

NOTA TÉCNICA Nº 0096/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000986-37.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 09/01/2026
- 1.4. Data da Resposta: 17/03/2026
- 1.5 Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 15/05/2023 – 2 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística – E84

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
TRIKAFTA 100mg/50mg/75mg + 150mg	IVACAFTOR + TEZACAFTOR + ELEXACAFTOR	1382300070021	SIM	Pertence ao Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF, conforme PCDT Fibrose Cística. Grupo de financiamento 1A.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual *
TRIKAFTA 100mg/50mg/75mg + 150mg	TRIKAFTA	VERTEX FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.	(100 + 50 + 75) MG GRAN OR + 75 MG GRAN OR CT ENV AL PLAS BOPET/PE X 28 + 28	R\$ 62.686,81	1/2 cp. laranja de noite e 01 cp. azul de manhã	R\$ 814.928,53
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 814.928,53		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência março/2026.

4.3. Recomendações da CONITEC: Recomendado, com critérios.

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) publicou o Relatório de Recomendação nº 844, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 47, de 06 de setembro de 2023, com a decisão final de **incorporar** o Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (combinação) para tratamento de pacientes com fibrose cística com 6 anos de idade ou mais com ao menos uma mutação f508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Sobre a Fibrose Cística

A fibrose cística (FC) é uma doença genética com acometimento multissistêmico. Decorre de variantes patogênicas em ambos os alelos do gene Regulador de Condutância Transmembrana (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator – CFTR), codificador da proteína CFTR, um canal de cloreto e bicarbonato presente na superfície apical das células epiteliais do organismo e que bombeia substratos de forma ativa através das membranas.

Existem mais de 2 mil mutações identificadas no gene CFTR registradas na base de dados Cystic Fibrosis Mutation Database. Essas mutações são classificadas em seis classes distintas, conforme o tipo de defeito que causam na proteína CFTR, de maior ou menor expressão ou alteração de sua função nas células epiteliais:

- Classe I (produção): ausência da proteína ou proteína truncada, levando à perda completa ou quase completa da função da proteína CFTR;
- Classe II (processamento): síntese de uma proteína imatura, com pouca ou nenhuma proteína na membrana apical. Nesta classe, a mutação mais frequente é a Phe508del;
- Classe III (regulação): a regulação é defeituosa e a proteína não pode ser ativada, apesar de haver expressão de CFTR;
- Classe IV (condução): a condutância do cloreto é diminuída, apesar de haver síntese e expressão da CFTR, com função residual da proteína na membrana; pode levar a fenótipo de menor gravidade;
- Classe V (síntese reduzida): síntese da CFTR parcialmente prejudicada, com quantidade reduzida. Podem levar a fenótipo de menor gravidade; e
- Classe VI (degradação acelerada): proteína com instabilidade na membrana apical da célula, com degradação 5 a 6 vezes mais veloz do que a observada com a proteína selvagem.

Os avanços nesse campo de conhecimento, a possibilidade de diagnóstico precoce e as melhorias no cuidado têm aumentado a expectativa de vida dos pacientes. Em alguns países, a população pediátrica corresponde a menos da metade das pessoas com FC, cuja idade mediana de morte é de 50 anos.

Contudo, a FC está associada a morbidade significativa e elevada mortalidade. Defeitos na síntese ou função da proteína CFTR resultam em manifestações clínicas variáveis, que exigem condutas terapêuticas específicas. Em sua forma grave, as manifestações multissistêmicas são observadas, incluindo doença pulmonar, insuficiência pancreática exócrina e outras manifestações gastrointestinais, sinusite crônica, diabetes, entre outros sintomas. Já em quadros mais leves, as manifestações são mais tardias ou observadas em apenas um sistema, tal como a obstrução de ducto deferente em homens com infertilidade,

sendo muitas vezes referido como doença relacionada ao CFTR, má absorção de nutrientes, risco aumentado de desidratação e distúrbios metabólicos.

