

NOTA TÉCNICA Nº 0427/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001046-10.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 19/01/2026
- 1.4. Data da Resposta: 12/02/2026
- 1.5. Requerida: SAÚDE PÚBLICA

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 14/01/2024 – 2 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Distúrbios do transporte de aminoácidos – CID E72.0

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

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?
2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?
3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?
4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?
5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

8. Os estudos disponíveis demonstram:

- a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?
- b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?
- c) Ganho de sobrevida livre de progressão?
- d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

9. O esquema proposto está em conformidade com:

- a) Protocolos internacionais reconhecidos?
- b) Bula aprovada pela ANVISA?

c) Literatura científica de qualidade?

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?".

Ver itens 5. e 6.



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opcões disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
BITARTARATO DE CISTEAMINA 50mg – 8cp/dia	Bitartarato de Cisteamina	não possui registro ativo na ANVISA para comercialização geral no Brasil.	Não	Não há	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
BITARTARATO DE CISTEAMINA	Não consta na Tabela CMED					
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO						

* 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 fevereiro de 2026

4.3. Recomendações da CONITEC: () RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO (x) NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Em crianças não tratadas, a cistinose é caracterizada por síndrome de Fanconi renal, baixo crescimento, raquitismo hipofosfatêmico/calcipênico, disfunção glomerular que leva à falência glomerular completa e acúmulo de cistina em quase todas as células, resultando em disfunção celular com comprometimento de tecidos e órgãos. Esta é a forma mais comum (95% dos indivíduos com cistinose). A criança típica não tratada apresenta baixa estatura, raquitismo e fotofobia (Nesterova, 2025).

As opções terapêuticas disponíveis para o tratamento da cistinose nefropática incluem (1) Cisteamina oral (cisteamina bitartrato, disponível como Cystagon® e Procysbi® nos EUA): é o tratamento específico de primeira linha, aprovado pelo FDA, capaz de reduzir em mais de 90% o conteúdo intracelular de cistina, retardando a progressão da doença renal e melhorando a sobrevida. A dose recomendada é de 60–90 mg/kg/dia de base livre (1,3–1,95 g/m²/dia), dividida a cada 6 horas (Cystagon®) ou a cada 12 horas (Procysbi®), com ajuste para manter a cistina leucocitária <1 nmol meia-cistina/mg proteína. O início precoce e a adesão rigorosa ao tratamento são fundamentais para melhores resultados. O tratamento deve ser mantido mesmo após transplante renal, pois previne complicações extrarrenais. (2) Cisteamina oftálmica (solução oftálmica de cloridrato de cisteamina 0,44%, Cystaran®): indicada para dissolução dos cristais de cistina na córnea, com posologia de 1 gota em cada olho 10–12 vezes ao dia. (3) Transplante renal: indicado para doença renal crônica terminal. O transplante restaura a função renal, mas não previne manifestações extrarrenais, exigindo manutenção da cisteamina oral. (4) Terapia de suporte: inclui reposição de perdas tubulares (eletrólitos, bicarbonato, fósforo, vitamina D), suporte nutricional, hormônio do crescimento, manejo de complicações endócrinas, musculares e oftalmológicas, conforme necessário (Nesterova, 2025).

A medicação não tem registro na Anvisa. Existe um parecer emitido pela própria Anvisa, datado de 26/09/2022, no qual este órgão emite parecer favorável a importação desta medicação para tratamento de quadro de cistinose nefropática (Disponível em:

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/composicao/diretoriacolegiada/reunoes-da-diretoria/votos-dos-circuitos-deliberativos1/2022/cd-967-2022-voto.pdf>

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Proteção renal e metabólica

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

() Desfavorável - inconclusivo- medicação não aprovada ainda pela ANVISA.

6.2. Conclusão Justificada

A cistinose nefropática é uma doença genética autossômica recessiva causada por mutações no gene CTNS, levando ao acúmulo de cistina lisossomal e dano multissistêmico progressivo, com insuficiência renal precoce e manifestações extrarrenais. A ausência de aprovação da cisteamina, terapia padrão que depleta cistina intracelular e retarda a progressão da doença, representa um desafio clínico significativo, pois compromete o controle da evolução renal e das complicações sistêmicas (Santoro, 2025; Chang, 2025; Nesterova, 2025; Gahl, 2002). A literatura demonstra que o início precoce da terapia de depleção de cistina é determinante para prolongar a função renal e melhorar o crescimento linear (Gahl, 2002; Emma, 2021). O manejo da cistinose nefropática sem cisteamina deve priorizar o suporte sintomático, reposição de perdas tubulares, manejo das complicações extrarrenais e transplante renal quando indicado. A participação em protocolos de pesquisa clínica pode ser considerada em centros especializados, sempre com monitoramento rigoroso.

A medicação não tem registro na Anvisa. Existe um parecer emitido pela própria Anvisa, datado de 26/09/2022, no qual este órgão emite parecer favorável a importação desta medicação para tratamento de quadro de cistinose nefropática. Disponível em:
<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/composicao/diretoriacolegiada/reunoes-da-diretoria/votos-dos-circuitos-deliberativos1/2022/cd-967-2022-voto.pdf>

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

7. Referências bibliográficas

Chang HE, Hossain MS, Song C, Surampudi N, Nesterova G, Gahl WA. Long-term outcomes in nephropathic cystinosis: a review. *Pediatr Nephrol*. 2025 May 14. doi: 10.1007/s00467-025-06790-6. Epub ahead of print. PMID: 40369127.

Emma F, Hoff WV, Hohenfellner K, Topaloglu R, Greco M, Ariceta G, Bettini C, Bockenhauer D, Veys K, Pape L, Hulton S, Collin S, Ozaltin F, Servais A, Deschênes G, Novo R, Bertholet-Thomas A, Oh J, Cornelissen E, Janssen M, Haffner D, Ravà L, Antignac C, Devuyst O, Niaudet P, Levchenko E. An international cohort study spanning five decades assessed outcomes of nephropathic cystinosis. *Kidney Int*. 2021 Nov;100(5):1112-1123. doi: 10.1016/j.kint.2021.06.019. Epub 2021 Jul 6. PMID: 34237326.

Gahl WA, Thoene JG, Schneider JA. Cystinosis. N Engl J Med. 2002; 347:111-121. DOI: 10.1056/NEJMra020552

Nesterova G, Gahl WA. Cystinosis. 2001 Mar 22 [Updated 2025 Aug 14]. In: Adam MP, Bick S, Mirzaa GM, et al., editors. GeneReviews® [Internet]. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1993-2025. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1400/>

Santoro A, Ferrara YV, De Angelis A. Therapeutic strategies in cystinosis: A focus on cysteamine and beyond. Exp Mol Pathol. 2025 Dec;144:104995. doi: 10.1016/j.yexmp.2025.104995. Epub 2025 Sep 4. PMID: 40912033.

8. 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://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteada 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.

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.

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.