

ATA DA 148ª REUNIÃO ORDINÁRIA DA CONITECCOMITÊ DE MEDICAMENTOS

Membros do Comitê Presentes: SCTIE, SE, SAES, SVSA, SAPS, SEIDIGI, CNS, ANS, ANVISA, CONASS, CONASEMS, CFM, AMB, NATS, CSDPU, OSC: A B H - Associação Brasil Huntington, OSC: Associação Pró-Cura da Esclerose Lateral Amiotrófica – ELA e OSC: Instituto Nacional de Nanismo

Ausentes: SESAI e SGTES.

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.

11 de fevereiro de 2026

Comunicado sobre a retificação da ata da 146ª Reunião da Conitec.

Apreciação das contribuições de consulta pública do ácido meso-2,3-dimercaptossuccínico (DMSA, succimer) para intoxicação aguda por mercúrio.

Título do tema: ácido meso-2,3-dimercaptossuccínico (DMSA, succimer) para intoxicação aguda por mercúrio.

Tecnologia: ácido meso-2,3-dimercaptossuccínico (DMSA, succimer) para intoxicação aguda por mercúrio.

Indicação: Intoxicação exógena aguda por mercúrio

Solicitação: incorporação

Demandante: Secretaria de Vigilância em Saúde e Ambiente – SVSA

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, reunidos na 146ª reunião ordinária, realizada em 4 de dezembro de 2025, foi deliberado, por maioria simples, recomendar preliminarmente a incorporação da tecnologia.

ATA: A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), em sua 148ª Reunião Ordinária, apreciou o retorno da Consulta Pública referente ao Ácido meso-2,3-dimercaptossuccínico (DMSA, succimer), indicado para redução dos efeitos agudos da intoxicação exógena

por mercúrio e seus sais equivalentes. A demanda foi proveniente da Secretaria de Vigilância em Saúde e Ambiente (SVSA), do Ministério da Saúde, com o objetivo de avaliar a incorporação do DMSA ao Sistema Único de Saúde (SUS), diante da relevância sanitária da intoxicação por mercúrio, do aumento de casos notificados, da gravidade clínica da condição e da exposição recorrente de populações vulneráveis, incluindo povos indígenas, comunidades ribeirinhas, quilombolas, populações do campo, floresta e águas, trabalhadores expostos e comunidades atingidas por atividades minerárias. O DMSA é um agente quelante de administração oral, com ação predominantemente extracelular, destinado a aumentar a excreção urinária de metais pesados, incluindo o mercúrio. Constatou-se a inexistência de alternativa terapêutica equivalente incorporada ao SUS para essa indicação específica. Na 146ª reunião, realizada em 4 de dezembro de 2025, a plenária deliberou, por maioria simples, recomendar preliminarmente a incorporação da tecnologia, considerando a necessidade de saúde pública, ainda que reconhecidas limitações metodológicas e incertezas nas evidências disponíveis. A Consulta Pública nº 102 esteve vigente no período de 30/12/2025 a 19/01/2026, tendo recebido 35 contribuições, das quais 31 foram favoráveis à incorporação. Todos os membros declararam ausência de conflito de interesses. A técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) apresentou o relatório de retorno da consulta pública, informando que 89% das contribuições manifestaram-se favoráveis à incorporação. Destacou que os participantes enfatizaram a relevância sanitária da tecnologia, a gravidade da intoxicação por mercúrio, a ausência de alternativas no SUS, a comodidade posológica da via oral e o potencial de preservação de vidas. No tocante às evidências clínicas, foi informado que os estudos identificados demonstraram aumento significativo da excreção urinária de mercúrio no curto prazo e redução modesta e transitória dos níveis plasmáticos. Não foi evidenciada superioridade em desfechos clínicos ou neurocognitivos. A qualidade da evidência foi classificada como baixa ou muito baixa, segundo metodologia GRADE, em razão de limitações metodológicas, risco de viés e insuficiência descritiva, especialmente em estudos antigos. Representante do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS/CDTS) detalhou os critérios de rebaixamento da evidência, mencionando ausência de informações sobre ocultação de alocação, cegamento e descrição estatística adequada. Esclareceu que o rebaixamento decorreu da aplicação padronizada do instrumento metodológico, e não da inexistência de efeito laboratorial. Membro da plenária questionou o impacto do não cegamento em desfechos laboratoriais objetivos, considerando a menor suscetibilidade a viés de aferição. A equipe técnica esclareceu que a ferramenta metodológica exige avaliação sistemática dos domínios de risco de viés, independentemente da natureza do desfecho. O Representante de núcleo técnico destacou que estudos antigos frequentemente apresentam relato metodológico insuficiente segundo os padrões atuais, o que acarreta rebaixamento da qualidade da evidência. Representantes institucionais manifestaram-se favoravelmente à manutenção da recomendação preliminar, argumentando que, apesar das incertezas metodológicas, o contexto de saúde pública, a ausência de alternativa terapêutica no SUS e a plausibilidade do mecanismo de ação justificaram a incorporação. Registrou-se que a decisão não se fundamentou

exclusivamente na robustez da evidência clínica, mas também em critérios de relevância sanitária, equidade e necessidade assistencial. Durante a discussão, foram registradas as seguintes questões: Adequação do rebaixamento da qualidade da evidência, especialmente quanto ao impacto do não cegamento em desfechos laboratoriais; Suficiência da excreção urinária como desfecho substituto de benefício clínico; Ausência de dados robustos de desfechos clínicos de longo prazo; Incertezas na análise econômica e impossibilidade de estimativa consistente de impacto orçamentário; Necessidade de monitoramento pós-incorporação para geração de evidências nacionais. Foi submetida à deliberação a manutenção da recomendação favorável à incorporação do DMSA para intoxicação aguda por mercúrio. Todos os membros presentes manifestaram-se favoravelmente, resultando em deliberação por unanimidade. Ficou registrado que a decisão considerou, além da evidência científica disponível, critérios de necessidade sanitária, equidade e proteção de grupos vulneráveis. Foi sugerido que o Ministério da Saúde avalie a realização de estudos de monitoramento de efetividade e segurança no contexto do SUS, como medida para redução das incertezas, sem que tal recomendação constitua condicionante à incorporação. Assim, os membros presentes deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação do Ácido meso-2,3-dimercaptossuccínico (DMSA, succimer) para o tratamento da intoxicação exógena aguda por mercúrio no âmbito do Sistema Único de Saúde.

Recomendação: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 148ª Reunião Ordinária da Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde), realizada no dia 11 de fevereiro de 2026, deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação do Ácido meso-2,3-dimercaptossuccínico (DMSA, succimer) para o tratamento da intoxicação exógena aguda por mercúrio no âmbito do Sistema Único de Saúde, Sob o REGISTRO DE DELIBERAÇÃO Nº 1.089/2026.

Apreciação inicial do vismodegibe para tratamento de pacientes com carcinoma basocelular localmente avançado ou metastático sem indicação de cirurgia e radioterapia.

Título do Tema: Vismodegibe para tratamento de pacientes com carcinoma basocelular localmente avançado ou metastático sem indicação de cirurgia e radioterapia.

Tecnologia: Vismodegibe.

Indicação: Tratamento de carcinoma basocelular localmente avançado ou metastático.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: 3º Vara Federal de Porto Alegre/RS.

Apresentação: Realizada por uma representante do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Instituto Nacional de Cardiologia (NATS/INC).

ATA: A pauta foi iniciada com a apresentação do representante do NATS INC, que declarou não possuir conflito de interesse com a matéria. Foram apresentadas as condições clínicas do carcinoma basocelular

(CBC), patologia caracterizada pelo crescimento lento, com comportamento localizado e raramente fatal, podendo atingir tecidos adjacentes, cartilagem e osso (carcinoma basocelular localmente avançado, CBCla) ou evoluir a metástases regionais ou distantes (carcinoma basocelular metastático, CBCm). Considerado o tipo mais comum de câncer de pele não melanoma, 80% dos casos diagnosticados com CBC estão localizados na cabeça e pescoço, podendo acarretar em deformidade significativa, incapacidade ou mortalidade precoce, a depender do tamanho, invasividade e localização. Ademais, a incidência de casos avançados é baixa (1,83 casos por 100 mil habitantes) e a metástase é rara (0,04%). O tratamento é cirúrgico visando a remoção do tumor com a preservação da função e estética. Para casos de CBC superficial ou nodular, a terapia fotodinâmica (TFD) também é indicada. Em uma parcela de pacientes com CBC avançado, a cirurgia e a radioterapia podem ser contraindicadas em virtude da morbidade significativa devido ao tamanho ou à localização das lesões. Para pacientes não elegíveis, o tratamento é limitado e inclui tratamento sistêmico com inibidores da via Hedgehog, como o vismodegibe, um inibidor seletivo da via Hedgehog (Hh) (via celular para o desenvolvimento embrionário e proliferação celular). Seguidamente, o representante do NATS/INC trouxe a ficha técnica da tecnologia, evidenciando a indicação proposta e a posologia e forma de administração da tecnologia, sendo doses de 150 mg via oral, uma vez ao dia bem como as advertências e precauções de uso, dada a tecnologia apresentar embriotoxicidade e teratogenicidade em estudo animais e impacto na fertilidade para ambos os sexos, indicando evitar o seu uso em casos de gravidez até 24 meses após a última dose e a possibilidade de causar risco fetal em casos de exposição devido à tecnologia ser detectada no sêmen. Em seguida, foi contextualizada a pergunta de pesquisa, que norteou a busca por evidências científicas. A população-alvo consistiu em pacientes com idade maior ou igual a 18 anos com carcinoma basocelular localmente avançado ou metastático que não sejam candidatos à cirurgia ou radioterapia. A intervenção avaliada foi o uso de vismodegibe, comparado ao melhor cuidado de suporte. Os desfechos avaliados incluíram a efetividade e a segurança. Os estudos avaliados foram revisões sistemáticas, ensaios clínicos randomizados e não randomizados. No que se refere à caracterização das evidências selecionadas, o representante do NATS/INC reportou a inclusão de seis publicações referentes a dois ensaios clínicos (ERIVANCE e STEVIE). O estudo ERIVANCE, ensaio clínico de fase 2, multicêntrico, internacional e de braço único teve por objetivo avaliar a eficácia e a segurança da tecnologia (150 mg/dia). Foram considerados como critérios de inclusão o CBC metastático (CBCm) ou CBC localmente avançado (CBCla) inoperáveis, ou para os quais a intervenção cirúrgica era considerada inadequada em razão de múltiplas recidivas associadas à baixa probabilidade de cura cirúrgica ou de desfiguração substancial prevista. Foram avaliados como desfechos primários a taxa de resposta objetiva, avaliada radiologicamente por um comitê independente considerando os critérios RECIST, sendo a resposta classificada em completa (CR), parcial (PR), progressiva (PD) e doença estável (SD). O estudo incluiu 96 pacientes (33 com CBCm e 63 com CBCla). A taxa de resposta objetiva foi de 48,5% para o grupo CBCm e 60,3% para o CBCla, sendo que a resposta completa foi observada exclusivamente neste último grupo (31,7%). Em contrapartida, a resposta parcial foi mais prevalente no grupo

CBCm (48,5%). Em relação à mediana de duração de resposta (em meses), esta foi superior em pacientes com CBCm apresentaram (26,2 meses *versus* 14,8 meses no grupo CBCm). Similarmente, a mediana de sobrevida livre de progressão foi de 12,9 meses para pacientes com CBCla e 9,3 meses para pacientes com CBCm. A mediana de sobrevida global não foi alcançada no grupo CBCla, enquanto no grupo CBCm foi de 33,4 meses. Esses dados alinham-se ao estudo STEVIE, um ensaio multicêntrico, aberto e de braço único, realizado em 36 países. O referido estudo avaliou a segurança e a eficácia da tecnologia (150 mg/dia) em pacientes adultos (≥ 18 anos) com CBCla ou CBCm considerados inoperáveis ou ineleáveis para cirurgia. Definiu-se como desfecho primário a segurança, enquanto os desfechos secundários incluíram a taxa de resposta objetiva, duração da resposta, tempo para resposta, sobrevida livre de progressão (SLP) e sobrevida global. O estudo, com duração de 39 meses, incluiu 1.215 pacientes (1.119 com CBCla e 96 com CBCm), apresentando uma taxa de resposta objetiva geral de 68,5%. No grupo com CBCla, as taxas de resposta completa e parcial foram de 33,4% e 35,1%, respectivamente. Já entre os pacientes com CBCm, a taxa de resposta foi de 36,9%, dos quais apenas 4,8% atingiram resposta completa e 32,1% apresentaram resposta parcial. Adicionalmente, a curva de sobrevida livre de progressão (SLP) revelou uma disparidade entre os grupos, com medianas de 23 meses para o CBCla e 13 meses para o CBCm. Quanto à segurança, 23% da amostra total apresentou ao menos um evento adverso grave, incluindo pneumonia, infarto do miocárdio e gastroenterite. Registraram-se 110 óbitos, dos quais aproximadamente 6% foram atribuídos a eventos adversos. No que tange à qualidade de vida, o estudo STEVIE utilizou o instrumento Skindex-16, observando melhora significativa apenas no domínio emocional, sem alterações relevantes em sintomas ou funcionalidade. Em contrapartida, o estudo ERIVANCE, que empregou o instrumento SF-36, não detectou variações significativas em relação aos escores basais. A certeza da evidência, avaliada pelo sistema GRADE, variou de muito baixa a baixa, refletindo limitações quanto ao risco de viés, evidências indiretas e imprecisões. O risco de viés dos estudos oscilou entre baixo e grave, decorrente da ausência de controle para fatores de confundimento e viés de aferição. Quanto às evidências econômicas, conduziu-se um estudo de custo-utilidade sob a perspectiva do SUS, restrito ao grupo CBCla devido à escassez de dados para os demais perfis. A avaliação comparou a tecnologia em questão ao melhor cuidado de suporte, utilizando um modelo de sobrevida particionada. Este modelo projeta três estados de saúde (doença estável, progressão e óbito), e estimou-se o percentual de pacientes em cada estágio a partir das curvas de SLP. O representante do NATS/INC ressaltou os desafios na modelagem da doença frente à escassez de evidências. Ainda, destacou a ausência de dados de um braço comparador (melhor cuidado de suporte) no ensaio clínico original, o que exigiu a busca por estudos de história natural da doença na literatura para estimar a SLP de pacientes não tratados. A análise se baseou em um relatório do *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE), que desenvolveu um modelo econômico estimando, para o comparador, um *hazard ratio* (HR) de 1,19 (IC 95%: 0,87–1,63). O HR foi calculado a partir de uma comparação, dentro do próprio estudo, entre pacientes tratados que apresentaram resposta ao tratamento e aqueles que não apresentaram resposta. Com base nessa estimativa, aplicou-se a curva de

sobrevida livre de progressão (SLP) aos pacientes tratados. Sob a perspectiva econômica, o custo do vismodegibe foi estabelecido com base na última aquisição do Ministério da Saúde (MS), fixado em R\$ 877,39 por comprimido (150 mg), o que resulta em um custo mensal de R\$ 26.321,07. Para o cuidado padrão, não foram atribuídos custos ao modelo, visto que esse manejo consiste primordialmente no tratamento de feridas e controle da dor, componentes, estes, de difícil mensuração e de baixo impacto econômico frente ao tratamento com o uso da tecnologia em avaliação. Quanto à estimativa de utilidades, adotou-se o estudo de Shingler et al., com posterior ajuste para a tarifa de valores brasileira. Nesse contexto, os estados de saúde apresentaram índices de utilidade de 0,7663 para doença estável e 0,6887 para doença em progressão. Os resultados do modelo estimaram um custo anual de R\$ 275.055,10, com um ganho de efetividade incremental de 0,015. Conseqüentemente, a Razão de Custo-Efetividade Incremental (RCEI) foi calculada em R\$ 18.610.556,48 por QALY (ou ano de vida ajustado pela qualidade). Na seqüência, a análise de impacto orçamentário (IO) estimou uma média de 1.140 pacientes com CBCla por ano, resultando em um impacto incremental de R\$ 21.428.299,95 no primeiro ano, elevando-se para R\$ 165.874.147,04 no quinto ano, com um acumulado quinquenal de R\$ 471.132.799,90. Quanto às recomendações de agências de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS), a CDA-AM recomendou favoravelmente a tecnologia em 2014. Entretanto, em 2017, o NICE emitiu parecer desfavorável, fundamentado na fragilidade das evidências e na elevada razão de custo-efetividade. Em conclusão, foram reiteradas as limitações físicas e psicossociais da patologia e a alta necessidade terapêutica frente à eficácia limitada, ao impacto orçamentário expressivo e à elevada razão de custo-efetividade incremental. Na seqüência, o representante do NATS INC apresentou observações adicionais, destacando a natureza do demandante e enfatizando que os trâmites adotados foram os de uma demanda de indústria. A segunda observação tratou da segurança, ressaltando a impossibilidade de estabelecer umnexo causal direto entre a medicação e os eventos adversos graves (incluindo óbitos), dada a ausência de um grupo placebo e a probabilidade de tais eventos estarem relacionados às características intrínsecas da população estudada. Por fim, destacou os desafios de trabalhar com estudos de braço único e a escolha de pacientes não respondedores do próprio ensaio como grupo comparador, devido às diferenças dos respondedores em termos de idade e comorbidades. Além disso, foi pontuado que a RCEI apresentada pode estar favorecendo o tratamento. Quanto ao custo do comparador, este foi considerado nulo no modelo, uma vez que seu valor é residual e as despesas associadas não cessam na intervenção. Na seqüência, o representante do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) realizou a apresentação do Monitoramento do Horizonte Tecnológico (MHT), declarando ausência de conflitos de interesse. A prospecção utilizou as bases ClinicalTrials.gov, Cortellis e o registro de ensaios clínicos da Anvisa. Foram incluídos estudos de fases 2, 3 e 4, com conclusão prevista em até cinco anos. Como critério de exclusão, foram considerados medicamentos registrados há mais de cinco anos na Anvisa, EMA ou FDA. A busca identificou nove tecnologias, sendo duas já avaliadas por agências de ATS, uma com registro sanitário na Anvisa e as demais, como nivolumabe (isolado ou em combinação com ipilimumabe ou relatlimabe),