A identificação da doença em seu estágio inicial e o encaminhamento ágil e adequado para o atendimento especializado dão à Atenção Primária à Saúde um caráter essencial para um melhor resultado terapêutico e prognóstico dos casos. As pessoas com FC que chegam à idade adulta têm a oportunidade de obter grau de instrução mais alto, trabalhar e constituir família, gozando de boa qualidade de vida.

Teste de Suor

O teste do suor, com dosagem quantitativa de cloreto no suor, é o método laboratorial de escolha para o diagnóstico dos casos de triagem neonatal positiva no Brasil. Além disso, conforme manifestações clínicas, a ocorrência de íleo meconial no período neonatal deve, invariavelmente, indicar investigação de FC pelo teste do suor e encaminhamento a um centro de referência especializado em FC, já que muitos indivíduos com essa manifestação apresentam resultado de triagem neonatal negativo, com valores normais do tripsinogênio.

Trata-se de um exame relativamente simples, mas que demanda treinamento da equipe e equipamentos adequados para sua correta realização e interpretação dos achados.

A avaliação qualitativa ou medida da condutividade do suor, apesar de demonstrar alta concordância com a dosagem quantitativa do cloro, é uma técnica utilizada como triagem até a realização da avaliação quantitativa. Tem menor custo e resultado mais rápido, mas não necessariamente precede a quantitativa. Ainda é considerada um teste de triagem para a FC por ser de fácil execução e resultado imediato, mas não é aceita pelas diretrizes internacionais como prova diagnóstica para FC. Preconiza-se a realização do teste quantitativo quando os resultados de condutividade forem ≥ 50 mmol/L. O resultado do teste do suor quantitativo é considerado positivo quando a dosagem de cloreto é igual ou maior que 60 mmol/L e negativo quando menor que 30 mmol/L. Resultados do teste do suor entre 30 mmol/L e 59 mmol/L são considerados inconclusivos e requerem encaminhamento para um centro de referência especializado, para avaliação adicional.

Teste Genético

O teste genético para a identificação das variantes patogênicas ou provavelmente patogênicas no gene CFTR é preconizado para todos os indivíduos com resultado do teste do suor positivo ou inconclusivo. O teste genético permite elucidar o diagnóstico clínico-laboratorial ou descartá-lo frente a um resultado inconclusivo do teste do suor, além de prever algumas consequências clínicas, como a insuficiência pancreática. Assim, ressalta-

se que mesmo os pacientes que apresentem teste do suor positivo e, portanto, já possuem diagnóstico confirmado, devem realizar o teste genético.

Pacientes que apresentam triagem neonatal positiva e a dosagem de cloreto do suor inferior a 30 mmol/L possuem diagnóstico improvável de fibrose cística. Porém, naqueles indivíduos com manifestações clínicas sugestivas de FC que apresentarem triagem neonatal positiva e a dosagem de cloreto do suor inferior a 30 mmol/L, o teste genético pode ser realizado para confirmação diagnóstica.

Com o surgimento dos medicamentos moduladores da função da proteína CFTR, esse teste torna-se ainda mais importante ao permitir a identificação dos pacientes elegíveis, com pelo menos 6 anos de idade, que poderão se beneficiar dessas tecnologias terapêuticas. Além disso, é fundamental para o aconselhamento genético, para a investigação de quadros leves ou de menor gravidade da FC e para elaboração de estratégias de diagnóstico pré-natal ou pré-implantação de embriões no útero para casais com histórico de FC.

Das mais de 2 mil variantes do gene CFTR, aproximadamente 300 variantes estão associadas à FC. Bancos de dados internacionais, como o CFTR2, podem ser consultados para confirmar as variantes como causadoras ou não da FC. Ainda, entre os bancos de dados disponíveis, existe o “Cystic fibrosis mutations database” e o LOVD3 - “Leiden open variation Database”.

