

## **NOTA TÉCNICA Nº 0361/2025 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5000930-67.2025.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 20/01/2025
- 1.4. Data da Resposta: 06/02/2025

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 24/08/1995 - 29 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística – CID E84.8. O referido diagnóstico foi confirmado por meio de exame genético que detectou a mutação R334W.  
Tratamentos já realizados: O relatório médico datado de 16/12/2024 -ID 350874017 - Médico DR. [REDACTED] – especialidade pneumologista especialista fibrose cística. É importante destacar que a autora sempre realizou o tratamento médico pelo Sistema Único de Saúde (SUS), cartão SUS [REDACTED] buscando atendimento especializado no Centro Especializado em Atendimento à Fibrose Cística do Hospital de Clínicas da USP em São Paulo. A autora comparece regularmente às consultas ambulatoriais e adere ao tratamento com uso regular e frequente de medicações de alto custo, as quais são fornecidas pelo SUS.

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

Para manifestação acerca do preenchimento dos requisitos estipulados no item 2 das teses fixadas no Tema nº 06 do E. STF. Quais sejam:

- (a) Negativa do fornecimento do medicamento na via administrativa;**
- (b) Impossibilidade de substituição por outro medicamento constante nas listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;**
- (c) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise;**
- (d) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado;**

Requisite-se ao NAT-JUS, com

urgência, Nota Técnica com os seguintes esclarecimentos:

1. O medicamento requerido é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece a autora (medicamento de escolha)? Há quanto tempo o medicamento passou a ser utilizado no tratamento da doença de que padece a parte autora e com que resultados?

O medicamento consta no PCDT de fibrose cística desde 2024.

2. O medicamento está incorporado no SUS? Houve proposta de incorporação acolhida pelo MS ou proposta de não incorporação? Se disponível, referenciar o parecer da CONITEC correspondente.

Sim, ele consta no PCDT.

3. O medicamento requerido é substituível por outro ou outros fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?

A discussão sobre o papel do medicamento foi elaborada na respectiva sessão deste documento.

4. Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde da parte autora em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do pretendido?

Trata-se de doença crônica progressiva. Nenhum tratamento disponível é capaz de modificar o seu curso clínico.

5. A aplicação do medicamento deve ocorrer em ambiente hospitalar?

Não.

6. O medicamento exige algum cuidado especial para o seu correto armazenamento?

Apenas os expostos na bula.

7. O medicamento pleiteado é considerado experimental? Possui registro na ANVISA? Desde quando? Se negativa a resposta, há pedido de registro em andamento na ANVISA? Desde quando? Se não estiver registrado na Anvisa, está registrado em grandes agências internacionais?

Não se aplica.

8. Há prova científica da efetividade do medicamento para o caso em análise? Quais os efeitos benéficos já comprovados?

Sim, os dados estão apresentados a seguir.

9. Outros esclarecimentos julgados pertinentes.

#### **4. Descrição da Tecnologia**

4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento

TRIKAFTA

4.2. Princípio Ativo: IVACAFTOR;TEZACAFTOR;ELEXACAFTOR

4.3. Registro na ANVISA: 1382300050029

4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não

4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: - Ivacaftor (Kalydeco): registro na ANVISA e avaliação favorável CONITEC;

- Ivacaftor + Lumacaftor (Orkambi): registro na ANVISA e avaliação desfavorável pela CONITEC;

- Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko): registro na ANVISA e avaliação desfavorável pela CONITEC;

- Terapia tripla (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor = Trikafta) Com registro ANVISA. Sem avaliação CONITEC.

De acordo como Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021) são previstos para tratamento: alfadornase, tobramicina, pancreatina, ivacaftor e transplante.

4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: ELEXACAFTOR, TEZACAFTOR, IVACAFTOR

4.7.2. Laboratório: VERTEX FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.

4.7.3. Marca comercial: TRIKAFTA

4.7.4. Apresentação: (100 + 50 + 75) MG COM REV + 150 MG COM REV CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 56 + 28

4.7.5. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 84.440,97

4.7.7. Dose diária recomendada: Tomar 2 comprimidos LARANJAS (100MG/50MG/75MG) pela manhã e um azul; (150MG) à noite, diariamente, junto com alimentação rica em gorduras.

4.8. Custo total do tratamento:

4.8.1. Custo anual - preço máximo de venda ao Governo: R\$ 1.013.291,64

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços da ANVISA/CMED. Referência janeiro de 2025. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>

4.10. Recomendações da CONITEC: Trikafta foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) e recebeu recomendação favorável à incorporação no SUS por trazer benefícios clínicos importantes, como a melhora da função pulmonar, do estado nutricional do paciente, com consequente redução das internações hospitalares, retirada do paciente da fila de transplante pulmonar e melhora da qualidade e expectativa de vida em agosto de 2023.