axitinibe, BO-112, ruxotemitide (VP-315) e cotsiranibe (STP-705) ainda em fases 1 ou 2 de pesquisa clínica. O representante da Secretaria de de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde (SCTIE) apresentou complementações sobre a origem da demanda, esclarecendo que esta derivou de uma ação civil pública movida pelo Ministério Público Federal, com determinação judicial para a abertura do processo de análise de incorporação. Atualmente, o fluxo administrativo agrupa mais de mil solicitações de origem judicial, as quais são encaminhadas às áreas técnicas para análise de pertinência e conveniência. Uma vez validada a pertinência, a solicitação é convertida em demanda interna de avaliação. Em seguida, o representante da SCTIE questionou acerca da relevância clínica do medicamento e os desfechos mais significativos para pacientes com CBC avançado. O especialista destacou o crescimento epidemiológico das neoplasias de pele nos próximos anos. No Brasil, ressaltou a prevalência de CBC de alto risco (que acomete cabeça, pescoço e extremidades), frequentemente agravada por deficiências na atenção primária dermatológica e cirúrgica, sobretudo no interior do país. O diagnóstico equivocado e o manejo inicial inadequado resultam em casos graves, com extensa destruição tecidual e necessidade de amputações. Por fim, enfatizou que o custo do paciente não tratado (que inclui perdas funcionais, custos sociais e incapacidade laborativa) não está devidamente computado nos modelos, exemplificando a gravidade do cenário com um caso clínico. Ainda, destacou que agências internacionais de ATS, como o NICE e a CAD-AM (Canadá), tomam decisões de incorporação de alcance universal. No Brasil, entretanto, observa-se uma disparidade dado que enquanto beneficiários de planos de saúde têm acesso à tecnologia, os pacientes dependentes do SUS permanecem com suas necessidades terapêuticas não atendidas. Adicionalmente, o especialista destacou a pressão exercida sobre os médicos da linha de frente, que lidam diretamente com pacientes que já apresentam demandas por tratamentos. O representante do NATS/INC reiterou que a população-alvo compreende pacientes inoperáveis, pontuando que, apesar das buscas na literatura, não foram encontrados dados sobre o impacto de operações e amputações. Adicionalmente, o especialista ressaltou que o uso do vismodegibe (ou o uso *off-label* do itraconazol em lesões específicas) pode converter casos inicialmente inoperáveis em cirúrgicos, permitindo o controle da doença com margens adequadas. Questionado pelos representante dos NATS sobre os eventos adversos e os desfechos dos estudos, visto que a sobrevida global não foi alcançada e as taxas de resposta objetiva foram consideradas baixas frente ao alto custo do fármaco, o especialista esclareceu que sua análise se restringe à esfera clínica, e não econômica. Pontuou, contudo, que os resultados apresentados são promissores e, em alguns cenários, superiores aos de outras patologias oncológicas, observando que a duração média dessas respostas situa-se entre 8 e 12 meses. O especialista, ainda, ressaltou que o uso do vismodegibe ou o uso *off-label* do itraconazol em alguma lesões consegue reverter as lesões não operáveis inicialmente em operáveis, com margens adequadas e com controle de doença. O representantes dos NATS solicitou que o especialista abordasse um pouco mais sobre os eventos adversos, principalmente os graves, bem como abordar sobre os resultados dos estudos apresentados e a sobrevida global não chegou a ser alcançada e as respostas objetivas ficaram aquém do esperado por um valor de custo

do medicamento. O especialista informou não ser a melhor pessoa para avaliar aspectos em relação aos custos. Informou que os dados apresentados se mostram interessantes e eventualmente melhores quando comparado com outras patologias oncológicas. Informou que essas respostas possuem tempo médio de duração ao redor de 8 a 12 meses. Ademais, abordou que a medicação induz resposta em 40% a 50% dos casos, com duração mediana de aproximadamente um ano, um desfecho sem precedentes, dado que nem a quimioterapia nem a radioterapia ofereciam resultados comparáveis anteriormente. Embora reconheça que os índices não atinjam o patamar desejado, ressaltou serem os melhores resultados disponíveis até o momento. Quanto ao manejo, explicou que o vismodegibe é administrado em ciclos curtos (3 a 4 meses), intercalados com períodos de pausa (1 a 2 meses) para a recuperação do paciente frente aos eventos adversos, sem prejuízo à eficácia terapêutica. Os principais eventos adversos relatados foram a disgeusia (alteração do paladar), que pode levar à redução da ingestão calórica e perda de peso corporal, e câibras, estas manejáveis com exercícios e medicações. Por fim, pontuou que os eventos adversos são geralmente reversíveis e que, em sua experiência clínica, não há registros de óbitos relacionados diretamente ao uso da tecnologia. O representante do NATS/INC destacou a fragilidade metodológica na obtenção de dados de sobrevida para pacientes não tratados, observando que a ausência de um comparador pode favorecer a interpretação do dado de sobrevida de 12 meses. Questionado sobre a existência de estudos que pudessem subsidiar essa análise, o especialista informou que a literatura dispõe apenas de séries de casos, ressaltando que o foco clínico deve recair sobre o controle local da doença e a preservação funcional. Isso se justifica pelo fato do CBC, mesmo em estágio avançado, possuir crescimento lento. Paralelamente, o representante do NATS/INC observou que, embora a neoadjuvância seja mencionada em alguns estudos, este desfecho foi excluído do relatório por não constar na indicação pleiteada nem no registro sanitário da Anvisa. Por fim, destacou que o impacto financeiro das cirurgias seria marginal frente ao elevado custo da tecnologia, não alterando significativamente o custo incremental do tratamento. O representante da Organização da Sociedade Civil (OSC) reiterou a relevância da prática clínica apresentada pelo especialista, enfatizando a vulnerabilidade social, o impacto emocional e o comprometimento de funções básicas enfrentados pelos pacientes. Em complemento, o especialista destacou a dificuldade de acesso à tecnologia em populações menos favorecidas e discorreu sobre o cenário de judicialização na oncologia brasileira. Questionado pelo representante da Associação Médica Brasileira (AMB) sobre o potencial da neoadjuvância (conversão de pacientes inoperáveis em elegíveis para cirurgia), e pelo representante da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (SAES) quanto ao tempo de controle da doença, o especialista esclareceu que, embora o tempo de controle seja de 8 a 12 meses, a estratégia de manejo intermitente permite estender esse período para além de um ano. Ressaltou, ainda, que os índices de qualidade de vida dos estudos internacionais podem não refletir a realidade nacional. Por fim, observou que o uso *off-label* é empregado para viabilizar margens cirúrgicas adequadas, citando o sucesso dessa estratégia associada à imunoterapia em países como Austrália e Holanda para o tratamento de melanomas. O representante do Conselho Nacional de Secretários de Saúde

(CONASS) ressaltou que a discussão transcende os aspectos estritamente médicos, inserindo-se em um contexto amplo de saúde pública e determinantes sociais. Embora tenha reconhecido a importância de oferecer assistência a pacientes em sofrimento, pontuou que a fragilidade das evidências e a ausência de um grupo controle impedem a mensuração precisa da magnitude do benefício real da tecnologia. Complementando esse ponto de vista, o representante do Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde (CONASEMS) destacou os desafios inerentes às decisões da Conitec, solidarizando-se com as dificuldades de acesso e diagnóstico relatadas pelo especialista. Em seguida, o representante do Conselho Federal de Medicina (CFM) corroborou as manifestações anteriores sobre as barreiras sociais no diagnóstico e tratamento. Ainda, solicitou que divergências de opinião não fossem interpretadas como insensibilidade à causa e instigou o fórum a refletir sobre o manejo clínico dos pacientes que apresentam benefícios com a tecnologia, mas que, no momento, carecem de qualquer alternativa terapêutica viável. Seguidamente, o especialista manifestou concordância com os representantes do CONASS e CONASEMS, reiterando sua visão de que a aprovação de tecnologias no Brasil deve estar condicionada a uma negociação de preços compatível. Além disso, abordou a existência de um programa de educação para profissionais não médicos, visando à identificação precoce de lesões cutâneas suspeitas. Em seguida, o representante da SCTIE destacou a escassez de evidências robustas, enfatizando a existência de apenas estudos de braço único, sem comparadores diretos; diante dessa fragilidade metodológica, manifestou voto desfavorável à incorporação. Em contrapartida, o representante da OSC defendeu a necessidade de uma negociação estratégica de preços com a empresa detentora do registro e apresentou voto favorável à recomendação da tecnologia. O representante do CONASEMS manifestou concordância com a fala do representante da OSC quanto à necessidade de negociação de preços; todavia, diante das incertezas clínicas e dos desafios econômicos, manifestou voto de recomendação desfavorável à incorporação. No mesmo sentido, CONASS e ANVISA fundamentaram seus votos de recomendação desfavoráveis na fragilidade das evidências científicas. O representante da SAES também apresentou voto de recomendação desfavorável, citando a limitação das evidências clínicas e o elevado impacto orçamentário, embora tenha sugerido a possibilidade de uma negociação com a empresa detentora do registro da tecnologia pós consulta pública (CP). Os representantes dos NATS e da Secretaria de Informação e Saúde Digital (SEIDIGI) manifestaram voto de recomendação desfavorável em virtude da insuficiência de dados clínicos robustos. Em contrapartida, o representante do CFM apresentou voto de recomendação favorável à incorporação da tecnologia, e enfatizou a necessidade do debate econômico. Os representantes da Associação Médica Brasileira (AMB) e do Conselho Nacional de Saúde (CNS) também manifestaram voto de recomendação favorável, contudo destacaram a importância da apresentação de uma proposta de preço adequada por parte da empresa detentora do registro. Em contrapartida, os representantes da SEIDIGI, SE, SGTES e SVSA, além da ANS apresentaram recomendações desfavoráveis. Por fim, o representante da SCTIE informou que houve abertura de chamada pública, porém não obteve inscritos, ressaltando a importância da participação da sociedade na CP.

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 148ª Reunião da Conitec, no dia 11 de fevereiro de 2026, deliberaram, por maioria simples, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do vismodegibe para tratamento de pacientes com carcinoma basocelular localmente avançado ou metastático sem indicação de cirurgia e radioterapia.

Órgão	Nome	Conflito Declarado
Instituto Oncoguia	Luciana Holtz de Camargo Barros	Pai já teve o diagnóstico da condição de saúde; Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (o Instituto Oncoguia, ong na qual atuo como presidente, já contou (há mais de 24 meses) com patrocínio da empresa Roche para realização de campanhas educativas focadas na conscientização dos diferentes tipos de câncer de pele).
	Evelin de Moraes Scarelli Terwak	Irmão e avó já tiveram o diagnóstico da condição de saúde; Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (o Instituto Oncoguia, ong na qual atuo como vice-presidente, já contou (há mais de 24 meses) com patrocínio da empresa Roche para realização de campanhas educativas focadas na conscientização dos diferentes tipos de câncer de pele).

Apreciação inicial da deutetrabenazina para o tratamento de pacientes adultos com coreia associada à Doença de Huntington

Título do tema: Deutetrabenazina no tratamento de adultos com coreia associada à Doença de Huntington e discinesia tardia.

Tecnologia: Deutetrabenazina.

Indicação: tratamento de adultos com coreia associada à Doença de Huntington e discinesia tardia.

Solicitação: incorporação.

Demandante: Teva farmacêutica.

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, reunidos na 148ª reunião ordinária, realizada em 11 de fevereiro de 2026, foi deliberado, por maioria simples, recomendar preliminarmente a não incorporação da tecnologia.

ATA: A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), em sua 148ª Reunião Ordinária, apreciou apresentação inicial do Deutetrabenazina no tratamento de adultos com coreia associada à Doença de Huntington e discinesia tardia, com o objetivo de avaliar a incorporação ao Sistema Único de Saúde (SUS). O apresentador inicia saudando os presentes e declara não possuir conflito de interesse relacionado à matéria apresentada. Seguiu com a contextualização da Doença de Huntington que é uma condição hereditária e neurodegenerativa, de progressão contínua, sem tratamento específico disponível no SUS. A doença resulta em atrofia do tecido nervoso central e dos gânglios basais, devido ao aumento dos ventrículos cerebrais. Os sintomas dividem-se em três pilares: motores, cognitivos e psiquiátricos, sendo a coreia o mais incapacitante (movimentos involuntários e torsionais). Seguiu com a Descrição da Demanda, que solicita a incorporação da tecnologia deutetrabenazina, um inibidor oral do transportador de monoamina tipo 2 (VMAT2). Sua função é reduzir a liberação de dopamina, diminuindo os movimentos involuntários. O preço proposto pelo fabricante inclui desconto de 40% sobre o preço máximo de venda ao governo, com alíquota de 18%, variando conforme a dosagem: 6 mg, R\$ 8.768, 9 mg, R\$ 13.152 e 12 mg, R\$ 17.536. Seguiu descrevendo a metodologia aplicada a avaliação iniciando com a estrutura PICO: P (População): Adultos com coreia associada à Doença de Huntington; I (Intervenção): Deutetrabenazina; C (Comparador): Tratamento padrão; O (Desfechos): Desfechos de eficácia: variação na escala Coreia Máxima Total (TMC), score motor total (TMS), impressões globais de mudança (PGIC e CGIC). E Desfechos de segurança: eventos adversos, fatalidades, qualidade de vida (SF-36) e relatos de pacientes. Evidências Científicas. A busca bibliográfica identificou 561 estudos; após triagem, 2 referências foram incluídas, sendo o principal o estudo FIRST-HD (ensaio clínico fase 3, duplo-cego, randomizado e controlado por placebo), que envolveu 90 pacientes adultos (TMC \geq 8), acompanhados por 12 semanas. Resultados de eficácia: Redução média de 4,4 pontos no grupo deutetrabenazina vs 1,9 pontos no placebo — diferença de 2,5 pontos, estatisticamente significativa. Na avaliação de segurança, foi identificado que houve perfil semelhantes entre

os grupos. As limitações do estudo são, a curta duração do estudo (12 semanas), amostra reduzida e população restrita (EUA e Canadá). No entanto, foi mostrado a extensão do estudo FIRST-HD, aberto, de braço único, com pacientes fazendo uso de até 72 mg/dia, e os pacientes foram avaliados na 8ª semana e na semana 145. Os resultados mostraram melhora no escore do TMC e no TMS, e na semana 145 manutenção do escore TMC, mas perda de escore do TMS. No período após 145 semanas, em washout, houve perda de escore do TMC. Foi lembrado sobre as limitações de ser um estudo aberto, de braço único e com amostra pequena. Na avaliação da qualidade da evidência, pela ferramenta GRADE, a evidência para os desfechos TMS e TMC foi considerada alta, e para a impressão global de mudança do paciente (PGIC) e para a impressão global de mudança clínica (CGIC) a evidência foi considerada baixa. Em relação a qualidade de vida, SF-36 e segurança a qualidade também foi considerada baixa. Para avaliação econômica, foi adotado um modelo híbrido combinando árvore de decisão (para as primeiras 12 semanas de titulação da dosagem até o nível ideal) e modelo Markov (ciclos mensais lifetime pós-titulação). Entradas principais: idade média de 54 anos, custo inicial de titulação de R\$ 49.000, custo mensal de manutenção de R\$ 19.436 e ganho de utilidade de 0,07 (15%) vs. placebo. O modelo teve como resultado um custo incremental de R\$ 341.548, ganho de 0,37 QALYs, 1,23 anos de vida adicionais e razão custo-utilidade incremental de R\$ 915.825/QALY. Seguiu-se com a análise de impacto orçamentário (AIO), usando a perspectiva do SUS, população adulta com coreia associada à Doença de Huntington, horizonte de 5 anos (sem desconto), comparador placebo, custos diretos em Excel, sensibilidade via análise de cenários de market share. Cenários iniciais: referência (20%), moderado (40%) e agressivo (60%). Ajuste com estudo de mercado (penetração anual de 24%), alcançando 100% no 4º ano. Custos incrementais no 5º ano (maior peso): R\$ 106 milhões (referência), R\$ 212 milhões (moderado); agressivo atinge pico de R\$ 220 milhões. Projeção de R\$ 400 milhões em 5 anos para 2.700 pacientes. Nada mais havendo a tratar, o apresentador encerrou sua apresentação. Ainda como contribuição do INC-NATS, foi colocado que o ponto central das evidências é a dificuldade em afirmar a eficácia clínica do medicamento a partir apenas da variação do escore TMC, especialmente porque a empresa não justificou, com base em evidência, o uso do ponto de corte de 3 pontos como diferença minimamente importante. Ressalta-se que, para fins de consulta pública e transparência do relatório da empresa, é essencial explicitar a origem desse limiar (3 pontos de TMC) e dos pressupostos de market share. Seguiu-se com a apresentação do MHT, realizada pela técnica do DGITS, que declarou não ter conflito de interesses com esse tema, e que foi realizada uma busca nas bases de dados do Clinical Trials, Cortellis e na Anvisa. Foi identificado ensaios de fases 3 e 2, Valbenazina e Bevantolol. Seguiu-se com a apresentação da perspectiva do paciente, com chamada pública número 85, durante o período de 31 de outubro a 4 de novembro de 2025. A chamada recebeu 9 inscrições. A seleção dos representantes ocorreu por meio de sorteio e o representante para a este tema é o senhor Carlos Alexandre Malheiro Oliveira, que se inscreveu na condição de pessoa com a condição de saúde e usuário da tecnologia. Sr. Carlos declarou, como conflito de interesse, ter a condição de saúde e fazer uso da tecnologia que, de acordo com o manual de gerenciamento e Gestão e conflito de interesses da Conitec, são

conflitos classificados como pouco importantes, portanto, ele foi autorizado a participar da reunião e apresentar o seu relato. Carlos relata que usa deutetrabenazina há 3 anos, obtida via judicialização contra plano de saúde que depois de uma negativa, o processo foi concluído em 7 dias via mandado de segurança. E que após 15 dias de uso, profissionais (psiquiatra, terapeuta, fisioterapeuta) notaram melhora notória na coreia, permitindo maior independência, pois mora sozinho, faz fisioterapia (2x/semana), fonoaudiologia (para deglutição), academia diária, trabalha em home office como PCD na área econômica. A médica questionou a melhora clínica no dia a dia, para ajudar a entender a eficácia do remédio, e relatou que seus principais ganhos foi a melhora do andar, equilíbrio e coordenação, pois antes caía muito na rua, e hoje ele realiza todas as atividades diárias sozinho, com significativa elevação na qualidade de vida, apesar de ausência de cura. Então foi encerrado a participação da perspectiva do paciente e seguiu-se com questionamento para a médica especialista, Dra. Roberta Saba, sobre os o entendimento melhor das escalas TMC (Coreia Máxima Total, 0-28 pontos) e TMS (Total Motor Score), pois o relato individual parece superar os resultados médios dos ensaios clínicos, como a redução média de 3-4 pontos demonstrada nos estudos. Questionou-se isso se deveria a variabilidade inter-observador na aplicação das escalas versus melhora real e clinicamente significativa na doença. A médica iniciou sua fala agradecendo o convite e contextualiza sua longa experiência com a Doença de Huntington, doença rara com diagnóstico facilitado recentemente, mas ainda desafiadora devido à escassez de escalas motoras específicas (TMC mede intensidade em membros, sem qualificar graus de melhora, como de moderado para leve). Ressaltou que reduções de 3-4 pontos na TMC subestimam ganhos reais em qualidade de vida: melhora na coreia reduz risco de quedas, fraturas e mortalidade (ex.: equilíbrio permite andar sem bengala), combate estigma social (acusações de embriaguez), ansiedade associada (evidenciada em literatura) e facilita atividades como alimentação e deglutição, prevenindo desnutrição em contexto catabólico. Enfatizou que a deutetrabenazina não modifica a progressão da doença, mas melhora significativamente a qualidade de vida ao controlar a coreia, pois as vezes uma pequena mudança pode dar independência para se alimentar. Abordou os aspectos socioeconômicos, principalmente em pacientes jovens (40-50 anos), frequentemente, perdem capacidade laboral, sofrem preconceitos sociais, sobrecarregando cuidadores e renda familiar. E citou o acesso limitado a especialistas/centros, atraso diagnóstico (até 2 anos), falta de equipes multidisciplinares (fisioterapia, fono, psicologia, enfermagem, geneticista). A médica foi questionada se há pacientes mais graves, e se estes tem respondem melhor (maior ganho funcional, "galgando etapas") ou são mais resistentes, sugerindo necessidade de diagnóstico e intervenção mais precoce para otimizar resultados. A Dra. Roberta concorda com a importância da seleção, notando que projeções populacionais (2.000-2.700 pacientes) não implicam uso universal; prioriza-se casos em que a coreia impacta significativamente a vida diária, e que a tendência é introduzir a medicação em fases intermediárias (não iniciais nem avançadas), pois uma piora pode levar à perda de independência (quedas frequentes, dificuldade laboral), permitindo restabelecer funções. Já em fases muito avançadas, o benefício é limitado. Finalizado os questionamentos e as contribuições da especialista, iniciou-se a discussão da