Sobre o Tratamento

O tratamento da FC é complexo e deve ser realizado em centro de referência por equipe multidisciplinar, logo após a confirmação diagnóstica. O acometimento multissistêmico e crônico da FC demanda um tratamento abrangente e eficaz, que resulte em aumento da expectativa de vida dos pacientes. A abordagem terapêutica inclui aconselhamento genético, condutas não medicamentosas e medicamentosas para todas as fases da doença.

Serviços pediátricos e de adultos com FC são bastante diferentes. Centros de saúde pediátricos precisam atender às demandas próprias da infância, tanto na estrutura como na disponibilidade dos profissionais da saúde. Ao atingir a fase adulta, o tratamento dos pacientes requer adequação quantitativa e qualitativa dos centros de referência, pela complexidade inerente à doença, em virtude de comorbidades e complicações distintas e mais frequentes, além da possibilidade de atender e acompanhar pacientes durante a gestação. Além disso, a passagem do adolescente para um centro de saúde para adultos é desafiadora e há evidências de que programas de transição otimizam o processo dessa transferência. Uma vez adultos, os pacientes compartilham e participam das decisões sobre os seus cuidados em saúde.

Tratamento não medicamentoso:

O tratamento não medicamentoso da FC deve ser estabelecido conforme a fisiopatologia da doença e as manifestações clínicas, nas necessidades do paciente, na promoção do seu engajamento com o seguimento clínico e na adesão ao tratamento, por equipe multiprofissional e multidisciplinar em Centros de Referência. Ressalte-se que nem todos os pacientes necessitam de todas as intervenções, podendo haver mudanças de severidade das manifestações clínicas com o curso da doença. Dessa forma, a realização das terapias não medicamentosas e a sua frequência devem atender às necessidades conforme acometimento da doença.

Possíveis intervenções e terapias: fisioterapia, nutrição, controle do tabagismo, e transplante pulmonar.

Tratamento medicamentoso:

O tratamento medicamentoso da FC envolve manifestações dos sistemas digestório e respiratório, mas pode envolver ainda manifestações sistêmicas secundárias a disfunção da proteína CFTR.

O surgimento dos moduladores da proteína CFTR iniciou uma nova fase no tratamento da FC, uma vez que o defeito básico da doença passou a ser tratado. Diversos medicamentos atuam diretamente na proteína CFTR defeituosa, restaurando sua funcionalidade, e são “mutação-específicos”, ou seja, indicados conforme a mutação do paciente. Os potencializadores aumentam a função da proteína CFTR expressa na membrana plasmática (mutações de classes III, IV e V) e os corretores agem nos defeitos da proteína não expressa na membrana da célula (mutações da classe II).

O medicamento ivacaftor é um potencializador da proteína CFTR, facilitando o transporte de cloreto ao aumentar a probabilidade de abertura do canal, com efeito dependente da quantidade de proteína CFTR na superfície celular e de sua responsividade à ação do medicamento. Seu uso foi avaliado e recomendado pela Conitec (Relatório de Recomendação nº 581, de dezembro de 2020) 166 e ele foi incorporado ao SUS para tratamento de pacientes acima de 6 anos que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.

A associação ivacaftor/lumacaftor (potencializador/corretor) foi avaliada e não recomendada pela Conitec por insuficiência de evidências clínicas e elevada razão de custo-efetividade.

A associação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor é um produto modulador da proteína CFTR, na qual o elexacaftor e o tezacaftor atuam como corretores e o ivacaftor como potencializador da proteína CFTR. Seu uso foi avaliado e recomendado pela Conitec para

tratamento de pacientes acima de 6 anos com pelo menos uma mutação F508del no gene CFTR.

Na ocorrência de sobreposição de mutações (presença de variante F508del com uma variante Classe III), é aconselhável que pacientes que não estejam em tratamento o iniciem com a associação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor. Caso o paciente já esteja em uso do ivacaftor e apresente falha da terapêutica (conforme tempo de tratamento e critérios de interrupção), a transição para associação elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor deve ser realizada.