## **5. Discussão e Conclusão**

### 5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A fibrose cística é uma doença causada por mutações genéticas que levam à produção, por alguns órgãos, de secreções mais espessas do que deveriam ser. O principal órgão acometido é o pulmão. A produção de muco espesso aumenta o risco de infecções bacterianas de repetição e destruição do parênquima pulmonar.

O tratamento da doença é baseado no uso de terapias inalatórias que objetivam fluidificar o muco, além de tratamento das infecções pulmonares. O acometimento de outros órgãos, como o pâncreas, pode levar a outras terapias, como reposição de enzimas pancreáticas.

Na última década, houve o surgimento de medicações novas, chamadas de moduladoras da proteína CFTR (envolvida no mecanismo básico da doença). Existem quatro destas medicações até o momento: Kalydeco, Symdeko, Orkambi e Trikafta. Cada uma delas tem uma indicação específica, guiada principalmente pela mutação genética carregada pela pessoa doente.

Trikafta é um medicamento que representa uma tripla terapia para fibrose cística, consistindo em elexacaftor, tezacaftor e o ivacaftor. A aprovação pela ANVISA ocorreu entre fevereiro e março de 2022. Ainda não há parecer definitivo disponível emitido pela CONITEC a respeito da incorporação do medicamento no SUS.

A bula aprovada pela ANVISA aponta que a indicação do medicamento é para:

- crianças com 6 anos ou mais de idade com pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR).

### 5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

A bula do medicamento cita estudos designados como:

- 445-102: gerou a publicação de Middleton PG et cols, 2019
- 445-103: gerou a publicação de Heijerman HGM et cols, 2019
- 445-104: gerou a publicação de Barry PJ et cols, 2021
- 445-105: representa a revisão sistemática publicada por Southern KW et cols, 2020
- 445-106: gerou a publicação de Zemanick ET et cols, 2021

Todos os estudos citados na bula representam estudos relevantes para compreensão do benefício do medicamento e foram analisados para a elaboração deste parecer.

Uma revisão sistemática publicada pelo grupo Cochrane em 2020, tendo como autores Southern KW et cols indica que o genótipo desses participantes era F508del/F508del ou F508del/MF (mínima função). Eles incluíram 19 ensaios clínicos com 2959 participantes. Porém, apenas 5 ensaios clínicos com 775 participantes foram submetidos à terapia com três agentes (como na droga Trikafta) e poucos desses estudos foram com a droga Trikafta. Sendo assim, como são poucos estudos, a análise individual deles se torna interessante.

Os dados analisados na revisão sistemática com meta-análise indicam que a terapia tripla em relação ao placebo ou terapias com menos drogas alcançou:

- Melhora em um domínio (respiratório) de qualidade de vida em um prazo avaliado de até cerca de 6 meses (24 semanas)
- Melhora nos valores de VEF1 em um prazo avaliado de até cerca de 6 meses (24 semanas)
- Maior tempo até a primeira exacerbação pulmonar em um prazo avaliado de até cerca de 6 meses (24 semanas)
- Baixa taxa de eventos adversos

O estudo de Middleton PG et cols, 2019, é um ensaio clínico de fase 3, multicêntrico, duplo-cego, placebo-controlado.

- Critérios de inclusão foram: crianças de 12 anos de idade ou mais com fibrose cística e genética de F508del/MF; VEF1 entre 40 e 90%; doença estável nos últimos 28 dias.
- Principais critérios de exclusão foram: cirrose significativa com ou sem hipertensão portal; transplante de órgão sólido ou hematológico; abuso de drogas ilícitas ou álcool no passado; história de hemólise; alterações de hemoglobina, bilirrubina, transaminases, canaliculares, função renal; infecções de vias aéreas nos últimos 28 dias; infecções pulmonares prévias associadas com pior prognóstico (por exemplo, Burkholderia spp, Mycobacterium abscessus).
- Número de pacientes recrutados com dados analisados: 403
- Terapia estudada e comparador: terapia tripla ou placebo durante 24 semanas; após isso, eles poderiam permanecer em um período de extensão do estudo por 96 semanas, no qual o estudo deixava de ser duplo-cego.
- Desfecho primário do estudo foi uma mudança absoluta no valor (percentual) VEF1 predito dentro de 4 semanas.
- Resultado sobre o desfecho primário: dentro de 4 semanas, o grupo que recebeu a terapia tripla teve incremento de 13,8% da VEF1
- Desfechos secundários:
- O incremento da VEF1 persistiu até 24 semanas

- Houve menor taxa de exacerbações pulmonares em 24 semanas (0,37 95% IC 0,25 a 0,55)
- Houve incremento de qualidade de vida em um domínio respiratório em 24 semanas (20,2 95% IC 17,5 a 23)
- Não houve incremento relevante de eventos adversos ou algum tipo de evento adverso grave relacionado com o medicamento

O estudo de Heijerman HGM et cols, 2019, é um ensaio clínico de fase 3, multicêntrico, duplo-cego, placebo-controlado.

