realizado um estudo de custo-minimização. Foi discutido que o valor discutido é quanto ao benefício clínico advindo com ela. Foi colocado que da forma em que foi apresentado, a VPC10 seria substituída, mas que seria interessante a incorporação da plataforma, visto que ficaria a cargo do PNI decidir a vacina a ser adquirida a depender da demanda observada. Foi explicado que o QALY das vacinas é semelhante e que, portanto, se assumiria uma efetividade igualmente semelhante para cada sorotipo específico, poderia de fato ser realizado um estudo de custo-minimização. Foi esclarecido, como exemplo, que a efetividade das vacinas avaliadas é semelhante, pois o sorotipo mais circulante e que causa DP é o 19A. Foi pedido para considerarem, no custo-minimização seria uma estratégia de avaliação, entretanto, ficaria sob responsabilidade do PNI decidir qual a vacina comprar após pregão. Diante do exposto, deliberou-se, por consenso, encaminhar a demanda à consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à atualização das vacinas pneumocócicas conjugadas para imunização de crianças a partir de cinco anos de idade contra DP.

Recomendação preliminar: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião Ordinária da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec), realizada no dia 04 de setembro de 2025, deliberaram, por unanimidade, a recomendação preliminar desfavorável à atualização das vacinas pneumocócicas conjugadas para imunização de crianças até 5 anos de idade contra doença pneumocócica.

Apreciação inicial da vacina pneumocócica conjugada 20-valente para imunização de pacientes de alto risco a partir de 5 anos de idade contra doença pneumocócica.

Título do Tema: vacina pneumocócica conjugada 20-valente para imunização de pacientes de alto risco a partir de 5 anos de idade contra doença pneumocócica.

Tecnologia: vacina pneumocócica conjugada 20-valente

Indicação: Imunização de pacientes de alto risco a partir de 5 anos de idade contra doença pneumocócica

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Pfizer Brasil Ltda.

Apresentação: Realizada por uma representante do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital do Hospital de Base do Distrito Federal (Nats-HBDF).

ATA: Inicialmente, foi apresentado pelo Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital de Base do Distrito Federal (Nats-HBDF), a contextualização sobre as vacinas disponíveis no país e os esquemas atualmente preconizados pelo Centro de Referência para Imunobiológicos Especiais (CRI), nos quais a associação da vacina pneumocócica conjugada 13-valente (VPC13) indicada para pacientes acima de dois meses com condições específicas no CRIE e, da vacina pneumocócica polissacarídica 23-valente (VPP23) é recomendada para condições clínicas de indicadas para a população indígenas a partir de cinco anos sem comprovação vacinal, idosos com idade igual ou superior a 60 anos em condições especiais, crianças com condições especiais no CRIE. Atualmente, a vacina pneumocócica conjugada 10-valente (VPC10) está indicada para crianças até cinco anos e para pacientes com condições específicas no CRIE. Ressaltou-se ainda que a VPC15 encontra-se em consulta pública, aguardando nova apreciação. A representante do Nats-HBDF informou que o preço proposto para venda ao Sistema Único de Saúde pela seringa preenchida com 0,5 mL de suspensão injetável foi de R\$ 106,53. De forma complementar, o preço máximo de venda ao governo com imposto de 18% (PMVG18%) apresentado foi de R\$ 224,88. Além disso, como a demanda interna foi enviada posteriormente a solicitação externa a representante do Nats-HBDF apresentou os parâmetros utilizados pelo demandante externo, o qual, a equipe de revisão considerou a população parcialmente adequada, em razão de ajustes necessários nos critérios de inclusão, mas considerou a intervenção (VPC20) apropriada. Os comparadores foram definidos como a associação da VPC13 à VPP23 (para as condições de pessoas vivendo com HIV/aids; pacientes oncológicos com doença em atividade ou alta médica; transplantados de órgãos sólidos; transplantados de células-tronco hematopoéticas; Asplenia anatômica ou funcional e doenças relacionadas; imunodeficiências primárias ou erro inato da imunidade; fibrose cística e Fístula liquórica e derivação ventrículo peritoneal) e a VPP23 isolada (para as condições de imunodeficiência devido à imunodepressão terapêutica; Implante coclear; Nefropatias crônicas/hemodiálise/síndrome nefrótica; pneumopatias crônicas, exceto asma intermitente ou persistente leve; asma persistente moderada ou grave; Cardiopatias crônicas; Hepatopatias crônicas; Doenças neurológicas crônicas incapacitantes; Trissomias e Diabete). Os desfechos analisados incluíram prevenção da doença pneumocócica, prevenção de pneumonia, redução de hospitalizações e mortalidade como desfechos primários, além de imunogenicidade como desfecho secundário. Os ensaios clínicos não apresentaram resultados conclusivos para os desfechos primários em populações pediátricas ou adultas, mas evidenciaram resposta imunológica superior da VPC20 para sorotipos exclusivos, e resultados semelhantes aos da VPC13 e VPP23 para sorotipos em comum. O perfil de segurança mostrou-se comparável entre os grupos e a qualidade da evidência foi classificada como moderada a alta. Adicionalmente, a equipe de revisão citou na apresentação que refez a busca em bases de dados, tendo selecionado cinco ensaios clínicos randomizados, além de incluir estudo adicional que atendia a pergunta de pesquisa, mas não havia sido considerado no dossiê do demandante. Em relação à avaliação econômica, foi apresentado modelo de custo-efetividade do tipo Markov, com horizonte temporal de dez anos, utilizando como medida de efetividade o QALY. A análise assumiu imunidade coletiva para