Medicamentos:

- Alfadornase: solução para inalação de 1 mg/mL.
- Colistimetato de sódio: pó para solução injetável ou inalatória contendo 80 mg (1 milhão de UI) e 160 mg (2 milhões de UI).
- Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor: comprimidos revestidos de 100 mg de elexacaftor/50 mg de tezacaftor/75 mg de ivacaftor co-embalados com comprimidos revestidos de 150 mg de ivacaftor e comprimidos revestidos de 50 mg de elexacaftor/25 mg de tezacaftor/37,5 mg de ivacaftor co-embalados com comprimidos revestidos de 75 mg de ivacaftor.
- Ivacaftor: comprimidos de 150 mg.
- Pancreatina: cápsulas com 10.000 UI e 25.000 UI de lipase.
- Tobramicina: solução inalatória de 300 mg.

Sobre o Ivacaftor + Tezacaftor + Elexacaftor (Trikafta®)

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Outros produtos para o sistema respiratório.

b. Indicações

O medicamento em associação ivacaftor + tezacaftor + elexacaftor é indicado para o tratamento da fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais que tenham pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR).

c. Informações sobre o medicamento

Moduladores da proteína CFTR são uma nova classe de drogas que atuam melhorando a produção, processamento intracelular e/ou função da proteína CFTR defeituosa. Todos os pacientes com FC devem ser submetidos à genotipagem CFTR para determinar se carregam uma mutação que os tornam elegíveis para terapia com modulador da proteína CFTR, que inclui F508del e muitas outras mutações.

As terapias baseadas nos moduladores da proteína CFTR (proteína reguladora do canal que atravessa a membrana celular) corrigem a proteína defeituosa produzida pelo gene CFTR na Fibrose Cística. Uma vez que diferentes mutações causam defeitos diversos na

proteína, os medicamentos desenvolvidos até o momento são eficazes apenas para pessoas com mutações específicas. Hoje, há quatro moduladores da proteína CFTR para pessoas com determinadas mutações CFTR: Kalydeco® (ivacaftor), Orkambi® (lumacaftor/ivacaftor), Symdeko® (tezacaftor/ivacaftor e ivacaftor) e Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor).

O medicamento em associação ivacaftor + tezacaftor + elexacaftor está padronizado pelo Ministério da Saúde para o tratamento da Fibrose Cística - CID10 E84.0, E84.1, E84.8, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), na apresentação de 100 mg de elexacaftor/50 mg de tezacaftor/75 mg de ivacaftor co-embalados com comprimidos revestidos de 150 mg de ivacaftor (comprimido revestido) e na apresentação de 50 mg de elexacaftor/25 mg de tezacaftor/37,5 mg de ivacaftor co-embalados com comprimidos revestidos de 75 mg de ivacaftor (comprimido revestido) sendo necessário o preenchimento dos critérios de inclusão definidos pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – PCDT da doença, que inclui idade maior ou igual a 6 anos.

Cabe ao paciente a responsabilidade de buscar atendimento pela via administrativa por meio do CEAF e atender as exigências preconizadas no PCDT (exames, documentos, receita, termo de consentimento e laudo médico, entre outros). Os documentos serão analisados por técnicos da SES e, estando de acordo com o protocolo, os medicamentos serão disponibilizados e entregues para o paciente na sua respectiva unidade de saúde, conforme o tempo previsto para cada tratamento.

d. Informações sobre o financiamento

O medicamento ivacaftor + tezacaftor + elexacaftor pertence ao Grupo 1A do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF). A aquisição dos medicamentos que compõem o grupo 1A é de responsabilidade exclusiva da União.

O Grupo 1 (1A e 1B) é constituído por medicamentos que representam elevado impacto financeiro para o Componente, por aqueles indicados para doenças mais complexas, para os casos de refratariedade ou intolerância a primeira e/ou segunda linha de tratamento e por aqueles que se incluem em ações de desenvolvimento produtivo no complexo industrial da saúde.