votação. A plenária discutiu que reconhece a complexidade da doença e as limitações das evidências, com redução na TMC/TMS (3-4 pontos em escala 0-28), mas faltam dados clínicos robustos sobre impacto funcional real como melhora do equilíbrio, deglutição, independência, e da qualidade de vida, que não apresentou grandes alterações. Doenças raras sempre mostram variabilidade individual, que foi corroborado pela perspectiva do paciente e da especialista, mas insuficiente para certeza populacional. Frente a estes dados, foi apontado o custo elevado, chegando à dispensação de R\$ 400 milhões para atender toda a população alvo, e colocar restrições, os critérios são subjetivos e de difícil criação de subgrupos, para um menor impacto orçamentário. E desta forma, as dúvidas persistentes sobre eficácia coletiva, foi colocado que a consulta pública e experiências reais poderiam ajudar a sanar algumas dúvidas que foram discutidas. Considerando a discussão sobre as incertezas do tamanho do efeito e o alto custo da tecnologia. A deutetrabenazina para o tratamento de pacientes adultos com coreia associada à doença de Huntington, será encaminhada para consulta pública, com recomendação preliminar desfavorável pela maioria dos presentes, visando esclarecer incertezas do benefício clínico e alto impacto econômico. O voto da maioria foi seguido pelos demais presentes seguindo o mesmo racional.

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 148ª Reunião da Conitec, no dia 11 de fevereiro de 2026, deliberaram, por maioria simples, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do Deutetrabenazina no tratamento de adultos com coreia associada à Doença de Huntington e discinesia tardia.

Órgão	Nome	Conflito Declarado
OSC: A B H - Associação Brasil Huntington	Gloria Gonzalez Lage	Avó teve a condição de saúde; Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (ABH, sou membro voluntário ativo).
	Gladys Regina Vieira Miranda	Irmã tem a condição de saúde; Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema.
	Rita de Cássia Corrêa	Cônjuge teve o diagnóstico da condição de saúde;

		Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (ABH - Rita de Cássia Corrêa - participo atualmente).
--	--	---

Apreciação inicial do Romosozumabe e Teriparatida no tratamento para homens com osteoporose grave e falha terapêutica aos medicamentos disponíveis no SUS.

Título do Tema: Romosozumabe e Teriparatida no tratamento para homens com osteoporose grave e falha terapêutica aos medicamentos disponíveis no SUS.

Tecnologia: Romosozumabe e Teriparatida.

Indicação: Tratamento de homens com osteoporose grave e falha terapêutica aos medicamentos disponíveis no SUS.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Comitê de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde ligado ao Ministério da Saúde, por meio do OFÍCIO Nº 33/2025/CGPCDT/DGITS/SECTICS/MS.

Apresentação: Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS) do Centro de Desenvolvimento Tecnológico em Saúde (CDTS) da Fiocruz.

ATA: "Esse texto foi elaborado com auxílio de inteligência artificial". Inicialmente, a diretora do DGITS contextualizou a demanda, que foi proveniente da SCTIE para complementar demanda avaliada anteriormente (atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Osteoporose, durante a 141ª Reunião da Conitec). A palavra foi, então, passada para a técnica do NATS do CDTS da Fiocruz, que declarou não possuir conflitos de interesse e apresentou a síntese de evidências elaborada para os dois medicamentos, tendo como referência para a pergunta de pesquisa se o romosozumabe ou a teriparatida seriam mais eficazes do que os seus comparadores disponíveis no SUS (alendronato de sódio, risedronato de sódio, pamidronato dissódico, ácido zolendrônico, calcitonina, placebo) para o tratamento de desfechos como risco de queda e fraturas em homens com osteoporose grave. A técnica do NATS ressaltou que houve heterogeneidade substancial entre os ensaios clínicos avaliados em aspectos como desenho metodológico, características das populações avaliadas, intervenções utilizadas e comparadores empregados, assim como desfechos estudados, sendo que optou-se pela elaboração de uma síntese narrativa estruturada para a avaliação das evidências para as duas tecnologias. A avaliação do risco de viés para os estudos realizados com romosozumabe indicou baixo risco de viés para o ensaio clínico randomizado e moderado a alto risco de viés

para os estudos observacionais incluídos. Em relação a teriparatida, a avaliação do risco de viés variou de baixa a alta para os ensaios clínicos incluídos. Sobre a avaliação da certeza da evidência, a técnica do NATS ressaltou que foram observadas classificações distintas entre os desfechos analisados e entre as intervenções avaliadas. Para o romosozumabe, a certeza da evidência foi classificada como baixa para redução de fraturas, moderada para aumento da densidade mineral óssea (DMO) e segurança cardiovascular, e alta para os desfechos relacionados a ocorrência de qualquer evento adverso e descontinuação da terapia. Já para a teriparatida, a certeza da evidência foi baixa a moderada para fraturas não vertebrais e alta para os desfechos primários, especialmente aqueles relacionados ao ganho de DMO, com um perfil de segurança globalmente favorável, considerando a consistência e qualidade dos dados disponíveis. No caso dos estudos observacionais, a certeza da evidência foi classificada como baixa ou muito baixa, não sendo possível estabelecer inferências robustas sobre superioridade entre romosozumabe e teriparatida, sobretudo porque essa comparação direta baseouse em apenas um estudo. Para finalizar a síntese de evidências, a técnica do NATS relatou que a maioria das agências internacionais europeias e que a agência canadense não avaliou o uso das tecnologias em análise para homens com osteoporose grave, e que apenas as agências do Japão e da Austrália recomendam o uso do romosozumabe e da teriparatida, contudo em situações específicas. Outro técnico do NATS prosseguiu a apresentação com a avaliação econômica em saúde (AES) e também declarou não possuir conflitos de interesse. Foi realizada análise de custo-efetividade na perspectiva do SUS comparando as tecnologias com o alendronato (medicamento padrão do SUS). Utilizando o modelo econômico de Markov, com horizonte temporal de 10 anos, em três faixas etárias (50, 60 e 70 anos), com taxa de desconto de 5% ao ano e tendo como medidas de efetividade o QALY (anos de vida ajustados pela qualidade) e o número de fraturas evitadas, viu-se que o custo anual estimado das tecnologias avaliadas foi maior do que R\$ 30.000 para a teriparatida, em torno de R\$18.000 para o romosozumabe e cerca de R\$ 15 para o alendronato. Nesse contexto, o técnico do NATS ressaltou que a análise de custo-efetividade demonstrou que para as três faixas etárias o alendronato foi a alternativa menos custosa, enquanto o romosozumabe apresentou maior efetividade (porém com maior custo) e a teriparatida foi dominada em todos os cenários — ou seja, apresentou maior custo e menor efetividade. No cenário dos homens de 50 anos, o romosozumabe apresentou um ICER de R\$ 30.000 por QALY, abaixo do limiar de aceitabilidade de R\$ 40.000 da Conitec. Nos demais cenários (60 e 70 anos), o ICER ficou muito acima desse limiar. Em relação ao impacto orçamentário em 5 anos, o técnico do NATS abordou que o impacto incremental líquido do romosozumabe adicionaria R\$ 115 milhões em relação ao alendronato, a teriparatida adicionaria R\$ 450 milhões e, na comparação entre o romosozumabe e a teriparatida, o romosozumabe oferece uma economia de aproximadamente R\$ 335 milhões, concluindo que o romosozumabe foi dominante em relação à teriparatida (mais efetivo e menos custoso) e que apenas no cenário de indivíduos com 50 anos o romosozumabe foi considerado custoefetivo no limiar da Conitec. Entretanto, o técnico ressaltou que esses resultados devem ser interpretados com cautela devido as incertezas sobre benefícios clínicos de longo prazo,

as limitações metodológicas do modelo e o uso de dados internacionais sem ajuste completo para a realidade brasileira. Em seguida, a técnica do DGITS apresentou o monitoramento do horizonte tecnológico, realizado considerando as bases clínicas e regulatórias ClinicalTrials, Cortellis e Anvisa. Considerando estritamente a condição de osteoporose masculina grave, nenhuma tecnologia emergente atenderia aos critérios. Entretanto, ao ampliar para osteoporose masculina sem restrição de gravidade, identificou-se uma tecnologia relevante, um análogo misto para tireoide e osteoporose, com ensaio clínico fase 3 concluído em 2021; registro pendente na Anvisa, atualizado em fevereiro de 2026, permanecendo em análise; e registro aprovado na EMA desde 2022 para mulheres e na FDA desde 2022 para homens e mulheres. Além disso, foram identificados em estudo científico, três biossimilares de denosumabe, já registrados há mais de 5 anos e dois biossimilares de teriparatida, tecnologia atualmente em análise neste processo. Posteriormente, iniciou-se a apresentação da perspectiva do paciente por outra técnica do DGITS. Foi aberta a chamada pública nº 80 de 2025, durante o período de 31 de outubro a 10 de novembro/2025. A chamada recebeu uma inscrição, entretanto o inscrito não atendia às especificidades da chamada. A técnica do DGITS relatou que a Secretaria Executiva da Conitec realizou busca ativa e identificou um representante para participar da ação. O representante do tema declarou como conflito de interesses ter a condição de saúde e ter feito o uso da teriparatida, o que, de acordo com o manual de Gerenciamento e Gestão de Conflito de Interesses da Conitec, são classificados como pouco importantes. O paciente, residente na cidade de Contagem - Minas Gerais, relatou que, por volta dos anos de 2021 e 2022, iniciou investigação médica em razão de dores intensas e persistentes. Informou ter passado por cinco profissionais até realizar uma ressonância magnética que confirmou que se tratava de osteoporose severa atípica de origem genética. Relatou que, no momento do diagnóstico, já apresentava oito vértebras comprimidas, e que a médica prescreveu o uso do medicamento teriparatida, aplicado diariamente durante dois anos. De acordo com seu relato, o tratamento foi eficaz para o fortalecimento das vértebras comprometidas, reduzindo significativamente as dores na coluna. Entretanto, informou que o medicamento não apresentou o mesmo resultado na região do fêmur. Atualmente, segundo ele, a cabeça do fêmur apresenta desgaste e não se encaixa adequadamente no quadril, o que ocasiona desconfortos esporádicos, especialmente em mudanças bruscas de temperatura. Foi aberto momento para questionamentos ao paciente. A representante da AMB questionou a idade do paciente e a presença de outros sintomas (perda de peso, dificuldade para ganhar peso ou dificuldade para desenvolver massa muscular, fraqueza muscular e outros familiares diagnosticados com a mesma doença). O paciente relatou ter 73 anos e que as dores surgiram de forma repentina, relatou também que seus pais tiveram osteoporose, mas que não imaginava que a condição pudesse atingir um grau tão severo e que realmente perdeu alguns quilos no período anterior ao diagnóstico. A representante do CNS questionou sobre o acesso ao medicamento teriparatida e se o paciente realizou outros cuidados complementares relacionados à sua saúde durante o tratamento da osteoporose. O paciente relatou que a médica forneceu uma caneta de teriparatida de doação e que foi orientado a buscar o fornecimento do tratamento pelo Estado. Até o processo judicial

produzir efeitos, o paciente precisou adquirir, por conta própria, dois lotes do medicamento. Como tratamentos complementares, esclareceu que não utilizou suplementos alimentares específicos além das orientações gerais de ingestão de alimentos ricos em cálcio, como leite e derivados, e que realiza hidroginástica e pilates para fortalecimento muscular. Relatou também que, após o término do tratamento com a teriparatida, faz uso apenas da injeção anual de ácido zoledrônico, conforme orientação médica. Anteriormente à abertura de perguntas para a especialista convidada da AMB, a diretora do DGITS reforçou o contexto de avaliação dessa demanda. A mesma explicou que, inicialmente, a comissão avaliou a possibilidade de incorporação da teriparatida, porém o Ministério da Saúde não conseguiu implementar a tecnologia devido ao elevado custo, o que motivou a reavaliação. Durante esse processo, a comissão reexaminou a teriparatida e avaliou, de forma comparativa, o romosozumabe. Naquele momento, o romosozumabe apresentou melhor desempenho econômico, sendo considerado dominante em relação à teriparatida. Assim, a recomendação da comissão foi pela incorporação do romosozumabe. Contudo, destacou que, na ocasião, a população masculina não foi contemplada pela recomendação, devido a indicação em bula e à avaliação técnica da Conitec. Assim, no processo de implementação, manteve-se o direcionamento da tecnologia às mulheres, respaldado pela literatura, pela bula e pela recomendação de incorporação. Em razão disso, surgiu a demanda de reavaliar a teriparatida especificamente para possibilitar sua oferta a homens com osteoporose grave, o que motivou a reabertura da análise. Também esclareceu que quanto ao uso do romosozumabe em homens, a indicação para essa população permanece *off label* no Brasil, sem atualização da bula. Com relação à teriparatida, destacou que atualmente existem novos entrantes no mercado, ampliando a concorrência entre produtos da mesma classe terapêutica e resultando em redução de preços em compras públicas. Esse cenário trouxe mudanças no aspecto econômico, tornando a teriparatida potencialmente mais vantajosa sob a perspectiva de custo-efetividade. Após essa contextualização, realizou-se a abertura de questionamentos à especialista. A representante da AMB questionou sobre o diagnóstico precoce em homens. A especialista explicou que a investigação de osteoporose é indicada principalmente diante de fraturas de baixo impacto, dor persistente na coluna e fatores de risco como uso crônico de corticoides, fratura prévia, tabagismo, alcoolismo e doenças que afetam o metabolismo ósseo. Ressaltou que as terapias anabólicas (teriparatida e romosozumabe) mostram grande eficácia, com foco não apenas no aumento da densidade mineral óssea, mas principalmente na redução do risco de fraturas — benefício observado também em homens, apesar de menor número de estudos. Já os antirreabsortivos, como alendronato, são úteis, mas têm efeito mais modesto. Enquanto o alendronato reduz fratura vertebral em aproximadamente 40%, o ácido zoledrônico e denosumabe reduzem em aproximadamente 70%. Já as terapias anabólicas chegam a 80–90% de redução e atuam mais rapidamente, o que é crucial em pacientes com múltiplas fraturas. A especialista ressaltou a importância das terapias anabólicas, posição também defendida pelo Departamento de Metabolismo da Sociedade Brasileira de Endocrinologia e Metabologia (SBEM). A representante dos NATS questionou sobre o posicionamento dos

dois medicamentos na linha de cuidado do paciente com osteoporose, se são terapias intercambiáveis, se existem situações específicas em que um deles é mais indicado do que o outro, e qual o papel de cada tecnologia no cuidado aos pacientes do sexo masculino. A especialista salientou que após utilizar qualquer terapia anabólica, é obrigatório fazer a transição para um antirreabsorptivo para manter o ganho de massa óssea (como o alendronato). Ressaltou que o romosozumabe e a teriparatida são concorrentes e que, na maioria das indicações, ambos podem ser utilizados. A escolha depende de fatores como custo, posologia e duração do tratamento. Do ponto de vista científico, o romosozumabe é o único anabólico com evidência robusta de redução de fratura de quadril. Ambos reduzem fraturas vertebrais, mas apenas ele tem esse desfecho confirmado em estudos randomizados. Ainda assim, a teriparatida tem papel importante em grupos específicos. Assim, embora a análise de custo-efetividade favoreça o romosozumabe, há um subconjunto de pacientes que necessita da teriparatida e, por isso, a posição da SBEM é apoiar a incorporação do romosozumabe sem retirar a teriparatida do arsenal terapêutico. Logo após o debate, a representante do CNS e o representante da Anvisa questionaram os cenários de votação para a incorporação das tecnologias avaliadas, visto que, até o presente momento, o medicamento romosozumabe não possui indicação em bula aprovada junto à Anvisa para tratamento de homens, caracterizando-se como prescrição de medicamento *off label*. A diretora do DGITS esclareceu que a análise das tecnologias apresentou todos os elementos clínicos que justificavam o uso do medicamento mesmo em condição *off label*. Também esclareceu que a definição das indicações de bula depende exclusivamente da empresa que solicita a ampliação à Anvisa e que, no Brasil, o uso em homens é *off label*, não por falta de evidência, mas porque a empresa não solicitou, ou não teve aprovada, a indicação para essa população. Em outros países, o mesmo medicamento é aprovado para homens, e as evidências dão suporte ao uso. Ressaltou, ainda, que, muitas vezes, a ausência de indicação reflete apenas uma estratégia de mercado da empresa, que escolhe em quais populações focar. Apesar disso, existe um estigma em torno do uso *off label*, quando ele frequentemente é respaldado por literatura e diretrizes, sendo este caso um bom exemplo para refletir sobre o real significado desse termo dentro da prática baseada em evidências. O representante da Anvisa sugeriu que o uso de medicamento *off label* deve ser a última opção e que deve-se cobrar da empresa a atualização da bula com a indicação para homens com a finalidade de incorporação no SUS. Nesse contexto, o suplente da SCTIE destacou que o aspecto central da discussão relativa ao romosozumabe e à teriparatida refere-se ao preço. Ressaltou-se que a eventual entrada de novos concorrentes no mercado pode ensejar a apresentação de propostas mais competitivas, com potencial para alterar a análise de dominância apresentada na ATS. Ademais, pontuou-se que, mesmo considerando o PMVG dos produtos similares disponíveis, essa dominância possivelmente já seria alterada. Por fim, sugeriu-se a realização de análise de sensibilidade da avaliação econômica no retorno da consulta. Embora as tecnologias tenham mecanismos diferentes, ambas são agentes anabólicos e têm eficácia semelhante, o que lembra debates anteriores em que uma classe como um todo foi avaliada por causa das incertezas de mercado e da proximidade dos resultados clínicos. Isso pode justificar considerar uma aquisição

por classe ou a compra dos dois produtos, utilizando o mais vantajoso conforme o preço vigente — com exceções para subgrupos específicos, como pacientes com risco cardiovascular, que podem ser favorecidos pela teriparatida. A saída da teriparatida no passado se deu por razões comerciais, não por evidência científica. Agora, com novos entrantes e possíveis ajustes de preço, pode-se ter um cenário mais econômico para o SUS. Também ressaltou que, caso haja mudanças nos preços, será preciso revisitar também o protocolo feminino. Ressaltou que esses pontos ajudam a orientar o debate, especialmente diante da reentrada da teriparatida e da chegada de novos produtos ao mercado. Diante dessa análise, a diretora do DGITS sugeriu uma recomendação preliminar desfavorável para a incorporação das tecnologias até que as empresas apresentem os valores para a proposta final e até a realização de consulta pública, com os demais membros do comitê de acordo.