- Critérios de inclusão foram: crianças de 12 anos de idade ou mais com fibrose cística e genética de F508del/F508del; VEF1 entre 40 e 90%; doença estável.
- Principais critérios de exclusão foram: cirrose significativa com ou sem hipertensão portal; transplante de órgão sólido ou hematológico; infecções pulmonares prévias associadas com pior prognóstico.
- Número de pacientes recrutados com dados analisados: 107
- Terapia estudada e comparador: terapia tripla ou terapia dupla (ivacaftor com tezacaftor) por 4 semanas
- Desfecho primário do estudo foi uma mudança absoluta no valor (percentual) do VEF1 predito dentro de 4 semanas.
- Resultado sobre o desfecho primário: dentro de 4 semanas, o grupo que recebeu a terapia tripla teve incremento de 10% da VEF1 (95% IC 7,4 a 12,6)
- Desfechos secundários:
- Houve incremento de qualidade de vida em um domínio respiratório em 4 semanas (17,4 95% IC 11,8 a 23)
- Não houve incremento relevante de eventos adversos ou algum tipo de evento adverso grave relacionado com o medicamento

O estudo de Barry PJB et cols, 2021, é um ensaio clínico de fase 3, multicêntrico, duplo-cego, placebo-controlado.

- Critérios de inclusão foram: crianças de 12 anos de idade ou mais com fibrose cística e genética de F508del em heterozigose; VEF1 entre 40 e 90%; doença estável.
- Principais critérios de exclusão foram: cirrose significativa com ou sem hipertensão portal; transplante de órgão sólido ou hematológico; infecções pulmonares prévias associadas com pior prognóstico.
- Desfecho primário do estudo foi uma mudança absoluta no valor (percentual) do VEF1 predito dentro de 8 semanas.
- Número de pacientes recrutados com dados analisados: 258
- Terapia estudada e comparador: terapia tripla ou terapia dupla (ivacaftor ou tezacaftor-ivacaftor) por 4 semanas

- Resultado sobre o desfecho primário: dentro de 4 semanas, o grupo que recebeu a terapia tripla teve incremento de 3,5% da VEF1 (95% IC 2,2 a 4,7)

Alguns estudos de fase 1 e 2 indicaram que a terapia tripla é segura e possivelmente eficaz para a população pediátrica mais jovem, a partir dos 6 anos de idade. Por conta disso, algumas diretrizes, decisões governamentais e bulas podem indicar uma diferença na idade da população que teria indicação formal do medicamento.

A agência NICE (Reino Unido) ainda não emitiu um parecer final sobre o uso de Trikafta (lá comercializado como Kaftrio) em pacientes com fibrose cística. No momento, a diretriz de manejo de pacientes com fibrose cística não prevê o uso do medicamento.

A agência CADTH (Canadá) indicou que o uso do Trikafta é reembolsado em alguns casos. Eles também indicaram que o medicamento deveria reduzir o seu preço em, pelo menos, 90% para ser considerado custo-efetivo - trabalhando com uma margem de 50 mil dólares canadenses por QALY (quality-adjusted life-year). Para obter reembolso, pacientes devem respeitar as seguintes características:

- Pacientes com fibrose cística com 12 anos de idade ou mais e que possuem pelo menos uma mutação F508del
- VEF1 menor que 90% no início do uso do medicamento
- Uma das seguintes características indicando que houve de fato melhoria após 6 meses do uso do medicamento:
  - Aumento de, pelo menos, 5% do VEF1
  - Redução no número de exacerbações pulmonares ou número de dias necessários de antibióticos prescritos por exacerbação pulmonar
  - Redução da hospitalização
  - Ausência de perda do índice de massa corporal
  - Melhora de, pelo menos, 4 pontos na escala CFQ-R (domínio respiratório de qualidade de vida)

Os autores Tice JA et cols, 2021, analisaram a custo-efetividade do medicamento na realidade dos EUA. Eles observaram que o uso do Trikafta associado com o melhor tratamento de suporte possível representava um custo por QALY (quality-adjusted life year) entre USD 1.050.000 e USD 1.160.000; um custo por evLYG (equal value life-year gained) entre USD 990.000 e USD 1.230.000. Como esses valores ultrapassam significativamente uma custo-efetividade, os autores indicaram que a empresa produtora do Trikafta deveria reduzir o custo do medicamento e torná-lo mais apropriado aos benefícios encontrados com seu uso até o momento.