A responsabilidade pelo armazenamento, distribuição e dispensação dos medicamentos do Grupo 1 (1A e 1B) é das Secretarias Estaduais de Saúde. Independentemente do Grupo, o fornecimento de medicamentos padronizados no CEAF deve obedecer aos critérios de diagnóstico, indicação de tratamento, inclusão e exclusão de pacientes, esquemas terapêuticos, monitoramento, acompanhamento e demais parâmetros contidos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), estabelecidos pelo Ministério da Saúde, de abrangência nacional.

e. Avaliação da CONITEC

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) publicou o Relatório de Recomendação nº 844, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 47, de 06 de setembro de 2023, com a decisão final de **incorporar** o Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (combinação) para tratamento de pacientes com fibrose cística com 6 anos de idade ou mais com ao menos uma mutação f508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

Informações adicionais:

O medicamento elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor está contemplado no PCDT sobre fibrose cística. Todos os critérios de inclusão a seguir devem ser contemplados:

- Idade igual ou maior do que 6 anos de idade;
- Pelo menos, uma mutação F508del no gene CFTR

A revisão da literatura realizada para elaboração do PCDT identificou que o medicamento foi estudado em ensaios clínicos que recrutaram crianças a partir de 6 anos de idade. Portanto, houve recomendação favorável para crianças acima de 6 anos de idade com fibrose cística com mutação F508del no gene CFTR.

O PCDT afirma o seguinte sobre análises orçamentárias e de eficácia.

“O impacto orçamentário apresentado pelo demandante considerou a população com FC com > 6 anos projetados a partir dos dados do Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) de 2019 e considerou que 920 pacientes seriam elegíveis para o uso de ELX/TEZ/IVA no primeiro ano, totalizando 1.224 pacientes ao final de 5 anos. O estudo estimou um impacto orçamentário incremental variando de R\$ 354- 431 milhões por ano e de 1,99 bilhões em 5 anos, em relação ao cenário de referência com o tratamento padrão ou ivacaftor, sob o pressuposto de um compartilhamento de mercado de 54% até 74% em 5 anos, sobre a prevalência da população alvo no Brasil.”

O medicamento foi incluído para crianças a partir dos 6 anos de idade provavelmente porque foi esta a população que foi especificamente estudada em ensaios clínicos de fase III e por uma previsão orçamentária com uma devida análise de custo-efetividade.

A Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health (CADTH) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. A Haute Autorité de Santé (HAS) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. O National Institute for Health and Care Excellence (NICE) foi favorável ao uso a partir dos 2 anos de idade.

A droga se mostra segura na população pediátrica, sendo possível identificar que crianças a partir de dois anos teriam segurança caso recebessem o medicamento. Há publicação que corrobora isso. Ao mesmo tempo, não haveria motivo para que o medicamento funcionasse somente a partir de uma determinada idade.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Diminuir as hospitalizações, diminuir a carga de tratamento, as exacerbações pulmonares e uma possível redução da necessidade de transplante de pulmão precoce, além de retardar a doença pulmonar avançada.

5.3. Parecer

☒ **Favorável**

☐ Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

Trata-se de criança do sexo masculino, 2 anos de idade, diagnosticado com de fibrose cística portador do genótipo F508del/Q353X.

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) publicou o Relatório de Recomendação nº 844, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 47, de 06 de setembro de 2023, com a decisão final de **incorporar** o Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (combinação) para tratamento de pacientes com fibrose cística com 6 anos de idade ou mais com ao menos uma mutação f508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

O medicamento foi incluído para crianças a partir dos 6 anos de idade provavelmente porque foi esta a população que foi especificamente estudada em ensaios clínicos de fase III e por uma previsão orçamentária com uma devida análise de custo-efetividade.

A Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health (CADTH) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. A Haute Autorité de Santé (HAS) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. O National Institute for Health and Care Excellence (NICE) foi favorável ao uso a partir dos 2 anos de idade.