Recomendação final da Conitec: os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 148ª Reunião Ordinária da Conitec, no dia 11 de fevereiro de 2026, deliberaram, por unanimidade, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do romosozumabe e da teriparatida para o tratamento de homens com osteoporose grave.

Apreciação inicial da Vosoritida para tratamento de acondroplasia (ACH) em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas

Título do tema: Vosoritida para tratamento de acondroplasia (ACH) em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

Tecnologia: Vosoritida.

Indicação: Demanda interna: tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 2 anos de idade e cujas epífises não estão fechadas; Demanda externa: tratamento de acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Demanda interna: Secretaria de Atenção Especializada à Saúde do Ministério da Saúde (SAES/MS) e; Demanda externa: BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda.

Apreciação inicial do tema: Colaboradores do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde do Hospital de Clínicas de Porto Alegre (NATS - HCPA).

ATA: A reunião foi iniciada com esclarecimentos da representante da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde (SCTIE) acerca do processo de seleção da Organização da Sociedade Civil (OSC), tendo sido selecionado o Instituto Nacional de Nanismo. Informou-se que a representante indicada para participação na reunião declarou conflito de interesse relevante, por integrar associação de pacientes que recebe recursos da empresa detentora do registro da tecnologia avaliada, bem como por já ter recebido

honorários para atuação em consultorias e palestras relacionadas à referida tecnologia. Em razão do conflito de interesse de natureza financeira, ficou impedida de proferir voto na presente demanda, podendo, entretanto, realizar manifestações e contribuições técnicas ao Comitê. Ressaltou-se que a matéria decorre de demanda interna e externa, que a avaliação foi iniciada a partir de solicitação interna da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (SAES) e, posteriormente, foi recebida demanda externa da empresa BioMarin. Registrou-se a presença de representantes da empresa BioMarin na condição de ouvintes, podendo permanecer na reunião e prestar esclarecimentos técnicos quando solicitados pelo Comitê. Na sequência, colaboradora do NATS-HCPA iniciou a apresentação técnica, reiterando que a avaliação contempla dois demandantes o demandante interno e o demandante externo. Ressaltou que a solicitação da demanda interna refere-se ao tratamento da acondroplasia em pacientes a partir de 2 anos de idade, com epífises não fechadas. A demanda externa contempla pacientes a partir de 6 meses de idade, também com epífises não fechadas. No contexto clínico, destacou-se que a acondroplasia é uma doença rara, causada por variantes patogênicas com ganho de função no gene FGFR3 (receptor 3 do fator de crescimento de fibroblastos). Relatou que em revisão sistemática conduzida na América Latina, envolvendo aproximadamente 1.604 indivíduos, estimou prevalência entre 0,26 e 0,45 por 10.000 nascidos vivos, em consonância com dados globais. Clinicamente, trata-se de uma displasia esquelética caracterizada por encurtamento rizomélico dos membros e baixa estatura desproporcional. Na infância, observa-se hipotonia típica e atraso na aquisição de marcos motores com a inteligência preservada. A estatura média na idade adulta é de aproximadamente 1,29 m em homens e 1,22 m em mulheres. O diagnóstico confirmatório é realizado por exame molecular, sendo que mais de 95% dos pacientes apresentam variante patogênica no gene FGFR3; entretanto, esse exame ainda não está disponível no Sistema Único de Saúde (SUS). Relatou que o manejo no sistema de saúde baseia-se no tratamento das comorbidades, incluindo fisioterapia, cirurgias ortopédicas e otológicas, acompanhamento oftalmológico, uso de medicamentos para controle de infecções auditivas e suporte respiratório, não havendo terapia medicamentosa específica incorporada ao SUS até o momento. Relatou que a pergunta de pesquisa foi definida como: avaliar se a vosoritida é eficaz e segura para promover crescimento linear, em comparação ao tratamento padrão no SUS, em crianças a partir de 2 anos de idade com diagnóstico de acondroplasia e epífises não fechadas. Relatou que foram incluídos seis estudos, dentre eles dois ensaios clínicos e seus respectivos estudos de extensão, incluindo estudo de fase 2. Ressaltou que no balanço entre benefícios e riscos, observou-se que, para crianças acima de 5 anos, os resultados são consistentes entre diferentes desenhos de estudo, sugerindo aumento na velocidade de crescimento anual e melhora no escore Z de altura ao longo do tempo. Para a faixa etária de 2 a 4 anos, a base de evidências é mais limitada, em relação ao crescimento proporcional, não houve evidência de piora da desproporção característica da acondroplasia, havendo sugestão de discreta melhora em seguimentos mais prolongados. Quanto à qualidade de vida, a evidência é limitada, estudos de curto prazo não identificaram diferenças relevantes, e achados positivos derivam de extensões abertas, com amostras pequenas, sem grupo controle

e maior variabilidade, o que gera incerteza quanto à consistência dos resultados. O perfil de segurança foi caracterizado predominantemente por eventos adversos leves, especialmente reações no local da aplicação e infecções respiratórias comuns na faixa pediátrica. Eventos adversos graves foram relatados, em sua maioria atribuídos à condição de base e raramente ao tratamento. Na análise da demanda externa, a busca conduzida pelo demandante foi semelhante à realizada pelo NATS-HCPA, resultando na inclusão de dez estudos, já descritos na avaliação técnica. O demandante considerou os estudos de mundo real como evidência principal, enquanto o NATS os classificou como evidência adicional. Destacou-se que a principal diferença entre as demandas refere-se à população: a demanda interna inclui pacientes a partir de 2 anos, enquanto a externa inclui pacientes a partir de 6 meses. Para essa faixa etária mais precoce, apenas um subgrupo de um dos estudos apresentou dados específicos, não tendo sido identificadas evidências adicionais relevantes na análise do demandante. Na avaliação econômica da demanda interna, foi realizado ajuste no custo do medicamento, considerando proposta de preço apresentada pelo demandante, com reanálise dos cálculos. Foi desenvolvido modelo econômico do tipo Markov, com horizonte temporal de 16 anos, para avaliar a custo-efetividade da incorporação da vosoritida no SUS para pacientes a partir de 2 anos de idade com epífises não fechadas. Como a literatura não indicou impacto em complicações ou sobrevida, as medidas de efetividade utilizadas foram a variação do crescimento anual e a qualidade de vida avaliada pelo instrumento QoLISSY. Compararam-se as estratégias “cuidados sintomáticos e de suporte” versus “vosoritida + cuidados sintomáticos e de suporte”. A estratégia com vosoritida apresentou custo incremental aproximado de R\$ 28 milhões, associado a incremento médio de 25,81 cm ao longo do período avaliado e ganho adicional de 10,77 pontos no QoLISSY. A razão de custo-efetividade incremental (RCEI) foi estimada em R\$ 1.085.498,09 por centímetro ganho e aproximadamente R\$ 2,6 milhões por QALY. Na avaliação crítica do modelo econômico do demandante, foi informado que este utilizou modelo de simulação individual, com estados de saúde “vivo sem complicação”, “vivo com complicação” e “óbito”, incluindo pacientes a partir de 6 meses de idade. Considerou taxa de adesão de 93% e descontinuação de 3%, bem como idades distintas para fechamento epifisário (17 anos para sexo masculino e 15 anos para sexo feminino). O horizonte temporal adotado foi de 101 anos, com taxas de desconto de 5% para custos e 3% para desfechos. A RCEI estimada foi de aproximadamente R\$ 1,06 milhão por QALY, indicando elevado custo incremental por unidade de benefício, mesmo diante das diferenças estruturais do modelo. No impacto orçamentário da demanda interna, a população foi estimada com base em dados epidemiológicos de nascidos vivos, considerando indivíduos com 2 anos ou mais no ano inicial de análise (2026). No primeiro ano, estimaram-se 109 indivíduos elegíveis, alcançando 526 no quinto ano. O custo anual do tratamento foi considerado uniforme por indivíduo. Para uso contínuo dos 2 aos 18 anos, o custo acumulado estimado por paciente foi de aproximadamente R\$ 14.510.706,40. Em cenário conservador (10% de cobertura inicial com incremento anual de 10%), o impacto orçamentário em cinco anos foi estimado em R\$ 755.463.651,95; em cenário moderado (20% de cobertura inicial com incremento anual de 10%), R\$ 922.336.775,55. Na análise do demandante, a população elegível

foi limitada pela idade de fechamento epifisário, diferenciada por sexo. Informou-se existência de 389 pacientes em tratamento ativo, conforme dados obtidos via Lei de Acesso à Informação. A projeção foi de 392 pacientes no primeiro ano e 816 no último ano. O demandante estimou participação de mercado inicial de 40%, com incremento anual de 10%, além de cenários alternativos com maior cobertura. No cenário padrão apresentado, o impacto orçamentário estimado foi de aproximadamente R\$ 2.400.515.667,00. Quanto à aceitabilidade, colaboradora do NATS ressaltou-se que não há terapia medicamentosa específica disponível no SUS para essa população. Os estudos sugerem possível impacto positivo na qualidade de vida associado ao aumento de estatura, embora com incertezas relevantes. Em relação à implementação, a vosoritida possui registro na Anvisa desde 2021, é de administração subcutânea e pode ser utilizada em regime ambulatorial ou domiciliar, mediante orientação adequada. As estimativas econômicas e de impacto orçamentário indicam elevado incremento de recursos para incorporação no SUS. Relatou que foram identificadas recomendações positivas em agências internacionais, incluindo Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG - Alemanha), Haute Autorité de Santé (HAS - França) e Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS - Austrália), para uso em pacientes com epífises não fechadas. Concluiu-se que o conjunto de evidências sugere benefício em termos de crescimento, com perfil de segurança aceitável, predominantemente com eventos adversos leves. Entretanto, persistem incertezas relevantes, especialmente para a faixa etária entre 6 meses e 4 anos, bem como lacunas quanto a desfechos funcionais, complicações e impactos de longo prazo, exigindo interpretação cautelosa dos resultados. Reconheceu-se, por fim, que a acondroplasia é condição rara, grave e sistêmica, sem terapia medicamentosa específica atualmente disponível no SUS, e que as limitações metodológicas identificadas reforçam a necessidade de monitoramento contínuo caso haja incorporação da tecnologia. Na sequência, foi apresentado o Monitoramento do Horizonte Tecnológico (MHT) da demanda. Técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS) informou que foram consultadas as bases de dados ClinicalTrials, Cortellis e Anvisa, tendo sido identificadas três tecnologias em desenvolvimento para a condição em análise. Nenhuma delas possui registro na Anvisa até o momento, tampouco recomendações emitidas por outras agências de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS). Posteriormente, foi apresentada a perspectiva do paciente. A representante relatou residir no interior de Minas Gerais, ser pessoa com nanismo do tipo acondroplasia e mãe de menino de 11 anos com a mesma condição. Informou que o diagnóstico foi confirmado ainda durante a gestação e que, embora soubesse haver 50% de chance de recorrência, o impacto emocional foi significativo. Destacou as dores físicas, limitações funcionais e o preconceito social vivenciados ao longo da vida, ressaltando que tais desafios não se restringem aos aspectos clínicos, mas também às barreiras impostas socialmente. Relatou que, em março de 2022, teve conhecimento da vosoritida e das possibilidades de melhora na qualidade de vida associadas ao tratamento. Após ação judicial, o tratamento foi iniciado em 11 de abril de 2023. Informou que, desde então, o filho apresentou ganho total de 16,5 cm em estatura, passando de 105,2 cm para 121,7 cm, ao longo de aproximadamente 33 meses de

acompanhamento, correspondendo a média anual de 5,82 cm, indicando aumento da velocidade de crescimento. Antes do início do tratamento, aos 8 anos e 8 meses, apresentava idade óssea de 4 anos e 6 meses. Atualmente, a idade óssea encontra-se entre 9 e 10 anos, compatível com a idade cronológica, conforme exames de imagem. Relatou melhora funcional no cotidiano, inclusive no vestuário, utilizando atualmente tamanho compatível com a idade. Informou ainda ganho de 16 cm na envergadura, com crescimento proporcional de membros superiores, possibilitando maior autonomia em atividades como higiene pessoal, alcance de objetos e utilização de equipamentos em espaços públicos. Destacou que tais ganhos representam independência e dignidade, reduzindo vulnerabilidades associadas à necessidade de auxílio constante para cuidados íntimos. Relatou ainda melhora na qualidade do sono, com redução de episódios de apneia, conforme exames anuais. Enfatizou que a condição está associada a risco aumentado de infecções, alterações craniofaciais e necessidade de múltiplas cirurgias ao longo da vida. Mencionou os desafios psicossociais enfrentados por pessoas com nanismo, incluindo estigmatização, tratamento infantilizado e impacto na autoestima, especialmente na adolescência. Informou que, apesar das aplicações diárias subcutâneas, não houve interrupções no tratamento, nem eventos adversos relevantes, sendo observadas apenas reações locais leves e transitórias. Questionada por representante do Conselho Nacional de Saúde (CNS) acerca do acesso ao medicamento, paciente relatou que ingressou com ação judicial em março de 2022 e que, em abril de 2023, recebeu a primeira remessa, inicialmente adquirida diretamente por meio do valor disponibilizado judicialmente. Posteriormente, o fornecimento passou a ser realizado diretamente pelo Ministério da Saúde, sem interrupções no tratamento. Em relação à administração do medicamento, esclareceu que o produto deve ser retirado da refrigeração aproximadamente 30 minutos antes da aplicação. Informou ter recebido treinamento para aplicação subcutânea, realizada em sistema de rodízio de quatro pontos distintos. Na sequência, representante da SECTIE solicitou esclarecimentos à colaboradora do NATS acerca da diferença etária entre as demandas (a partir de 6 meses, conforme bula, e a partir de 2 anos, conforme demanda interna), bem como sobre a robustez das evidências disponíveis, destacando que os dados mais consistentes derivam de estudos de fase 3 com população a partir de 5 anos de idade. Questionou ainda a interpretação dos dados de escore Z de crescimento na faixa etária inferior a 5 anos e o período de uso do medicamento até o fechamento das epífises, considerando possíveis diferenças entre sexos. Representante do CNS complementou os questionamentos, solicitando esclarecimentos sobre as justificativas clínicas para início do tratamento aos 6 meses ou aos 2 anos de idade, bem como sobre eventual necessidade de recomendação restrita à faixa etária com maior robustez de evidências. Especialista convidado esclareceu que, nos estudos clínicos, a faixa etária a partir de 5 anos foi inicialmente priorizada em razão dos instrumentos de avaliação de qualidade de vida e da possibilidade de autorrelato pela própria criança. Informou que, nos ensaios clínicos, houve período prévio de observação de seis meses antes da randomização, com comparabilidade entre os grupos. Após a intervenção, observaram-se diferenças na velocidade de crescimento em favor do grupo tratado. Quanto à faixa etária inferior a 5 anos, destacou que,

embora o número de participantes seja menor, trata-se de período crítico da doença, especialmente em relação à estenose da junção crânio-cervical e risco de complicações graves. Mencionou dados observacionais de serviço do SUS indicando frequência relevante de procedimentos de descompressão em crianças pequenas, sugerindo potencial impacto clínico do tratamento precoce. Ressaltou, contudo, que tais observações decorrem de prática clínica e não de ensaios com poder estatístico robusto para esses desfechos. Em relação ao término do tratamento, informou que a decisão é individualizada, considerando variabilidade puberal e idade de fechamento epifisário, que pode ocorrer em momentos distintos entre meninos e meninas. Observou ainda que, na acondroplasia, o padrão de crescimento pode diferir da população geral, inclusive quanto ao tempo de crescimento residual. A colaboradora do NATS-HCPA esclareceu que o escore Z representa medida padronizada de comparação do indivíduo ou grupo em relação à população de referência, não se tratando de comparação intraindividual antes e depois, mas sim da distância em relação ao padrão esperado para a população geral. Destacou que, embora aspectos funcionais e de autonomia relatados sejam relevantes, tais desfechos não estão adequadamente mensurados na literatura disponível, inclusive em estudos de mundo real, configurando lacuna de evidências quanto a esses parâmetros específicos. Representante da SECTIE ressaltou que os desfechos mencionados pelo especialista, embora plausíveis do ponto de vista clínico, não foram mensurados nos ensaios clínicos apresentados, configurando inferências não confirmadas por evidências robustas. Destacou que, na faixa etária de 2 a 4 anos, embora tenham sido observadas diferenças nos escores, os intervalos de confiança incluem valores que cruzam a linha de nulidade, indicando incerteza quanto ao benefício consistente em todos os indivíduos. Questionou ainda se haveria idade máxima para início do tratamento, exemplificando a situação de adolescentes com 17 anos. O especialista esclareceu que, na endocrinologia pediátrica, considera-se que crescimento anual inferior a 2 cm sugere proximidade do encerramento do crescimento linear. Informou que a avaliação da velocidade de crescimento anualizada é utilizada como parâmetro prático para decisão clínica, uma vez que não há biomarcador específico para definir o momento exato de encerramento da resposta terapêutica. De forma geral, indicou que o tratamento tende a ser mantido até aproximadamente 17 a 18 anos em meninos e 15 a 16 anos em meninas, com variações individuais. Representante da Associação Médica Brasileira (AMB) questionou sobre o diagnóstico genético nos casos em que não há histórico familiar da condição, bem como sobre a relação entre morte súbita e estenose do forame magno. O especialista informou que, entre as displasias esqueléticas em nascidos vivos, a acondroplasia é a mais frequente. Relatou que a medicina fetal tem ampliado a detecção pré-natal de alterações estruturais, embora haja limitações e margem de erro diagnóstica. Após o nascimento, o diagnóstico torna-se mais factível por meio de avaliação radiológica especializada e, quando disponível, confirmação molecular. Destacou que a acondroplasia decorre predominantemente de uma variante patogênica específica no gene FGFR3, o que facilita a confirmação laboratorial quando há acesso ao exame. Ressaltou que, embora o acesso ao teste genético ainda enfrente desafios no SUS, houve ampliação da disponibilidade de painéis genéticos nos últimos anos. Na sequência,