O PIB per capita brasileiro de 2021 consultado na página do IBGE foi de R\$ 42.247,52. Tipicamente, um medicamento que apresenta adequada relação entre custo e efetividade é aquele que custa até 2-3 vezes o valor do PIB per capita. Portanto, nessa perspectiva extremamente simplificada de estimativa de custos, pode-se notar que o medicamento em custos absolutos está no teto do que já se pode imaginar como um limite para a chance de ser custo-efetivo. Além disso, representa um incremento muito significativo ao sistema de saúde. Isso pode ser modificado de acordo com o valor estabelecido para comercialização do medicamento no país.

No Brasil, o Sistema Único de Saúde assume como seus Princípios e Diretrizes: Universalidade, Equidade, Integralidade, Descentralização e Regionalização, e Participação da Comunidade. Por meio da Anvisa, o medicamento foi liberado para ser utilizado no Brasil.

Existe PCDT específico sobre fibrose cística. Neste documento, consta a liberação do uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor para os pacientes com fibrose cística diagnosticada por meio de critérios clínicos e laboratoriais, com idade igual ou maior do que 6 anos de idade e pelo menos uma mutação F508del no gene CFTR.

### 5.3. Parecer

( ) Favorável

( X ) Desfavorável

### 5.4. Conclusão Justificada:

O medicamento passou por ampla discussão técnica-científica para sua incorporação no PCDT de fibrose cística. A paciente em questão não se enquadra nos critérios de inclusão do documento. Esses critérios são estabelecidos a partir dos estudos científicos que acabam embasando a inclusão do medicamento no documento. Dados de alguns desses estudos estão apresentados neste parecer.

O medicamento tem algum grau de benefício clínico nos estudos disponíveis até o momento. Contudo, o seu elevado custo diante de uma perspectiva limitada de benefício não estabelece um parâmetro apropriado de custo-efetividade numa perspectiva populacional. Particularmente, se os pacientes não preenchem os critérios de inclusão e exclusão desses estudos, os quais embasam o PCDT. Os ensaios clínicos que demonstram benefício do medicamento excluíram pacientes mais graves e com infecções crônicas relacionadas com pior prognóstico, uma vez que isso poderia afetar negativamente os resultados esperados com o medicamento. Infelizmente, muitos pacientes possuem esses fatores de pior prognóstico, o que prejudicaria ainda mais o potencial benefício do medicamento e pioraria a sua estimativa de custo-efetividade.