Portanto este NATJUS manifesta-se **FAVORÁVEL** à demanda.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

☐ SIM, com potencial risco de vida

☐ SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

☒ NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

1. UpToDate. CFTR modulators for patients with cystic fibrosis: Combination therapy with elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor. Waltham, MA: UpToDate; 2024. Disponível em: <https://www.uptodate.com/contents/image?imageKey=PEDS%2F130532&topicKey=PEDS%2F6372>
2. Vertex Pharmaceuticals Incorporated. (2024). Prescribing Information: Elexacaftor, Tezacaftor, Ivacaftor. Retrieved from: https://pi.vrtx.com/files/uspi_elexacaftor_tezacaftor_ivacaftor.pdf.
3. Cystic Fibrosis Foundation. (2024). FDA Approves Trikafta for Additional Rare CFTR Mutations. Retrieved from <https://www.cff.org/news/2024-12/fda-approves-trikafta-additional-rare-cftr-utations%20gene.&text=The%20approval%20enables%20a%20-small,approved%20modulators%20quickly%20and%20safely>).
4. NHS England. (2024). Ivacaftor, Tezacaftor/Ivacaftor, and Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor for Licensed and Off-Label Use in Patients with Cystic Fibrosis Who Have Named Mutations. Retrieved from <https://www.england.nhs.uk/long-read/ivacaftor-tezacaftor-ivacaftor-and-elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor-for-licensed-and-off-label-use-in-patients-with-cysticfibrosis-who-have-named-mutations/>.
5. Haute Autorité de Santé. (2023). Décision et Avis de la Commission de la Transparence: Kaftrio. Retrieved from https://www.has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/2023-09/kaftrio_ap227_decision_et_avisct.pdf.
6. Ministério da Saúde. (2023). Relatório de Recomendação nº 844: Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com 6 anos de idade ou mais com ao menos uma mutação f508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística. Retrieved from https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230906Relatorio-844elexacaftor_tezacaftor_ivacaftor.pdf.
7. Ministério da Saúde. (2022). Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. Retrieved from https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220812_PCDT_Fibrose_Cistica_CP_53_final.pdf.
8. Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME 2024. Brasília: Ministério da Saúde, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/centrais-de-conteudo/biblioteca-virtual/rename-2024>

9. Trikafta: Brasil. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Trikafta. Bulário Eletrônico da Anvisa. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/>.
10. Goralski JL, Hoppe JE, Mall MA, et al. Phase 3 Open-Label Clinical Trial of Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in Children Aged 2-5 Years with Cystic Fibrosis and at Least One F508del Allele. Am J Respir Crit Care Med. 2023;208(1):59-67. doi:10.1164/rccm.202301-0084OC
11. Haute Autorité de Santé (HAS). Kaftrio (ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor) en association avec Kalydeco - Mucoviscidose (2 ans - 6 ans). Saint-Denis La Plaine: HAS; 2023. Disponível em: https://www.has-sante.fr/jcms/p_3460538/fr/kaftrio-ivacaftor/-tezacaftor/-elexacafto-en-association-avec-kalydeco-mucoviscidose-2-ans-6-ans
12. Canada's Drug Agency (CDA-AMC). Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor and Ivacaftor. Ottawa: CDA-AMC; 2024. Disponível em: <https://www.cda-amc.ca/elexacaftortezacaftorivacaftor-and-ivacaftor-1>
13. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Ivacaftor–tezacaftor–elexacaftor, tezacaftor–ivacaftor and lumacaftor–ivacaftor for treating cystic fibrosis [TA988]. London: NICE; 2024. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/guidance/ta988/resources/ivacaftortezacaftorelexacaftor-tezacaftorivacaftor-and-lumacaftorivacaftor-for-treating-cystic-fibrosis-pdf-82615917119173>

5.6. Outras Informações – conceitos:

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela

avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravamento à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos

federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.



Considerações NAT-Jus/SP: A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

Equipe NAT-Jus/SP