representante de Organização da Sociedade Civil (OSC) relatou ser mãe de jovem com acondroplasia que não teve acesso ao tratamento por perda da janela terapêutica. Informou que, em 11/01/2026, foi publicada revisão sistemática com meta-análise na revista científica *Genetics in Medicine*, conduzida por pesquisadores brasileiros, incluindo dados de mundo real de 696 crianças tratadas com vosoritida em dez estudos internacionais. Segundo a representante, os resultados demonstraram aumento médio de 1,82 cm por ano na velocidade de crescimento, melhora no escore de altura após 12 meses, melhora na proporcionalidade corporal e perfil de segurança favorável, sem eventos adversos graves relevantes, com resultados consistentes aos observados em ensaios clínicos. A representante enfatizou que o tratamento possui impacto funcional e não meramente estético, argumentando que a análise não deve se restringir ao custo por centímetro ganho. Apresentou dados observacionais do Instituto Nacional de Nanismo, relatando elevada prevalência de sintomas depressivos e ansiedade em adultos com acondroplasia, além de significativa exclusão do mercado de trabalho. Argumentou que a não incorporação pode implicar custos diretos e indiretos ao sistema de saúde e à previdência social, além de manter a judicialização em curso, informando que atualmente há mais de 450 crianças em tratamento por decisão judicial. Defendeu que a incorporação poderia permitir melhor governança, definição de critérios e negociação de preços, em comparação ao cenário fragmentado decorrente da judicialização. Representante da SECTIE registrou que o Ministério da Saúde formalizou a demanda interna diante do elevado número de judicializações e que, posteriormente, a empresa apresentou demanda externa à Comissão. Reconheceu a relevância clínica da tecnologia e a ausência de alternativas terapêuticas específicas, mas destacou preocupações quanto à robustez das evidências em determinadas faixas etárias e, sobretudo, quanto ao elevado impacto orçamentário, considerando custo anual aproximado de R\$ 1 milhão por paciente. Solicitou esclarecimento à empresa sobre o preço apresentado no dossiê, que indicava desconto de 20% sobre o PMVG sem impostos, questionando se haveria desoneração tributária ou modelo de importação direta. Representante da empresa informou que não há desoneração específica aplicável ao produto, sendo adotado o modelo de importação direta para medicamentos adquiridos de forma centralizada pelo Ministério da Saúde. Confirmou que o desconto proposto corresponde a 20% sobre o PMVG sem impostos, podendo haver variações conforme negociações contratuais e reajustes regulatórios. Aberta a deliberação, representante da SCTIE reiterou a relevância do medicamento para a população-alvo, mas destacou dúvidas quanto à definição da faixa etária mais adequada, especialmente abaixo de 5 anos, diante da menor robustez das evidências. Manifestou preocupação com o elevado impacto orçamentário estimado e com os parâmetros econômicos atualmente disponíveis para tomada de decisão. Assim, nos termos apresentados, a representante da SCTIE proferiu recomendação preliminar desfavorável à incorporação da tecnologia, sinalizando a necessidade de aprofundamento da discussão quanto às evidências por faixa etária e à viabilidade orçamentária, caso se venha a considerar eventual recomendação favorável em momento posterior. Representante da Secretaria de Atenção Especializada à Saúde (SAES) manifestou concordância integral com o voto da SCTIE. Registrou dúvidas quanto

à definição da faixa etária elegível, especialmente diante da divergência entre a indicação em bula (a partir de 6 meses) e a delimitação considerada na análise (a partir de 2 anos), bem como das incertezas relacionadas à robustez das evidências em menores de 5 anos. Destacou, ainda, o elevado valor da tecnologia, considerado impeditivo nas condições apresentadas. Ressaltou que, embora reconheça o potencial benefício clínico, entende ser oportuno aguardar eventuais esclarecimentos adicionais da empresa e possível proposta de desconto. Assim, manifestou voto desfavorável neste momento, sinalizando que, diante de melhores condições de evidência e preço, a incorporação poderá ser reavaliada futuramente. Representante dos NATS acompanhou o voto da SCTIE, ressaltando a importância de oportunizar à fabricante a apresentação de proposta mais vantajosa. Sugeriu, ainda, a possibilidade de análise econômica considerando subgrupo etário com maior robustez de evidências, notadamente a população acima de 5 anos, caso tecnicamente viável, como forma de reduzir incertezas relacionadas à faixa etária. Representante da Agência Nacional de Saúde Suplementar (ANS) acompanhou o voto desfavorável. Representante do Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde (Conasems) realizou breve manifestação antes de proferir seu voto. Destacou a necessidade de redução das incertezas, especialmente quanto à definição da janela terapêutica e da faixa etária mais apropriada, pontos que antecedem, inclusive, a discussão do impacto orçamentário. Ressaltou que é fundamental dispor de cenários bem delimitados — incluindo definição clara da população-alvo, estimativa de preço e impacto financeiro — para subsidiar decisão consistente. Reconheceu a relevância clínica da tecnologia e a necessidade do grupo de pacientes, mas enfatizou que a garantia de acesso deve ocorrer de forma sustentável. Assim, manifestou-se desfavoravelmente neste momento. Representante da AMB destacou que os estudos apresentados enfocaram principalmente o ganho em centímetros e as faixas etárias avaliadas, mas ressaltou a relevância da intervenção precoce, especialmente considerando que a suspeita diagnóstica pode ocorrer ainda no período pré-natal. Observou que não houve aprofundamento quanto ao potencial impacto da tecnologia na redução de procedimentos invasivos, como a descompressão do forame magno, frequentemente indicados em fases precoces da doença. Mencionou que, em outras condições relacionadas ao mesmo gene, intervenções precoces são consideradas fundamentais. Assim, manifestou posicionamento favorável à incorporação a partir dos 6 meses de idade, conforme previsto em bula, ressaltando a importância de contribuições adicionais durante a consulta pública, inclusive quanto ao possível impacto na redução de intervenções cirúrgicas. Representante do Conselho Nacional de Secretários de Saúde (Conass) informou não haver preocupação relevante quanto à qualidade das evidências de eficácia, considerando-as adequadas. Argumentou que a demonstração de benefício em faixas etárias mais tardias pode ser considerada transportável para populações diagnosticadas mais precocemente, inclusive sob a perspectiva ética, uma vez que, após demonstração de benefício, torna-se questionável a randomização de pacientes diagnosticados precocemente. Contudo, destacou que sua principal preocupação reside na relação custo-efetividade e no elevado impacto orçamentário, que, nas condições apresentadas, inviabilizam a incorporação. Assim, manifestou voto desfavorável, condicionado à eventual apresentação de proposta

significativamente mais vantajosa por parte da empresa. Representantes da Secretaria de Vigilância em Saúde e Ambiente (SVSA), Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e Secretaria de Atenção Primária à Saúde (SAPS) acompanharam o voto desfavorável. Representante do Conselho Federal de Medicina (CFM) acompanhou o voto favorável manifestado pela AMB. Representante do Conselho Nacional de Saúde (CNS) ressaltou que os dados disponíveis indicam efetividade clínica relevante e impacto significativo para os pacientes. No entanto, destacou que a discussão central reside na relação custo-efetividade e no preço proposto, cuja formação carece de transparência. Salientou que não se trata de negar o direito de acesso ao tratamento, mas de questionar a compatibilidade do preço apresentado com a realidade orçamentária e social do país. Considerou imprescindível que a empresa apresente proposta de valor mais adequada. Assim, manifestou voto desfavorável nas condições atuais. Representante da Secretaria de Gestão do Trabalho e da Educação na Saúde (SGTES) informou, por meio de mensagem, dificuldade técnica para manifestação por áudio e vídeo, assim seu voto não foi registrado. Ao final, a representante da SECTIE registrou que, diante da maioria dos votos, a recomendação preliminar é desfavorável à incorporação da tecnologia, com encaminhamento para consulta pública, aguardando contribuições e eventuais esclarecimentos adicionais acerca dos pontos levantados, especialmente no que se refere às incertezas por faixa etária e ao impacto orçamentário.

Recomendação final: Os membros do Comitê de Medicamentos, presentes na 148ª Reunião Ordinária da Conitec, realizada no dia 11 de fevereiro de 2026, deliberaram, por maioria simples, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública, com recomendação preliminar desfavorável à incorporação da vosoritida para tratamento da acondroplasia em pacientes a partir de 6 meses de idade e cujas epífises não estão fechadas. A recomendação considerou as incertezas sobre população-alvo e faixa etária (especialmente em <5 anos), dúvidas sobre início e duração do tratamento e critérios de interrupção (relacionados ao fechamento epifisário), além de preocupações com custo-efetividade e impacto orçamentário.

Órgão	Nome	Conflito Declarado
OSC: Instituto Nacional de Nanismo	Juliana Lopes Yamin	Filho possui o diagnóstico da condição de saúde; Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (Instituto Nacional de Nanismo); Participou de congressos, simpósios, palestras, ou demais eventos, referentes ao tema em avaliação, mas sem apoio financeiro da empresa detentora do registro de tecnologia no tema;

		<p>Recebe ou recebeu honorários, para prestação de consultoria ou palestras para empresa detentora do registro da tecnologia no tema (ela e o filho);</p> <p>Recebe ou recebeu apoio financeiro (para curso, viagem, entre outros eventos) de empresa interessada no tema (ela e o filho).</p>
	Marlos Borges Nogueira	<p>Filho possui o diagnóstico da condição de saúde;</p> <p>Participa de associação de pacientes as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (Eu sou vice presidente do Instituto Nacional de Nanismo);</p> <p>Participou de congressos, simpósios, palestras, ou demais eventos, referentes ao tema em avaliação, mas sem apoio financeiro da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (Minha esposa e meu filho);</p> <p>Recebe ou recebeu honorários, para prestação de consultoria ou palestras para empresa detentora do registro da tecnologia no tema (Meu filho e esposa);</p> <p>Recebe ou recebeu apoio financeiro (para curso, viagem, entre outros eventos) de empresa interessada no tema (Meu filho e esposa).</p>

Declaração de Conflitos de Interesse:

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
Luciene Fontes Schluckebier Bonan	SCTIE
Jans Bastos Izidoro	SCTIE
Marcelo Alves Miranda	SE
Patrícia Gonçalves Freire dos Santos	SAES
Guilherme Loureiro Werneck	SVSA
Karina Correa Wengerkievicz	SAPS
Marcos Vinícius Soares Pedrosa	SGTES
Robson Willian de Melo Matos	SEIDIGI
Silvana Nair Leite Contezini	CNS
Walquiria Cristina Batista Alves Barbosa	CNS
Anne Karin da Mota Borges	ANS
Claudiosvam Martins Alves de Sousa	ANVISA
Heber Dobis Bernarde	CONASS
Luis Cláudio Lemos Correia	CONASS
Elton da Silva Chaves	CONASEMS
Maria Cristina Sette de Lima	CONASEMS
Alceu	CFM
Miyuki Goto	AMB
Rachel Riera	NATS
Cristiane Rocha de Oliveira	NATS
Maria Elisa Villas-Boas P. De Lemos	CSDPU

Luciana Holtz de Camargo Barros	OSC: Instituto Oncoguia
Evelin de Moraes Scarelli Terwak	OSC: Instituto Oncoguia
Gloria Gonzalez Lage	OSC: A B H - Associação Brasil Huntington
Gladys Regina Vieira Miranda	OSC: A B H - Associação Brasil Huntington
Rita de Cássia Corrêa	OSC: A B H - Associação Brasil Huntington
Juliana Lopes Yamin	OSC: Instituto Nacional de Nanismo
Marlos Borges Nogueira	OSC: Instituto Nacional de Nanismo

12 de fevereiro de 2026.

Membros do Comitê Presentes: SCTIE, SE, SAES, SVSA, SAPS, SEIDIGI, CNS, ANS, ANVISA, CONASS, CONASEMS, CFM, AMB, NATS, CSDPU, OSC: Associação Pró-Cura da Esclerose Lateral Amiotrófica – ELA.

Ausentes: SESAI e SGTES.

Assinatura da ata da 26ª Reunião Extraordinária da Conitec.

Apreciação das contribuições da doxiciclina comprimido de 100 mg para a profilaxia pós-exposição às infecções sexualmente transmissíveis bacterianas: clamídia e sífilis.

Título do tema: Apreciação das contribuições da doxiciclina comprimido de 100 mg para a profilaxia pós-exposição às infecções sexualmente transmissíveis bacterianas: clamídia e sífilis.

Tecnologia: Doxiciclina.

Indicação: Profilaxia pós-exposição às infecções sexualmente transmissíveis bacterianas: clamídia e sífilis.

Solicitação: Ampliação de uso.

Demandante: Secretaria de Vigilância em Saúde e Ambiente (SVSA) do Ministério da Saúde (MS).

Apresentação: Núcleo de Avaliação de Evidências e Tecnologias em Saúde – NATS CDTS / Fiocruz

ATA: Ao início da discussão da matéria, representante da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde (SCTIE) informou que não houve inscritos para ocupar a cadeira reservada para as Organizações da Sociedade Civil. Informou que na apreciação inicial fora emitida manifestação favorável à ampliação e uso da doxiciclina. Iniciou-se a apreciação do tema pela apresentação da análise qualitativa das contribuições recebidas pela consulta pública e relacionadas à experiência e opinião dos participantes. A apresentação foi conduzida por técnica do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS). A técnica informou que a consulta pública número 104 de 2025 ficou vigente entre 30/12/2025 e 19/01/2026 e foram recebidas 1.043 contribuições, das quais 1.042 foram consideradas válidas. Disse que 99,1% dos participantes se manifestaram favoravelmente à ampliação de uso da doxiciclina e que 21,5% informaram ter tido experiência com a tecnologia. Passou a falar sobre o conteúdo das contribuições nas quais havia relatos de opinião sobre a ampliação de uso da doxiciclina. Falou que os principais aspectos identificados nessas contribuições foram a efetividade da profilaxia pós-exposição com doxiciclina na prevenção e redução dos casos de clamídia e sífilis; a universalização do acesso; o fortalecimento das estratégias de prevenção combinada já utilizadas pelo Ministério da Saúde e a ampliação de alternativas de cuidado, associadas à promoção da saúde sexual, melhora da qualidade de vida e economia de recursos para o Sistema Único de Saúde (SUS), relacionada à redução de custos de tratamento das doenças sexualmente transmissíveis em um cenário de proliferação. Passou a falar sobre os efeitos positivos e facilidades relacionadas ao tratamento com doxiciclina. Nesse sentido elencou os aspectos citados pelos participantes, destacando primeiro a efetividade do tratamento em relação à prevenção da infecção e reinfecção por sífilis e clamídia, contribuindo para o fortalecimento da estratégia de prevenção combinada. Depois citou a boa tolerabilidade do medicamento, a comodidade de uso e posológica e a sensação de proteção durante a relação sexual. Quanto aos efeitos negativos e dificuldades relacionadas ao uso do medicamento, disse que um aspecto citado foi a indisponibilidade no SUS, destacando a dificuldade de acesso ao medicamento e à prescrição médica. Outros pontos destacados foram os eventos adversos leves, a ausência de monitoramento de uso e o risco de resistência aos antibióticos. Disse que não foram citadas experiências com outras tecnologias preventivas. Em seguida iniciou-se a apresentação do NATS sobre as contribuições relacionadas às evidências científicas e econômicas. A técnica iniciou a apresentação fazendo uma pequena revisão sobre as evidências científicas apresentadas no relatório de recomendação. Falou, baseando-se em resultado de metanálise, que a utilização da profilaxia pós-exposição foi associada a uma redução de 79% na incidência de infecção por clamídia e de 77% por sífilis. Falou em seguida sobre a segurança. Disse que de maneira geral foram identificados eventos adversos gastrointestinais moderados, com baixa parcela de descontinuação do tratamento. Disse que os

quatro estudos utilizados para elaborar o relatório foram associados a moderado risco de viés e a certeza da evidência foi considerada moderada para o desfecho de eficácia e alta para o desfecho de segurança. Na sequência passou a falar sobre os resultados da consulta pública. Disse que foram recebidas 21 contribuições que puderam ser aproveitadas para extração do conteúdo. Falou que foram anexados dois documentos, sendo um deles um estudo ainda não publicado que se tratava de um inquérito multicêntrico realizado no Brasil, México e Peru. Explicou que o outro anexo era um relatório de avaliação de tecnologias da Secretaria do Estado de Minas Gerais (SESMG), favorável à recomendação preliminar da Conitec. Passou a ler exemplos de relatos dos contribuintes, destacando a utilidade da ampliação do uso da doxiciclina para prevenção de sífilis e clamídia, dado o alto número de pessoas com a infecção no país. Voltou a falar sobre o estudo não publicado, explicando que se tratava de um inquérito *online* realizado com homens que fazem sexo com homes e mulheres transgênero. Disse que o objetivo do estudo foi avaliar o conhecimento e o interesse dessa população na estratégia de prevenção com doxiciclina. Quanto ao parecer da SESMG, disse que foi relatada preocupação quanto à possibilidade do uso repetitivo da doxiciclina causar pressão seletiva sobre os patógenos não alvo e a microbiota que coloniza a mucosa oral e intestinal, com perspectiva de desenvolvimento de resistência a antimicrobianos. Falou também que foi relatada preocupação com o uso indiscriminado e automedicação com possibilidade de desenvolvimento de resistência microbiana em longo prazo à doxiciclina. Seguiu dizendo que no parecer foi destacada a importância do uso prioritário em populações de maior vulnerabilidade, utilizando critérios de elegibilidade bem definidos. Ao finalizar a apresentação das evidências clínicas, se iniciou a exposição da síntese das contribuições sobre as evidências econômicas. O técnico disse que duas contribuições puderam ser aproveitadas para análise, mas que somente uma delas continha conteúdo científico relevante para a discussão do tema. Explicou que nessa contribuição se alegava que houve um erro na estimativa do número de pacientes elegíveis para receber a profilaxia pós-exposição, já que um dos pressupostos para o cálculo da população foi o número de pacientes que receberam profilaxia pré-exposição para HIV. Explicou que segundo o relato, nem todo paciente que recebe profilaxia pré-exposição para HIV seria elegível para receber profilaxia pós exposição para sífilis e clamídia de forma contínua e que o cálculo teria que se basear no número previsto de exposições pontuais desprotegidas. O técnico disse que as informações utilizadas nos estudos econômicos foram disponibilizadas pela área técnica demandante do Ministério da Saúde. O técnico explicou que a alteração do volume populacional não impactaria o resultado da análise de custo-utilidade, mas somente na análise de impacto orçamentário. Por fim, o técnico mostrou um quadro comparativo entre os dados disponíveis para avaliação na apreciação inicial e na final. Disse que não houve mudanças em termos de novas informações que pudessem alterar as informações já avaliadas na apreciação inicial. Em seguida, representante da SCTIE perguntou sobre a possibilidade de desenvolvimento de resistência microbiana em função do uso continuado da doxiciclina. Um médico especialista representante da Sociedade Brasileira de Infectologia (SBI) respondeu que no mundo, até o momento, não fora identificada resistência de *Treponema pallidum*, causador da sífilis, a tetraciclina. Disse