não vacinados e incluiu análises de sensibilidade determinística e probabilística. Os resultados demonstraram que, na comparação entre a VPC20 e o esquema VPC13 associado à VPP23, a nova vacina se mostrou dominante, ou seja, mais eficaz e menos custosa. Na comparação com o esquema de duas doses da VPP23, a razão de custo-efetividade incremental foi de R\$ 5.665,44 por QALY, considerado custo-efetivo. A análise de sensibilidade confirmou a robustez dos achados, destacando-se como parâmetros de maior influência o risco de pneumonia hospitalar em pacientes de alto risco, a cobertura por sorotipos e a taxa de desconto, sem alteração substancial nos resultados, além disso, a análise de sensibilidade probabilística apresentou a maioria das iterações abaixo do limiar de disponibilidade a pagar. A análise de impacto orçamentário considerou horizonte temporal de cinco anos. No cenário principal, em que a VPC20 substituiria integralmente os esquemas atuais para pacientes de alto risco a partir de cinco anos, estimou-se economia acumulada em cinco anos de R\$ 95 milhões. No cenário alternativo, com ajuste na proporção de doses de VPP23, a economia acumulada em cinco anos alcançou R\$ 153 milhões. Observou-se ainda que o dossiê do demandante previa a substituição completa dos esquemas vigentes (VPC13 + VPP23 e VPP23 isolada) por dose única de VPC20, o que contribuiu para os resultados favoráveis em termos de custo-efetividade e impacto orçamentário. No tocante às experiências internacionais, foram relatadas evidências da utilização das vacinas VPC13, VPC15 e VPC20 em adultos de 18 a 64 anos segundo o *Canada drug's Agency* (CDA), mas não foram identificadas análises específicas em outras agências internacionais de avaliação de tecnologias em saúde para a população de alto risco a partir de cinco anos. Como considerações finais, destacou-se que a VPC20 apresenta eficácia imunológica semelhante à VPC13 associada à VPP23 ou à VPP23 isolada, com benefício adicional em relação aos sorotipos exclusivos. O perfil de segurança é satisfatório, os resultados econômicos apontam custo-efetividade e a análise de impacto orçamentário sinaliza economia significativa para o sistema público de saúde. Foram apontadas limitações, especialmente a ausência de dados para desfechos clínicos relevantes, como hospitalização e mortalidade, além da impossibilidade de estratificação adequada por condição de risco. Após finalizar a sua fala, o representante do Conselho Nacional de Saúde (CNS), o representante do Programa Nacional de Imunizações (PNI) manifestou posição favorável à incorporação, argumentando que a VPP23 é uma vacina polissacarídica obsoleta, com limitações técnicas relevantes, e que a incorporação da VPC20 representaria avanço tecnológico necessário. Os demais membros da Conitec e representantes das instituições presentes manifestaram concordância com a análise apresentada e não houve objeções quanto ao encaminhamento. Diante disso, deliberou-se, por consenso, encaminhar a demanda à consulta pública com recomendação favorável à incorporação da vacina pneumocócica conjugada 20-valente (VPC20) para imunização de pacientes de alto risco a partir de cinco anos de idade.

Recomendação preliminar: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 144ª Reunião Ordinária da Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde), realizada no dia 04 de setembro de 2025, deliberaram, por unanimidade, a recomendação preliminar favorável a incorporação da

vacina pneumocócica conjugada 20-valente para imunização de pacientes de alto risco a partir de 5 anos de idade contra doença pneumocócica.

Declaração de conflito de interesses:

CFM	Eduardo Jorge da Fonsêca Lima	<p>Declarou ter os seguintes conflitos referentes aos temas: vacinas pneumocócicas conjugadas (VPC13, VPC15, VPC20) para imunização de crianças até 5 anos de idade contra doença pneumocócica; e vacina pneumocócica conjugada 20-valente para imunização de pacientes de alto risco a partir de 5 anos de idade contra doença pneumocócica;</p> <p>*Considerando os temas relacionados acima, nos últimos 3 anos, o próprio ou pessoas próximas receberam benefícios financeiros (equivalente a R\$1.000,00 ou mais) monetários ou não monetários como honorários por palestras, atividades de ensino, consultorias, pareceres técnicos ou perícias judiciais, pagamento de inscrições em congressos, despesas de viagem, presentes, ou participaram de eventos recreativos (shows, jantares, etc.) promovidos por entidades, instituições comerciais ou outras organizações com interesse nas matérias de deliberação da Conitec.</p> <p>*Considerando os temas relacionados acima, participa, direta ou indiretamente, de algum grupo como organizações governamentais ou não governamentais, sociedades de profissionais ou especialistas, associação de pacientes, cujos interesses possam ser afetados pelas recomendações da Conitec.</p>
-----	-------------------------------	---

Registra-se que, previamente ao início da reunião, foi solicitado aos membros deste Comitê que declarassem eventuais conflitos de interesse relacionados aos temas constantes da pauta. Excetuando-se os conflitos declarados após a apresentação dos respectivos temas e pelos membros devidamente identificados, todos os

demais participantes manifestaram, de forma expressa, a inexistência de situações que configurassem conflito de interesse, assegurando a legitimidade e a imparcialidade das deliberações realizadas.

Nome	INSTITUIÇÃO
Claudiosvam Martins Alves de Sousa	ANVISA
Eder Gatti Fernandes	SVSA/MS
Guilherme Loureiro Werneck	SVSA/MS
Heber Dobis Bernarde	CONASS
Luciene Fontes Schluckebier Bonan	SECTICS/MS
Marcos Vinicius Soares Pedrosa	SGETS
Miyuki Goto	AMB
Nelson Augusto Mussolini	CNS
Patrícia Gonçalves Freire dos Santos	SAES/MS
Rachel Riera	NATS
Seila Tolentino	SECTICS/MS
Walquiria Cristina Batista Alves Barbosa	CNS