11. Keating D, Marigowda G, Burr L, Daines C, Mall MA, McKone EF, Ramsey BW, Rowe SM, Sass LA, Tullis E, McKee CM, Moskowitz SM, Robertson S, Savage J, Simard C, Van Goor F, Waltz D, Xuan F, Young T, Taylor-Cousar JL; VX16-445-001 Study Group. VX-445-Tezacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis and One or Two Phe508del Alleles. *N Engl J Med*. 2018 Oct 25;379(17):1612-1620. doi: 10.1056/NEJMoa1807120. Epub 2018 Oct 18. PMID: 30334692; PMCID: PMC6289290.
12. Heijerman HGM, McKone EF, Downey DG, Van Braeckel E, Rowe SM, Tullis E, Mall MA, Welter JJ, Ramsey BW, McKee CM, Marigowda G, Moskowitz SM, Waltz D, Sosnay PR, Simard C, Ahluwalia N, Xuan F, Zhang Y, Taylor-Cousar JL, McCoy KS; VX17-445-103 Trial Group. Efficacy and safety of the elexacaftor plus tezacaftor plus ivacaftor combination regimen in people with cystic fibrosis homozygous for the F508del mutation: a double-blind, randomised, phase 3 trial. *Lancet*. 2019 Nov 23;394(10212):1940-1948. doi: 10.1016/S0140-6736(19)32597-8. Epub 2019 Oct 31. Erratum in: *Lancet*. 2020 May 30;395(10238):1694. PMID: 31679946; PMCID: PMC7571408.
13. Middleton PG, Mall MA, Dřevínek P, Lands LC, McKone EF, Polineni D, Ramsey BW, Taylor-Cousar JL, Tullis E, Vermeulen F, Marigowda G, McKee CM, Moskowitz SM, Nair N, Savage J, Simard C, Tian S, Waltz D, Xuan F, Rowe SM, Jain R; VX17-445-102 Study Group. Elexacaftor-Tezacaftor-Ivacaftor for Cystic Fibrosis with a Single Phe508del Allele. *N Engl J Med*. 2019 Nov 7;381(19):1809-1819. doi: 10.1056/NEJMoa1908639. Epub 2019 Oct 31. PMID: 31697873; PMCID: PMC7282384.
14. Flume PA, Biner RF, Downey DG, Brown C, Jain M, Fischer R, De Boeck K, Sawicki GS, Chang P, Paz-Diaz H, Rubin JL, Yang Y, Hu X, Pasta DJ, Millar SJ, Campbell D, Wang X, Ahluwalia N, Owen CA, Wainwright CE; VX14-661-110 study group. Long-term safety and efficacy of tezacaftor-ivacaftor in individuals with cystic fibrosis aged 12 years or older who are homozygous or heterozygous for Phe508del CFTR (EXTEND): an open-label extension study. *Lancet Respir Med*. 2021 Jul;9(7):733-746. doi: 10.1016/S2213-2600(20)30510-5. Epub 2021 Feb 10. Erratum in: *Lancet Respir Med*. 2021 Apr;9(4):e38. PMID: 33581080.
15. Barry PJ, Mall MA, Álvarez A, Colombo C, de Winter-de Groot KM, Fajac I, McBennett KA, McKone EF, Ramsey BW, Sutharsan S, Taylor-Cousar JL, Tullis E, Ahluwalia N, Jun LS, Moskowitz SM, Prieto-Centurion V, Tian S, Waltz D, Xuan F, Zhang Y, Rowe SM, Polineni D; VX18-445-104 Study Group. Triple Therapy for Cystic Fibrosis *Phe508del*-Gating and -Residual Function Genotypes. *N Engl J Med*. 2021 Aug 26;385(9):815-825. doi: 10.1056/NEJMoa2100665. PMID: 34437784.
16. Zemanick ET, Taylor-Cousar JL, Davies J, Gibson RL, Mall MA, McKone EF, McNally P, Ramsey BW, Rayment JH, Rowe SM, Tullis E, Ahluwalia N, Chu C, Ho T, Moskowitz SM, Noel S, Tian S, Waltz D, Weinstock TG, Xuan F, Wainwright CE, McColley SA. A Phase 3 Open-Label Study of Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in Children 6 through 11 Years of Age with Cystic Fibrosis and at Least One *F508del* Allele. *Am J Respir Crit Care Med*. 2021 Jun

- 15;203(12):1522-1532. doi: 10.1164/rccm.202102-0509OC. PMID: 33734030; PMCID: PMC8483230.
17. <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta10277/documents>
  18. <https://www.nice.org.uk/guidance/ng78/chapter/Recommendations#pulmonary-monitoring-assessment-and-management>
  19. <https://www.cadth.ca/elexacaftor-tezacaftor-ivacaftor-and-ivacaftor>
  20. Tice JA, Kuntz KM, Wherry K, Seidner M, Rind DM, Pearson SD. The effectiveness and value of novel treatments for cystic fibrosis. J Manag Care Spec Pharm. 2021 Feb;27(2):276-280. doi: 10.18553/jmcp.2021.27.2.276. PMID: 33506736.
  21. Soares PC, Novaes HMD. Cost-effectiveness thresholds and the Brazilian Unified National Health System. Cad Saude Publica. 2017 May 18;33(4):e00040717.
  22. Pinto M, Santos M, Trajman A. Limiar de custo-efetividade: uma necessidade para o Brasil? J Bras Econ Saúde 2016; 8:58-60
  23. [https://www.hc.fm.usp.br/images/pdf/superintendencia/relatorios/Relatorio\\_Atividades\\_HC\\_2019.pdf](https://www.hc.fm.usp.br/images/pdf/superintendencia/relatorios/Relatorio_Atividades_HC_2019.pdf)
  24. [http://portalgbefc.org.br/ckfinder/userfiles/files/REBRAFC\\_2019.pdf](http://portalgbefc.org.br/ckfinder/userfiles/files/REBRAFC_2019.pdf)
  25. <https://www.ibge.gov.br/explica/pib.php>
  26. [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230\\_portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf)
  27. <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/resumidos/pcdt-resumido-fibrose-cistica.pdf>

#### **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 agravo 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**