que a implementação da tecnologia deve ocorrer à luz de vigilância de resistência bacteriana, que deveria abranger avaliação de resistência genotípica, porque esses patógenos não cresceriam em meio de cultura. Explicou que a maior preocupação relacionada à prevenção com doxiciclina seria a resistência a gonococos, que também deverá ser monitorizada na fase de implementação. Em seguida servidor da SVSA disse que quando da implementação das estratégias de prevenção do HIV também houvera preocupação com o crescimento de infecções sexualmente transmissíveis, inclusive hepatite B, mas que atualmente não há evidência do aumento descontrolado na incidência dessas doenças, mas somente casos isolados. Disse que, a identificação de casos isolados seria um sinal de alerta para dar continuidade à estratégia de vigilância, que não poderia ser negligenciada. Em seguida colaboradora da SVSA disse que nos relatórios de recomendação já havia menção ao plano de monitoramento nacional de resistência a antimicrobianos e que esse aspecto fora abordado de forma preliminar durante a primeira avaliação do tema, na reunião de apreciação preliminar. Disse que a SVSA em conjunto com a Coordenação-Geral de Laboratórios de Saúde Pública (CGLAB), para coleta de material, e a rede de hospitais sentinela coordenada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) desenharam um plano de monitoramento de resistência bacteriana relacionada ao uso de doxiciclina. Disse que uma das ações de monitoramento seria a avaliação da microbiota individual de usuários e, do ponto de vista coletivo, do acompanhamento de patógenos que poderiam adquirir resistência, dada a pressão seletiva na comunidade, como as bactérias gram positivas, que poderiam causar, por exemplo, pneumonias hospitalares graves não responsivas a antibacterianos de rotina. Disse, sobre o estudo não publicado comentado anteriormente pelo NATS, que seria possível perceber a intenção de uso da tecnologia pela população estudada de homens que fazem sexo com homens e mulheres transgênero. Explicou que umas das conclusões do estudo foi que a limitação do uso da prevenção com doxiciclina na América-Latina estaria relacionada à falta de diretrizes com orientações sobre o uso correto da estratégia. Sobre a preocupação relacionada à automedicação disse que esse risco poderia ser minimizado porque o programa seria implementado dentro dos serviços que já fazem o atendimento de pacientes que utilizam a estratégia de prevenção de HIV e que, portanto, haveria o devido acompanhamento desses pacientes. Disse também que a intenção do programa é que os pacientes recebam doses máximas semanais, o que também coibiria o uso indiscriminado e que haveria retorno trimestral para o acompanhamento de parâmetros clínicos. Disse que a proposta da SVSA mantém os critérios de elegibilidade e de cobertura populacional restrito às populações avaliadas nos estudos científicos sem ampliação, nesse momento de cobertura para outros segmentos da população. Disse que há dois estudos clínicos com a estratégia de prevenção com doxiciclina que serão realizados no Brasil, no Rio de Janeiro e São Paulo e que esses estudos poderão gerar dados importantes para aperfeiçoar o programa, inclusive em relação à estimativa do número de pacientes elegíveis e gastos previstos com a profilaxia. Falou ainda que a aquisição da doxiciclina será conduzida de forma centralizada pelo Departamento de Assistência Farmacêutica (DAF) do Ministério da Saúde. Na sequência representante da SCTIE sugeriu que a descrição da população elegível na Portaria de incorporação fosse

menos restritiva, já que poderia dificultar, no futuro, uma possível entrada de outros segmentos populacionais que por ventura pudesse passar a ser contemplados pela tecnologia. Disse que a definição da população de forma mais detalhada poderia constar em Protocolo Clínico. Em seguida colaboradora da SVSA disse que a sugestão poderia ser acatada porque as evidências clínicas sobre a estratégia de profilaxia ainda estariam se estruturando para outros segmentos populacionais e que haveria a possibilidade no futuro da inclusão de novos estratos populacionais. Ato contínuo, representante da Associação Médica Brasileira (AMB) expressou concordância com a adoção de denominação mais genérica da população elegível, na Portaria de incorporação e registro de deliberação. Na sequência, representantes da SCTIE e SVSA sugeriram em conjunto que a escrita na Portaria poderia prever a elegibilidade da população de acordo com Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas a serem publicados pelo Ministério da Saúde. Houve concordância dos demais membros com essa nova forma de descrever a população elegível. Sem mais encerrou-se a discussão sobre o tema.

Recomendação final da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 148ª Reunião ordinária da Conitec no dia 12 de fevereiro de 2026 deliberaram por unanimidade recomendar a ampliação de uso da doxiciclina para profilaxia pós-exposição às infecções sexualmente transmissíveis por clamídia e sífilis de acordo com preconizado em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas publicado pelo Ministério da Saúde.

Apreciação inicial do rituximabe, micofenolato de mofetila, azatioprina, metotrexato e ciclofosfamida para o tratamento de manutenção de pacientes com vasculite associada aos ANCA.

Título do tema: Rituximabe, Micofenolato de mofetila, Azatioprina, Metotrexato e Ciclofosfamida para o tratamento de manutenção de pacientes com Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA).

Tecnologia: Rituximabe, Micofenolato de mofetila, Azatioprina, Metotrexato e Ciclofosfamida.

Indicação: Tratamento de Vasculite ANCA-associada na terapia de manutenção.

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde (SCTIE), do processo de atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT).

Apresentação: Realizada pelos representantes do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde da Cochrane Brazil (NATS/Cochrane).

ATA: Inicialmente, a representante da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde (SCTIE) informou que foi realizado o processo de seleção da Organização da Sociedade Civil (OSC), havendo apenas uma inscrição, a qual não atendeu aos requisitos previstos. Ao iniciar a apresentação, a representante do

Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS) declarou não possuir conflito de interesses em relação à matéria. Em seguida, contextualizou-se a vasculite como uma doença inflamatória sistêmica rara, caracterizada pelo acometimento de vasos de pequeno calibre, com inflamação e necrose vascular, associada à presença de anticorpos ANCA. Destacou-se sua etiologia multifatorial e a importância do diagnóstico integrado, baseado na avaliação clínica, na pesquisa de ANCA e em biópsia, com ênfase na identificação precoce para prevenir lesões irreversíveis. Ressaltou-se ainda que a doença apresenta diferentes classificações e manifestações clínicas conforme a extensão do acometimento e o risco de dano orgânico. A incidência estimada varia de 13 a 21 casos por milhão de habitantes na Europa e Oceania, havendo escassez de dados robustos no Brasil. O tratamento é definido de acordo com a gravidade clínica, tanto no diagnóstico quanto nas recidivas. Atualmente, não há medicamento específico incorporado ao SUS para esses pacientes, contudo, na prática clínica, utilizam-se com frequência rituximabe, azatioprina e metotrexato. A pergunta de pesquisa foi estruturada considerando placebo ou observação como comparadores, tendo como desfechos críticos a taxa de recaída e os eventos adversos graves, e como desfechos secundários a taxa de adesão, a qualidade de vida e as infecções graves. Foram incluídos sete ensaios clínicos randomizados (ECRs), nos quais foram avaliados rituximabe, micofenolato, azatioprina, metotrexato e ciclofosfamida, com diferentes comparadores entre os estudos, o que limita a realização de comparações diretas entre as intervenções. A certeza da evidência para o desfecho de taxa de recaída foi considerada moderada para o rituximabe, baixa para azatioprina e ciclofosfamida, e muito baixa para metotrexato e micofenolato, sendo observado efeito consistente apenas para o rituximabe. Em relação aos eventos adversos, nenhum dos medicamentos apresentou efeito consistentemente favorável ou desfavorável. A certeza da evidência variou de baixa para o rituximabe a muito baixa para os demais fármacos. Embora possa haver pouca ou nenhuma diferença quanto à ocorrência de eventos adversos, o reduzido número de eventos nos estudos resultou em intervalos de confiança amplos, gerando incerteza quanto aos efeitos adversos graves. Nas recomendações de agências internacionais, é recomendado o rituximabe para manutenção após indução da remissão com rituximabe ou ciclofosfamida, com azatioprina ou metotrexato como alternativas. Como considerações finas, a certeza da evidência foi moderada para o rituximabe que provavelmente reduz taxa de recaídas quando comparada ao placebo. Com relação à adesão e qualidade de vida, teve pouca ou nenhuma diferença entre os grupos. Quanto à segurança, observou-se pouca ou nenhuma diferença em infecções e eventos adversos graves, com evidência incerta. Na sequência da apresentação, a representante do NATS apresentou a análise de custo-efetividade com o rituximabe, azatioprina ou metotrexato como intervenção e comparador observacional (sem intervenção ativa). Adotou-se horizonte de 10 anos, taxa de desconto de 5% ao ano, perspectiva de custos médicos diretos (medicamentos, exames e internações), modelo de árvore de decisão e análise probabilística multivariada, considerando recaída e ocorrência de eventos adversos. Os custos dos medicamentos foram estimados com base no Banco de Preços em Saúde (BPS) e pela via CMED (PMVG). Assim, estimou-se o custo de tratamento mensal e anual, considerando o BPS, o custo de 5 frascos do

rituximabe é de R\$7.247,50. Considerando o preço PMGV, o custo de 5 frascos do rituximabe é de R\$9.050,35. Respectivamente, para azatioprina o custo mensal via BPS é de R\$72,00 mensal e R\$ 876,00 anual, via PMVG é de R\$234,00 mensal e R\$ 2.808,00 anual. Para o metotrexato, via BPS é de R\$5.735,44 em 212 frascos, e via PMVG é de R\$10.364,68 em 212 frascos. Nos resultados da ACE, o rituximabe apresentou maior custo incremental, porém também maior efetividade em recaídas e eventos adversos evitados, com resultados robustos nas análises de sensibilidade. As principais limitações foram a impossibilidade de uso de modelo de Markov por falta de probabilidades de transição e a escassez de dados de longo prazo, exigindo extrapolações entre tecnologias. Na análise de impacto orçamentário, a população elegível foi projetada a partir de estimativas epidemiológicas associadas à opinião de especialistas. Foram simulados dois cenários de incorporação: um conservador (50% a 90%) e outro mais agressivo (50% a 100%). No cenário conservador, o impacto incremental variou de R\$ 20.856.507 no primeiro ano a R\$ 36.122.903 no quinto, com total acumulado de R\$ 142.199.390 em cinco anos. No cenário agressivo, variou de R\$ 39.283.224 a R\$ 38.504.526, com acumulado de R\$ 166.764.571. As principais limitações referem-se à ausência de dados epidemiológicos nacionais específicos para ANCA, ao uso de estimativas indiretas e à definição de market share baseada na prática clínica e em opinião de especialistas. Como considerações finais, a síntese dos resultados demonstra que o rituximabe apresenta maior efetividade clínica em comparação ao manejo atual e placebo, com redução de eventos adversos e recaídas evitadas. No entanto, os valores de RCEI são elevados para ambos. A azatioprina e o metotrexato foram dominados por serem menos efetivos e mais caros que o comparador (manejo atual/placebo). Em seguida, foi apresentado o monitoramento do horizonte tecnológico (MHT), no qual foram identificadas três tecnologias, o avacopana em fase 3 com registro sanitário na Anvisa, FDA e EMA, e duas tecnologias em fases 1 e 2 de estudos clínicos. Na sequência, apresentou-se a perspectiva do paciente, no âmbito da Chamada Pública nº 55/2025, aberta no período de 06 a 16 de junho de 2025, com busca ativa após ausência de inscrições. O participante, portador de granulomatose com poliangiite (GPA), relatou início dos sintomas em 2017, inicialmente confundidos com artrite reumatoide, com uso de metotrexato e biológico, porém com recorrência da inflamação ao retirar o corticoide. Após o exame ANCA positivo e progressão clínica, incluindo lesão pulmonar, confirmou-se o diagnóstico de GPA. Foi orientado a escolher entre duas opções de tratamento, ciclofosfamida e rituximabe, optando por este último devido à maior eficácia e menor risco de efeitos colaterais, sobretudo em relação à fertilidade, relatando também que após processo administrativo, o medicamento foi obtido através de judicialização. Após indução e manutenção com rituximabe, apresentou recaída, sendo associada azatioprina ao tratamento, em uso há três anos, com boa resposta e vida funcional preservada, embora o medicamento não esteja disponível no SUS para manutenção e seja adquirido pelo próprio paciente. A representante da Associação Médica Brasileira (AMB) questionou o paciente sobre sua jornada até acessar um serviço de referência. O paciente informou que é acompanhado por equipe experiente no manejo da doença e que o exame ANCA foi solicitado por um oftalmologista devido a uma inflamação ocular persistente. Relatou ainda dificuldades no diagnóstico precoce

e acesso a exames, realizados inicialmente na rede privada após encaminhamento oftalmológico, destacando que o exame de ANCA não é um exame de rotina. A representante da SCTIE destacou que não há tratamento disponível no SUS e que os estudos incluídos não apresentam comparações diretas com placebo, exceto para o rituximabe. O NATS esclareceu que apenas o rituximabe foi comparado ao placebo, enquanto os demais estudos compararam as terapias entre si, sendo o único com evidência consistente de eficácia clínica. Na avaliação econômica, azatioprina e metotrexato também foram considerados, embora a azatioprina tenha sido dominada no modelo, em razão da inclusão de custos adicionais de manejo (consultas e exames) no comparador. Questionou-se ainda o uso off label das terapias, sendo o rituximabe o único com indicação formal para vasculite ANCA. O especialista convidado contextualizou que, historicamente, o tratamento era baseado na ciclofosfamida, associada a maior toxicidade; posteriormente, ECRs demonstraram eficácia semelhante de azatioprina e metotrexato na prevenção de recidivas, justificando sua inclusão como alternativas menos tóxicas, sobretudo para pacientes intolerantes ao rituximabe. Contudo, o rituximabe mostrou superioridade clínica e passou a ser recomendado para indução e manutenção. Quanto ao micofenolato, evidências indicam menor eficácia que a azatioprina, apesar de menor toxicidade. Associações terapêuticas não foram formalmente testadas em ECRs, mas podem ser utilizadas em recidivas, dada a alta taxa de recorrência e risco de novos acometimentos orgânicos. Em termos práticos, considera-se razoável que o rituximabe seja a primeira escolha, com associação a outros imunossupressores em casos de recidiva, embora parte das evidências históricas seja limitada e baseada em estudos com maior risco de viés, baseada em evidências pouco robustas. Uma das representantes do Conselho Nacional de Saúde (CNS) destacou que, na prática, pacientes raramente permanecem sem acesso a tratamento após a alta hospitalar. Argumentou que a discussão sobre uso off label, nesse contexto, deve considerar a escassez de evidências robustas e ECRs, reconhecendo que essas terapias já são utilizadas na prática clínica. Assim, a eventual incorporação ampliaria as opções terapêuticas disponíveis ao especialista e atenderia a uma necessidade assistencial ainda não contemplada. Um dos representantes da SCTIE discutiu a necessidade de definir protocolos de uso e estratégias de distribuição do rituximabe, considerando sua provável adoção como primeira linha e a importância de prever alternativas terapêuticas. A representante da AMB questionou o caso do paciente apresentado, destacando a resposta parcial ao corticoide e a evolução tardia para quadro mais grave. O especialista explicou que, por se tratar de doença rara, muitos profissionais não reconhecem inicialmente as formas mais agressivas, resultando em atraso diagnóstico. Ressaltou ainda dificuldades de acesso, como a espera por vagas para infusão do rituximabe, o que é crítico em doenças graves e raras sem alternativas terapêuticas. Foi discutido ainda o uso off label de medicamentos. O representante da Anvisa abordou que não há barreira regulatória significativa, mas sim comercial, pois a inclusão de nova indicação depende do interesse do fabricante em investir em estudos, considerando a limitada proteção de patentes e mercado e o risco de entrada de genéricos, o que desestimula a atualização formal da indicação no Brasil. Reiterou-se que o uso off label não impede a avaliação, porém destacou-se a necessidade de oferecer opções terapêuticas

confiáveis aos pacientes, considerando que azatioprina e metotrexato podem proporcionar benefício clínico mínimo, sobretudo em cenários distintos. A representante da CGPCDT justificou a consideração de associações terapêuticas para pacientes com falha ou intolerância ao rituximabe, além das limitações de acesso à infusão. Por outro lado, o representante do CNS manifestou-se sobre o uso off label, argumentando que o Estado não deveria recomendar medicamentos sem indicação formal em bula, ressaltando ainda preocupações regulatórias, a necessidade de evidências robustas, a complexidade dos dossiês e as responsabilidades relacionadas à farmacovigilância. A representante da SCTIE destacou que a compra do rituximabe é centralizada, permitindo redução de custos. Em sua avaliação, manifestou-se favorável à recomendação do rituximabe, inclusive em uso off label, mas levantou dúvidas quanto à manutenção das associações terapêuticas no PCDT, questionando se seria mais adequado escolher apenas uma alternativa ou manter todas as opções. Ressaltou que esses medicamentos continuarão sendo adquiridos devido a outras indicações já existentes. Assim, considerou o rituximabe como primeira escolha para manutenção, permanecendo a incerteza sobre a inclusão das demais terapias. Ainda sobre o uso off label, destacou-se na reunião que, conforme a legislação e portarias que regulamentam a CONITEC, o uso pode ser ponderado quando houver evidência disponível, uso consagrado ou recomendação em diretrizes, ainda que a atualização formal em bula dependa de estudos submetidos à agência regulatória. O representante do Conselho Nacional de Secretários de Saúde (CONASS) sintetizou que muitas evidências disponíveis são indiretas e com elevada incerteza, reforçando a necessidade de considerar a eficiência para o sistema de saúde. Nesse contexto, os dados favorecem o rituximabe, inclusive sob a perspectiva econômica, ressaltando que o desfecho utilizado foi remissão (ICER por remissão) e não QALY. A representante do Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde (CONASEMS) retomou a discussão sobre uso *off label*, destacando que o tema já está regulamentado por decreto, mas historicamente gerou controvérsias relevantes entre instituições e atores envolvidos. O representante da Anvisa complementou que o decreto mencionado tratou especificamente do uso *off label* de imunossuppressores para diferentes indicações, havendo este tipo de discussão quando necessário. A representante do NATS destacou a imprecisão das estimativas de taxa de recaída, sugerindo a análise da diferença absoluta como forma mais tangível de interpretação. Observou que, em magnitude de efeito, a azatioprina apresentou resultado semelhante ao rituximabe quando comparada ao placebo, embora penalizada pela imprecisão e ampla variação dos intervalos, indicando incerteza, mas presença de efeito. Questionada sobre a certeza da evidência, foi esclarecido que é baixa; contudo, por se tratar de desfecho de recaída, a ausência de cegamento teria menor impacto, e a qualidade foi avaliada a partir dos estudos primários. Na reunião, discutiu-se a possibilidade de recomendação fracionada entre tecnologias. A representante da Associação Médica Brasileira questionou a revisão do PCDT, em julho de 2025 e o motivo da inclusão desses outros medicamentos além do rituximabe. A representante da CGPCDT explicou que o rituximabe foi inicialmente demandado para indução da remissão, mas, durante o escopo do PCDT, especialistas identificaram lacunas na fase de manutenção e o risco de recidivas, já que não havia tratamento

definido para essa etapa. Assim, decidiu-se avaliar conjuntamente outras opções terapêuticas para manutenção e ampliar alternativas também para indução, considerando que, até então, não havia tratamento estabelecido para manutenção da doença. A representante da SCTIE manifestou-se favorável ao rituximabe, devido às evidências de eficácia e ao preço mais acessível no mercado, reconhecendo o alto custo incremental e o horizonte temporal longo, mas sem desconsiderar o benefício clínico para os pacientes, especialmente na manutenção da doença. Destacou a necessidade de ofertar tratamento, porém manteve dúvida quanto à inclusão de outros medicamentos, diante das incertezas de evidência. Avaliou que a permanência dessas opções no PCDT não aumentaria a carga administrativa ou de aquisição, mas que o rituximabe deveria ser a principal opção de manutenção, admitindo a azatioprina como alternativa em casos de impossibilidade de uso. O representante do CNS acompanhou o voto favorável da SCTIE, considerando as ponderações sobre o uso *off label*. A representante AMB seguiu o posicionamento da SCTIE destacando que especialistas clínicos poderão contribuir, especialmente em consulta pública, quanto ao papel do micofenolato e do metotrexato como opções adicionais no arsenal terapêutico. A representante do NATS no Comitê manifestou-se de forma desfavorável, aguardando que a consulta pública possa reduzir as incertezas econômicas relacionadas ao rituximabe. Destacou que variações contratuais de preço impactam significativamente o resultado do modelo. Questionou-se a consideração de doses maiores em casos de recaída, bem como a frequência de recaídas e o tempo de remissão. O NATS esclareceu que o modelo incluiu a dose de manutenção e uma dose aumentada para uma única recaída, sem contemplar recaídas subsequentes, além de custos associados à troca ou escalonamento terapêutico ao longo do horizonte temporal. Informou ainda que foram utilizados dados de efetividade e taxas de remissão, mas não houve modelagem do tempo prolongado de remissão por ausência de dados robustos, o que levou à simplificação do modelo. Ponderou-se que essa abordagem pode superestimar o custo do rituximabe ao não considerar períodos mais longos de remissão, sugerindo ajustes futuros e possível incorporação de novas evidências provenientes da consulta pública. Um representante da SCTIE acrescentou que já existe um algoritmo de compensação do medicamento e que os custos relacionados à descompensação foram considerados para todas as tecnologias avaliadas. O representante do CONASS também se posicionou de forma desfavorável quanto às associações terapêuticas e à avaliação econômica apresentada. Destacou-se a necessidade de revisar parâmetros relacionados ao preço, tempo de remissão, padrão de uso do rituximabe na manutenção e consumo de recursos, incorporando novos dados para reduzir as incertezas do modelo. Ao final, os demais membros manifestaram-se favoráveis à incorporação do rituximabe e da azatioprina, conforme a posição da SCTIE, condicionada aos ajustes propostos.

Recomendação preliminar da Conitec: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 148ª Reunião Ordinária da Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde), realizada no dia 12 de fevereiro de 2026, deliberaram, por maioria simples, recomendar a incorporação do

rituximabe e azatioprina para o tratamento de manutenção de pacientes com vasculite associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA).

Apreciação inicial da ciclofosfamida oral para o tratamento de indução de remissão em pacientes com Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA).

Título do tema: Ciclofosfamida oral para o tratamento de indução de remissão em pacientes com Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA).

Tecnologia: Ciclosfamida.

Indicação: pacientes com Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA).

Solicitação: Incorporação

Demandante: BAXTER HOSPITALAR LTDA

ATA: Reunidos aos 12 dias do mês de fevereiro para a 148ª reunião do Comitê de medicamentos Inicialmente, a representante da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde - SCTIE/MS iniciou justificando a ausência do representante da sociedade civil uma vez que nenhum candidato atendia os requisitos e sendo a demanda atualização do PCDT. A apresentação teve início com a representante do NATS/Cochrane que rapidamente fez um panorama da problemática e apresentou o fluxo de tratamento de indução. A pergunta norteadora foi se a ciclofosfamida administrada por via oral é eficaz e segura quando comparada à ciclofosfamida intravenosa (IV) e corticoides intravenosos para o tratamento de indução em pacientes com vasculite ANCA-associada (VAA)? Assim a comparação entre as formulações oral e IV da ciclofosfamida para indução de remissão em pacientes com VAA indica eficácia semelhante no curto prazo. A evidência disponível não demonstra diferença clinicamente relevante na taxa de remissão completa entre as duas vias de administração. Há incertezas importantes em desfechos como mortalidade, eventos adversos graves, remissão parcial e adesão ao tratamento, devido à baixa ou muito baixa certeza das evidências. Alguns estudos sugerem uma possível redução na taxa de recaída com a formulação oral, mas esse achado é considerado incerto e não se traduz, até o momento, em um benefício clínico comprovado. Na prática clínica, o uso da ciclofosfamida oral tem sido restrito, geralmente reservado a situações específicas, como indisponibilidade do acesso venoso ou necessidade de administração enteral. Na apresentação sobre a avaliação econômica entendeu-se que dada a equivalência clínica entre as formulações, foi adotada uma análise de custo-minimização. A análise de custo-minimização demonstra que o uso da ciclofosfamida IV, no regime padrão de indução da remissão da VAA, resulta em um custo anual por paciente de R\$ 1.044,00 para a formulação oral. E no modelo de impacto orçamentário foram modelados dois cenários prospectivos com horizonte de cinco anos. No cenário base, considerando 2% de uso da formulação oral, o impacto orçamentário incremental acumulado foi estimado em R\$ 82.256,70. No cenário de sensibilidade, com

distribuição de 5%, o impacto acumulado foi de R\$ 205.641,74. Em ambos os casos, as variações anuais de impacto foram modestas, refletindo a substituição parcial da formulação intravenosa pela oral. O modelo mostrou sensibilidade ao custo da forma oral e endovenosa do medicamento, corroborou com os resultados. Na apresentação sobre as recomendações internacionais foi verificado que a ciclofosfamida oral é uma alternativa no tratamento de indução, quando não há contraindicações, pelo NICE e SMC, mas não como terapia definitiva. Ambas as agências internacionais de ATS relatam a importância de atentar para a dosagem, pois doses cumulativas aumentam o risco de ocorrência de eventos adversos. Na sequência a técnica do DGITS passou a apresentar o Monitoramento do horizonte tecnológico, no qual foram identificadas cinco tecnologias no horizonte para compor o esquema terapêutico do tratamento de indução de remissão em pacientes com Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA). São elas: Rapcabtagene Autoleucel e KYV-101 (terapias avançadas), Avacopana e Vilobelimab (inibidor do receptor C5a do complemento) e Obinutuzumabe (anticorpo monoclonal). Apenas o Avacopana tem registro para a condição na Anvisa (2024), EMA (2022) e FDA (2021). No NICE o Avacopana foi recomendado em 2022 e no CDA teve recomendação desfavorável em 2023. Assim outra técnica do DGITS passou a apresentar a perspectiva do paciente, onde foi aberta a chamada pública 54 de 2025, onde houve apenas uma inscrita na chamada que não atendia os requisitos, assim por meio de uma busca ativa foi identificada outra participante. Dada a palavra e após divulgar não ter conflito de interesses, passou a explicar sua trajetória com o agravo e os tratamentos que foram realizados. Relatou que com o rituximabe o evento adverso foi grande depois de um período de uso, restando apenas o tratamento com a ciclofosfamida, sugerindo que o uso oral melhorava a autoestima e os resultados estavam bem promissores, relata também que o uso endovenoso as vezes não permitia que tivesse uma melhor qualidade de vida, vida social e familiar. Em seu depoimento ressaltou a importância do uso do medicamento e a facilidade de uso na tecnologia oral. Questionada sobre o acesso ao medicamento, respondeu que o medicamento era bem acessível em farmácias. Após a fala da paciente, o especialista médico narrou a história do uso do medicamento de forma oral e mostrou o protocolo na prática sendo o tratamento endovenoso mais utilizado dada a toxicidade da oral. A representante do Conselho Nacional de Secretarias Municipais de Saúde – CONASEMS solicitou ao especialista uma explicação sobre a relação de dose cumulativa geral e a opinião sobre ser 25 mg de dose. O especialista responde que de 25 a 30 mg aumentaria o risco de neoplasia da bexiga e acima disso outras neoplasias, também aumenta o risco de pneumocistídeo e também infertilidade em casos de baixas doses. Ainda foi questionado sobre faixas etárias com tratamento, sendo respondido que atualmente a faixa seria de 30 anos, mas no passado populações mais jovens teriam feito uso. O representante do Conselho Nacional de Secretários de Saúde – CONASS sugeriu ser mais uma opção, e com análise de comparação mostrando a eficácia e tendo assim votado favorável. Colocado em votação, a submissão recebe voto de maioria absoluta de maneira favorável, sendo o principal argumento a possibilidade de mais um tratamento para a prática clínica.

Recomendação Preliminar: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 148ª Reunião Ordinária da Conitec (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde), realizada no dia 12 de fevereiro de 2026, deliberaram, por unanimidade, recomendar FAVORAVELMENTE para a Consulta Pública sobre a incorporação da ciclofosfamida oral para o tratamento de indução de remissão em pacientes com Vasculite Associada aos Anticorpos Anti-citoplasma de Neutrófilos (ANCA)

Apreciação inicial do edaravona para o tratamento de pacientes adultos com Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA).

Título do Tema: edaravona para o tratamento de pacientes adultos com Esclerose Lateral Amiotrófica (ELA).

Tecnologia: Edaravona solução injetável, 30 mg/20 mL.

Indicação: Tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, e duração da doença ≤ 2 anos (*early stage*).

Solicitação: Incorporação.

Demandante: Daiichi Sankyo Brasil Farmacêutica Ltda.

Apresentação: Colaboradores do Centro Colaborador do SUS para Avaliação de Tecnologias e Excelência em Saúde da Universidade Federal de Minas Gerais (CCATES/UFMG) e do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde da Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde do Ministério da Saúde (DGITS/SCTIE/MS).

ATA "Este texto foi elaborado com auxílio de inteligência artificial": A presidente do Comitê de Medicamentos da Conitec informou que o representante da associação selecionada como Organização da Sociedade Civil declarou que a entidade já recebeu patrocínio financeiro da empresa responsável pela tecnologia em avaliação, configurando conflito de interesse de natureza financeira, que, em razão disso, o representante poderia participar das discussões da reunião, porém estaria impedido de participar da votação e que representantes da empresa demandante acompanhariam a Reunião, mas se manifestariam somente quando solicitado pelo Comitê. A colaboradora do CCATES fez uma contextualização clínica da ELA, descrita como uma condição neurodegenerativa caracterizada por perda progressiva de força muscular, declínio motor e insuficiência respiratória, com incidência global estimada entre 0,6 e 3,8 casos por 100.000 habitantes ao ano e início dos sintomas entre 51 e 66 anos de idade; explicou os principais mecanismos fisiopatológicos da doença, destacando a disfunção mitocondrial, o estresse oxidativo e os processos inflamatórios neuronais, bem como o mecanismo de ação do edaravona, que atua como antioxidante neutralizando espécies reativas de oxigênio e modulando vias celulares relacionadas à inflamação e ao estresse oxidativo; destacou que o diagnóstico clínico da ELA é pautado nos critérios *El Escorial* e em evidências eletrofisiológicas de dano axonal difuso, podendo ser classificada como definitiva, provável,

provável com suporte laboratorial, possível e suspeita, e que as principais escalas utilizadas para monitoramento clínico da condição são a ALSFRS-R, o estadiamento de King e a escala japonesa de gravidade da doença, que permitem classificar o comprometimento motor, identificar a progressão e definir a gravidade da ELA em diferentes domínios funcionais; ressaltou que o demandante propôs avaliar o edaravona em monoterapia ou em combinação com o tratamento padrão, incluindo o uso do riluzol, verificando eficácia, efetividade e segurança em pacientes adultos com ELA graus 1 ou 2 segundo a escala japonesa e duração da doença menor ou igual a 2 anos, comparando com placebo com ou sem riluzol; fez saber que as evidências clínicas incluídas no dossiê do demandante consideraram um ensaio clínico e dois estudos observacionais, mas estes últimos foram excluídos na análise crítica por incluírem pacientes dos graus 3, 4 ou 5, que a análise crítica do dossiê ampliou os critérios de busca e identificou oito estudos, sendo um ensaio clínico randomizado, cinco análises *post hoc* e dois estudos de mundo real, que o edaravona demonstrou menor declínio funcional em 24 semanas e algum benefício respiratório no ensaio clínico, embora sem significância estatística, que os estudos de extensão, em 48 semanas, indicaram maior preservação funcional e respiratória quando o medicamento fora iniciado precocemente, que não houve registros de mortes no período de 24 semanas e houve menor perda de qualidade de vida no grupo tratado no ensaio clínico, que a sobrevida e a funcionalidade foram melhores, com significância estatística, nos estudos de extensão de 48 semanas, que não houve diferenças significativas em funcionalidade, função respiratória ou sobrevida, embora tenha sido observada perda de qualidade de vida em 24 e 48 semanas, nos estudos de mundo real, que o ensaio clínico não reportou eventos adversos graves, sendo a disfagia o principal evento em ambos os grupos comparadores, que os estudos *post hoc* não mostraram diferenças relevantes entre grupos quanto à segurança e que um estudo relatou redução de eventos compostos, como morte, traqueostomia, ventilação permanente e hospitalização, e que outro estudo observacional relatou 1,8% de síndrome nefrótica e 1,2% de trombose venosa profunda, que a análise de risco de viés classificou o ensaio clínico e o *post hoc* do estudo MC18616 com algumas preocupações, os *post hoc* do estudo MC18619 como alto risco, por se tratar de ensaio clínico aberto, e os estudos observacionais como alto risco de viés e que a certeza da evidência, avaliada pelo método GRADE, variou entre moderada e alta, dependendo do desfecho analisado. O colaborador do CCATES enfatizou que a avaliação econômica (Ave) proposta pelo demandante apresentou um modelo de custo-utilidade por meio de um modelo de Markov que comparou a combinação do edaravona com o tratamento padrão, incluindo riluzol, frente ao tratamento padrão, incluindo riluzol, que a população incluída foi de adultos com ELA graus 1 ou 2 e duração da doença de até dois anos, que foram considerados, dentre outros, custos de aquisição do medicamento, com base na proposta de preço do demandante para o edaravona de R\$ 223,19, que é o valor do PMVG 18%, com custo mensal de tratamento de R\$ 3.124,66 no primeiro mês e R\$ 2.231,90 à partir do segundo mês, e parâmetros de transição entre os estágios da doença de menor a maior gravidade, com base em estudos prévios, incluindo os ajustes de *hazard ratio* (HR) = 0,665 de progressão, 27% de redução de risco de morte com o uso do edaravona e 1,4% de descontinuação de uso

do medicamento, que o resultado principal indicou um custo incremental de R\$ 40.739,44 e um QALY incremental de 0,701, refletindo uma razão de custo-utilidade incremental (RCUI) de R\$ 58.121,93, e que cenários adicionais foram modelados alterando diferentes parâmetros, apresentado valores próximo ao resultado principal ou maiores, estes quando desconsideraram a redução de risco de morte; enfatizou que a análise de impacto orçamentário (AIO) proposta pelo demandante se baseou na AvE e envolveu cinco coortes sucessivas, com uma população prevalente de 900 pacientes em 2026, uma população incidente de cerca de 860 pacientes por ano de 2027 a 2030 e um *market share* de 30% a 70% entre os cinco anos, com pacientes elegíveis variando de 270 a 608, resultando em um valor incremental com a incorporação do edaravona frente ao tratamento padrão que variou entre aproximadamente R\$ 5,5 milhões no primeiro ano e R\$ 21,3 milhões no quinto ano, totalizando cerca de R\$ 67,8 milhões em cinco anos, que as limitações observadas na AvE, como o ajuste fixo de progressão e a redução fixa de risco de morte com o uso do edaravona e a descontinuação do medicamento sem possibilidades de conferência deste parâmetro, também se aplicam à AIO; ressaltou que, atendendo à solicitação do DGITS, considerando somente o custo com a aquisição do edaravona, foram apresentadas estimativas de custos incluindo apenas a progressão da doença, com valores entre cerca de R\$ 7,5 milhões no primeiro ano e R\$ 31,8 milhões no quinto ano e, em outro cenário, considerando a progressão associada à taxa de descontinuação, com valores variando entre cerca de R\$ 7,5 milhões e R\$ 29,1 milhões ao longo de cinco anos, ainda sob elevado grau de incerteza, e relatou que o CDA do Canadá e a agência australiana de avaliação de tecnologias em saúde (ATS) recomendaram o uso da edaravona sob critérios semelhantes aos propostos nesta submissão condicionando sua adoção à redução de preço, que o NICE, do Reino Unido, ainda não concluiu sua avaliação de efetividade e impacto orçamentário, não havendo recomendação para o edaravona. A colaboradora do DGITS disse que foram identificadas duas tecnologias ainda em fase de pesquisa clínica, sem registro em agências internacionais e sem recomendações por agências de ATS no monitoramento do horizonte tecnológico, o CNM-Au8 e o VHB-937, e que também foram mencionadas três tecnologias adicionais que não especificavam o estágio inicial da ELA, incluindo uma terapia gênica com estudos já finalizados e resultados publicados, o AMT-162, o donaperminogene seltoplasmid e o tanruprubart. Na perspectiva do paciente, a representante relatou, com o auxílio do marido, que foi diagnosticada com ELA em 2017, após cerca de um ano e meio de sintomas, que o processo de diagnóstico foi difícil, com problemas de fala e deglutição, que ao iniciar o tratamento com riluzol apresentou reações alérgicas graves já nos primeiros comprimidos, precisando interromper o uso, que, sem alternativas terapêuticas no Brasil, a sua médica indicou a importação do edaravona, que gastou suas economias e iniciou o tratamento em 2018, inicialmente com dificuldades de acesso venoso, depois com uso de cateter implantado, que seu plano de saúde não cobria o medicamento, apenas as infusões, que durante três anos a paciente manteve o tratamento pagando do próprio bolso, enfrentando rotina desgastante no hospital, que posteriormente passou a realizar infusões em pronto atendimento, o que melhorou sua qualidade de vida, embora o custo continuasse impactando financeiramente sua família, que quando seu plano de saúde foi

alterado, o novo convênio recusou-se a pagar as infusões, gerando grande desgaste emocional, que a família precisou pagar infusões particulares até conseguir uma liminar judicial garantindo cobertura do tratamento, que atualmente faz infusões em um centro próximo de casa, que, após iniciar o edaravona, sua doença passou a evoluir mais lentamente, que após quase oito anos de uso, ainda consegue falar, alimentar-se sozinha, não usa suporte respiratório nem procedimentos invasivos, que desde a reação ao riluzol, desenvolveu tendência a alergias a outros medicamentos, e conclui destacando o sofrimento físico, emocional e financeiro que enfrentou para conseguir acesso ao tratamento. Questionada, a paciente mencionou que quando combina o edaravona com outros medicamentos o seu corpo pode reagir com alergias, por isso precisa monitorar rigorosamente o uso de outros medicamentos, que, atualmente, utiliza regularmente somente o edaravona, que não faz uso de outros remédios, nem mesmo analgésicos, especialmente durante os períodos de infusão do edaravona, que, fora esses períodos de infusão, consegue tomar outro medicamento ocasionalmente, mas sempre em pequenas quantidades para evitar reações, que teve pouco contato com outras pessoas com ELA, devido à raridade da doença, que, no hospital onde se tratava, conheceu dois pacientes, onde o primeiro faleceu em menos de um ano após o diagnóstico, mesmo iniciando o tratamento rapidamente, e o segundo, com quem ela desenvolveu uma boa relação, também faleceu, que suas experiências de convivência com outros pacientes foram breves, limitadas a alguns meses, já que ambos vieram a óbito pouco tempo depois, que não está fazendo fisioterapia, embora saiba que seria importante e que sua médica já a alertou que a doença pode progredir mais rapidamente sem esse cuidado, que tentou fazer fisioterapia, mas ficava muito irritada e decidiu priorizar seu bem-estar psicológico, que atualmente está com 43 anos, sendo diagnosticada com 34 anos, que não possui acompanhamento de outros profissionais além da neurologista, apesar de reconhecer que não é o ideal, que consegue falar e alimentar sozinha, mantendo uma dieta normal, que não anda sem apoio, mas consegue se locomover dentro de casa com ajuda, que iniciou o tratamento no grau 2 da doença e atualmente está no grau 3, considerando as escalas apresentadas, que, ao longo de oito anos de uso do medicamento, a evolução da doença tem sido muito lenta, que as mudanças só são percebidas após longos períodos, indicando progressão reduzida e uma transição gradual do grau 2 para o grau 3, e que realizou um teste genético para ELA por volta de 2021 a 2022, analisando um painel com 42 genes conhecidos associados à doença, mas que o exame não identificou nenhuma mutação nesses genes. Questionado, o médico especialista convidado pelo DGITS, afirmou que possui cerca de 30 anos de experiência em doenças neuromusculares, que a ELA é uma enfermidade progressiva que compromete de forma contínua funções motoras, como movimento, fala, deglutição e respiração, impactando profundamente a qualidade de vida, que existem poucos medicamentos capazes de alterar de forma significativa o curso da doença, que qualquer tratamento que ofereça algum atraso na progressão já é considerado bem-vindo, que tem acompanhado alguns pacientes que usaram edaravona mesmo antes de sua aprovação no Brasil, importando o medicamento do Japão, que um desses pacientes relatou perceber uma evolução mais lenta da doença, mas essa percepção é difícil de confirmar clinicamente, já que os efeitos dos medicamentos disponíveis costumam

ser sutis, que, por isso, o seu relato se baseia principalmente nos estudos científicos, que apontam algum benefício em funções importantes como respiração, deglutição, mobilidade e fala, que um dos maiores desafios do tratamento com edaravona é na parte prática, pois trata-se de uma tecnologia que exige muitas infusões, 14 no primeiro mês e 10 nos meses seguintes, representando um grande obstáculo logístico para os pacientes. Questionado, o colaborador do CCATES explica que o HR de 0,665 utilizado no modelo está relacionado à progressão da doença, que a evolução mais rápida dos pacientes entre os graus da ELA tende a reduzir o período em que permanecem elegíveis ao uso do medicamento, limitado aos graus 1 e 2, e a aumentar os custos, pois os pacientes passam a necessitar de cuidados mais complexos, como tratamento de suporte, cadeira de rodas e ventilação não invasiva, sendo difícil prever com exatidão o impacto final dessa variação no RCUI. Questionado, o médico especialista convidado pelo DGITS relatou que acompanha atualmente uma paciente em uso do medicamento e também um médico oftalmologista diagnosticado há pouco mais de um ano que está fazendo uso da terapia e que, no passado, acompanhou quatro outros pacientes, sendo que dois deles estavam dentro dos estágios recomendados pelas diretrizes internacionais para uso do medicamento, enquanto os outros dois não estavam, mas ainda assim optaram por utilizar o medicamento, que não existe uma escala que avalie a estagnação definida na progressão e que a ideia de estagnação pode colocar em dúvida o próprio diagnóstico. Questionado, o médico especialista convidado pela AMB argumentou que as evidências científicas disponíveis ainda são insuficientes, que os estudos existentes incluem análises *post hoc* de subgrupos específicos, um estudo de fase 3 que não alcançou seus objetivos e um estudo de vida real com muitos vieses, exigindo cautela na interpretação dos resultados, que, apesar do medicamento apresentar baixo perfil de efeitos adversos, isso não garante eficácia na lentificação da progressão da doença, que o custo elevado do edaravona gera impacto significativo para o sistema de saúde, que as diretrizes internacionais, como a da Academia Europeia de Neurologia de 2023, não recomendam seu uso fora de protocolos de pesquisa, que mesmo documentos mais neutros, como o canadense, trazem ressalvas importantes e que talvez o edaravona mereça um olhar mais crítico. Questionados, ambos os especialistas concordaram que há grande heterogeneidade no cuidado oferecido a pacientes com ELA no Brasil, que os pacientes do SUS frequentemente não têm acesso adequado à fisioterapia, à fonoaudiologia e à nutrição estruturada, especialmente fora dos grandes centros, enquanto pacientes da rede privada podem ter melhor acompanhamento, dependendo dos recursos financeiros ou das limitações impostas pelos planos de saúde, que, de modo geral, o tratamento ainda é considerado precário e muitas pessoas subvalorizam a importância da abordagem multiprofissional e das intervenções não farmacológicas e que a ventilação não invasiva precoce se destaca entre as estratégias mais eficazes, pois melhora a qualidade de vida e os desfechos dos pacientes. O médico especialista convidado pelo DGITS ainda destacou que, além dos desafios do tratamento da ELA, muitos pacientes apresentam alterações comportamentais e cognitivas, podendo afetar entre 40% e 60% destes indivíduos, que estudos realizados no Hospital das Clínicas da UFMG também identificaram diversas alterações comportamentais e cognitivas, que

há falta de preparo de muitos profissionais, como fonoaudiólogos, fisioterapeutas e psicólogos, que persistem dificuldades de acesso ao sistema público, embora alguns centros, como o Ventilar, em Belo Horizonte, ofereçam suporte de ventilação não invasiva com bons resultados e que existem pacientes que sobreviveram muitos anos com ventilação não invasiva, mostrando que, apesar das limitações, é possível manter qualidade de vida. Questionada, a colaboradora do CCATES explicou que, embora a avaliação GRADE tenha indicado um nível de certeza moderado a alto, tanto os estudos observacionais quanto os *post hoc* apresentaram importantes riscos de viés, pois incluíram diferenças relevantes entre os grupos comparador e controle na linha de base, como idade dos participantes, taxa de progressão da doença e duração da doença, e que o ensaio clínico principal apresentou algumas preocupações metodológicas na análise realizada devido à presença de dados faltantes no desfecho, possivelmente decorrentes da perda de participantes durante o estudo. Questionado, o médico especialista convidado pela AMB ponderou que os estudos disponíveis não demonstram eficácia consistente do medicamento, que o ensaio inicial mostrou possível benefício apenas em um subgrupo muito específico, que estudos posteriores, incluindo um ensaio europeu de fase 3, não confirmaram esse efeito e que o estudo de vida real de 2025 sugeriu progressão mais lenta da doença, mas apresenta vieses importantes. Questionada, a colaboradora do CCATES ressaltou que os estudos foram classificados como tendo evidência moderada a alta porque apresentaram diferenças estatisticamente significativas entre os grupos, embora o ensaio clínico principal apresentasse algumas preocupações de viés e os estudos de extensão classificados como de alto risco de viés, e que os estudos incluídos no Relatório são os mesmos mencionados pelo médico especialista convidado pela AMB. Questionado, o colaborador do CCATES esclareceu que a proposta do demandante foi desenvolver uma AvE e uma AIO que já considerasse o cenário com o uso de riluzol, que, ao analisar as evidências disponíveis, observou-se que alguns pacientes realmente utilizaram este medicamento e que a análise crítica do dossiê do demandante foi realizada considerando o uso de riluzol, sem propor qualquer análise exploratória excluindo este medicamento, tanto para as evidências clínicas quanto para as evidências econômicas. A colaboradora do CCATES esclareceu que um estudo mencionado pelo médico especialista convidado pela AMB considerou o edaravona oral, não sendo incluído na análise porque a avaliação realizada se refere apenas à formulação intravenosa, que a formulação oral não possui registro no Brasil e que o estudo alemão foi excluído porque não apresentava os resultados separados para pacientes grau 1 e grau 2, oferecendo apenas uma análise conjunta de todos os pacientes com ELA. O colaborador do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos (DAF/SCTIE/MS) ponderou que a paciente com longo tempo de doença e os especialistas trazem grande sensibilidade ao tema, reforçando a necessidade de decisões baseadas em evidências, que há dúvidas sobre o tamanho real da população que utilizaria a tecnologia, pois os dados atuais com base no riluzol disponibilizados por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), como os 7.503 pacientes em tratamento e a taxa de incidência de cerca de 500 novos casos de ELA por ano, sugerem uma população potencial maior do que a estimada no modelo utilizado, podendo alterar significativamente os

cálculos do impacto financeiro, que a forma de administração do medicamento, por infusão diária, apresenta desafios importantes, pois não existe infraestrutura adequada no SUS para esse tipo de atendimento de forma disseminada, podendo restringir o acesso apenas a grandes centros ou a serviços muito específicos, implicando em custos adicionais não contemplados no modelo atual, tanto para organização da rede quanto para viabilização das infusões e que estes fatores deveriam ser considerados no planejamento e talvez explorados em análises de sensibilidade, já que os parâmetros de população e custos podem diferir do que está previsto no modelo original. Questionado, o colaborador do CCATES confirmou que a população estimada na AIO para o primeiro ano foi de 270 e para o quinto ano de 608, após aplicação do *market share*. Questionado, o colaborador do DAF afirmou que o riluzol pode ser disponibilizado para os demais estágios da ELA, que atualmente há cerca de 7.500 pacientes usando o riluzol, que, aplicando a proporção estimada de 0,35% de pacientes no estágio adequado, chega-se a aproximadamente 2.600 indivíduos prevalentes elegíveis no primeiro ano, que a incidência média anual é de aproximadamente 500 novos casos após a pandemia, com base nos registros de uso de riluzol, que os números descritos anteriormente não incluem pacientes do setor privado e que a incorporação da nova tecnologia pode atrair pacientes hoje fora do sistema, que há preocupação de que os custos se concentrem nos primeiros anos e que a incidência real possa ser menor que a epidemiológica, sendo recomendável avaliar diferentes formas de distribuição dos pacientes ao longo do tempo, considerando experiências anteriores em que tecnologias com populações menores enfrentaram dificuldades de disponibilização e necessidade de processos de compra específicos. Questionados, os representantes da empresa demandante confirmaram que não incluíram nenhum tipo de suporte à infusão para esses pacientes, que não possuem informação sobre esse tipo de suporte em outros países, que, na AIO, considera-se toda a população prevalente de ELA no primeiro ano porque inclui os pacientes já diagnosticados que ainda estão em estágio inicial, que, nos anos seguintes da AIO, utiliza-se apenas a incidência, pois somente os novos casos elegíveis entrariam no tratamento, que se ajustasse o número inicial para 2.600 pacientes, o impacto adicional seria pequeno, cerca de 100 pessoas, que a percepção que o impacto aumentaria muito ao longo do tempo não ocorre porque a tecnologia é relativamente barata e que simulações considerando até 100% da população indicam que o acréscimo ao impacto final seria de aproximadamente R\$ 20,0 milhões, mantendo-se dentro do que usualmente se observa nas aprovações do SUS, que o número de 900 pacientes se baseia em uma revisão sistemática de estudos brasileiros que estimaram prevalência e incidência de ELA em diferentes regiões, sendo esse o conjunto de dados considerado metodologicamente mais adequado para o dossiê, que doenças raras naturalmente envolvem incertezas epidemiológicas e, por isso, o recorte para pacientes em estágio inicial é importante para evitar distorções nos resultados, já que a tecnologia apresenta benefício apenas nesse grupo e que o uso de dados mais amplos poderia fragilizar a análise com pacientes que não se beneficiariam da intervenção, reduzindo a precisão do impacto estimado. O representante da OSC explica o trabalho da entidade e o conflito de interesse apresentado; parabeniza a participação da paciente na Reunião e destaca a dificuldade

enfrentada pelos pacientes, que buscam constantemente informações e apoio; lembra que a ELA é majoritariamente esporádica e que muitos pacientes não podem usar riluzol por efeitos adversos, ficando sem opções terapêuticas; enfatiza que, após 30 anos com apenas um medicamento disponível, o edaravona representa uma oportunidade real de ampliar qualidade e tempo de vida aos pacientes; defende sua incorporação, citando evidências positivas nos estágios iniciais e reforçando que o tratamento pode reduzir custos ao Estado ao evitar hospitalizações e internações e conclui que a decisão é crucial para oferecer mais tempo de vida à comunidade afetada. Na sequência, o Comitê de Medicamentos da Conitec ponderou sobre algumas questões, como: (i) o medicamento apresenta algum efeito nos estágios iniciais em uma doença extremamente grave; (ii) a necessidade de definir critérios objetivos de interrupção do tratamento, pois o modelo econômico prevê a interrupção no estágio 3, mas ainda não está claro como isso será traduzido para a prática clínica e incluído no PCDT; (iii) a expectativa que a empresa apresente um preço melhor, já que o benefício do edaravona não é modificador da doença; (iv) o custo anual do tratamento é alto e os pacientes podem usar o medicamento por vários anos; (v) o número potencial de usuários pode ser maior do que o estimado, ampliando o impacto orçamentário; (vi) a ausência de comparação direta entre o edaravona e as abordagens multidisciplinares que poderiam produzir benefícios semelhantes aos pacientes; (vii) a implementação do edaravona apresenta desafios relacionados com a sua forma de administração e a sua posologia e (viii) a demanda por informações por parte da empresa sobre suporte ao paciente para a implementação futura do medicamento. Após, iniciou-se a votação quanto à incorporação do edaravona para o tratamento de pacientes adultos com ELA, com a declaração dos votos favoráveis do CNS, da ANVISA, do CONASS, do CONASEMS, do CFM e do NATS e desfavoráveis da SCTIE, da SE, da SAES, da SVSA, da ANS e da AMB. O voto de desempate é o da SCTIE, conforme §2º do art. 50 da Seção VII do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1, de 28 de setembro de 2017, que foi desfavorável. O representante 1ª suplente, ocupante da cadeira rotativa da OSC neste tema e presente na reunião, declarou possuir conflito de interesses muito importante e não votou, nos termos do inciso V do art. 10 do Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011.

Recomendação: Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 148ª Reunião Ordinária, realizada no dia 12 de fevereiro de 2026, deliberaram, por maioria simples, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do edaravona para o tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA). Considerou-se a evidência clínica limitada, a expectativa quanto a uma proposta de preço para o edaravona e de suporte ao paciente por parte da empresa, o custo do tratamento devido ao uso potencialmente prolongado do medicamento e a necessidade de ajustes nas estimativas de impacto orçamentário.

Órgão	Nome	Conflito Declarado
OSC: Associação Pró-Cura da Esclerose Lateral Amiotrófica - ELA	Lina Rose Galvão Pádua	Participa de associação de pacientes ou sociedade médica relacionada à condição clínica em análise as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (Faço parte da Associação Pró-Cura da ELA-Esclerose Lateral Amiotrófica como Presidente da Associação desde 2020 até o momento. A Associação recebeu patrocínio para projetos institucionais, no valor aproximado de R\$ 101.000,00 em 2025).
	Jorge Camillo Abdalla Junior	Participa de associação de pacientes ou sociedade médica relacionada à condição clínica em análise as quais recebem recursos da empresa detentora do registro de tecnologia no tema (Faço parte da Associação Pró-Cura da ELA-Esclerose Lateral Amiotrófica como Presidente da Associação desde 2020 até o momento. A Associação recebeu patrocínio para projetos institucionais, no valor aproximado de R\$ 101.000,00 em 2025).

Apreciação das contribuições de consulta pública do luspatercepte para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada com beta-talassemia.

Item retirado de pauta.

Apreciação inicial do venetoclax em combinação com azacitidina para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mielóide aguda recém-diagnosticada e ineleável à quimioterapia intensiva.

Item retirado de pauta.

Declaração de Conflitos de Interesse:

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
Luciene Fontes Schluckebier Bonan	SCTIE
Jans Bastos Izidoro	SCTIE
Marcelo Alves Miranda	SE
Helen Cristina Santos Brasil	SE
Patrícia Gonçalves Freire dos Santos	SAES
Guilherme Loureiro Werneck	SVSA
Danielle Moreira de Castro Lima	SAPS
Robson Willian de Melo Matos	SEIDIGI
Silvana Nair Leite Contezini	CNS
Nelson Augusto Mussolini	CNS
Ana Cristina Marques Martins	ANS
Claudiosvam Martins Alves de Sousa	ANVISA
Heber Dobis Bernarde	CONASS
Luis Cláudio Lemos Correia	CONASS
Maria Cristina Sette de Lima	CONASEMS
Eduardo Jorge da Fonsêca Lima	CFM
Miyuki Goto	AMB

Rachel Riera	NATS
Luiz Henrique Gomes de Almeida	CSDPU
Lina Rose Galvão Pádua	OSC: Associação Pró-Cura da Esclerose Lateral Amiotrófica - ELA
Jorge Camillo Abdalla Junior	OSC: Associação Pró-Cura da Esclerose Lateral Amiotrófica - ELA