

NOTA TÉCNICA Nº 0981/2025- NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5004049-58.2024.4.03.6104
1.3. Data da Solicitação: 20/02/2025
1.4. Data da Resposta: 07/03/2025

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 28/09/2016 – 08 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: Santos/SP
2.4. Histórico da doença: ASMA GRAVE EUSINOFILICA (CIDJ45) e rinite alérgica (CIDJ30.4), uma espécie de doença pulmonar obstrutiva crônica (DPOC).

[REDACTED] 36 kg, 135 cms, DN 28/09/2016
Paciente é portador de asma alérgica grave com múltiplas internações hospitalares, inclusive duas internações em UTI este ano. Além das internações acima citadas, mantém exacerbações mensais, com idas frequentes ao pronto socorro e cursos mensais de corticoide oral com impacto importante na qualidade de vida, perda de dias letivos na escola e consideráveis efeitos colaterais decorrentes do uso de repetidos cursos de corticóides. Mantém as exacerbações acima a despeito do uso de budesonida com formoterol 6:200 mcg (2 jatos de 12/12 horas, dose alta para a idade), tiotrópio 2,5 mcg, 2 jatos por dia e montelucaste 5 mg/dia. Paciente tem eosinofilia de 410/mm³, Ige sérica de 3124 KU/L e sensibilização (IgE específico elevado) para vários aeroalérgenos. Solicito mepolizumabe. Tem espirometria com distúrbio obstrutivo O paciente necessita desta medicação para melhor controle da asma e prevenir internações hospitalares (com melhora da qualidade de vida e diminuição do absenteísmo escolar).

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

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; não fornecida
NÃO

(b) Impossibilidade de substituição por outro medicamento constante nas listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;

SIM

(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;

SIM

(d) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado;

SIM

1. O medicamento Mepolizumabe 100mg/mL (solução injetável) tem registro na ANVISA? Está incorporado aos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas do SUS? Em caso afirmativo, para uso a partir de que idade?

O medicamento está registrado na ANVISA, n. 1010703350040, incorporado no SUS através de critérios definidos no PCDT de Asma para crianças acima de 6 anos de idade.

2. Sem prejuízo da pergunta anterior, favor esclarecer se o medicamento se encontra registrado em renomadas agências de regulação no exterior.

Na França e Alemanha, mepolizumabe foi adicionado como tratamento complementar para asma eosinofílica refratária grave em crianças e adolescentes com idade ≥ 6 a < 18 anos. No Reino Unido, o National Institute for Health and Care Excellence (NICE) ainda não emitiu avaliações sobre o uso do mepolizumabe nessa faixa etária, sendo, até o momento, aprovado apenas para adultos. No Canadá, embora a avaliação da eficácia do medicamento tenha sido satisfatória, encontra-se abaixo das alegações do fabricante e, portanto, não foi emitida decisão acerca de sua utilização nesse grupo de pacientes. Na Escócia, está em curso a revisão do uso de mepolizumabe como tratamento complementar da asma eosinofílica refratária grave para essa população.

3. Há quanto tempo o Mepolizumabe 100mg/mL (solução injetável) foi incorporado à terapêutica de asma e com que resultados?

Foi incorporado para tratamento de asma eosinofílica grave em crianças de 6 a 18 anos em março de 2024.

As evidências disponíveis sobre eficácia e segurança do mepolizumabe para o tratamento de pacientes entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária são baseadas em apenas um ECR. O uso de mepolizumabe adicionado à terapia padrão (CI+LABA) foi eficaz na redução do número de exacerbações da asma. Para os 8 demais desfechos de eficácia, os resultados indicam melhora, porém a magnitude de efeito é baixa. Mepolizumabe apresenta um bom nível de segurança, com frequência de eventos adversos leves e moderados, semelhantes entre os grupos. As evidências analisadas dão suporte para a utilização do mepolizumabe (somado ao esquema terapêutico usual) para o tratamento de pacientes entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária. Em relação aos

aspectos de custo-efetividade, a adição de mepolizumabe ao tratamento com CI + LABA resultou em uma RCEI de R\$ 677.500,01 (IC 95%: R\$ 456.774,08 a R\$ 1.028.406,19), não se apresentando como uma alternativa custo-efetiva para os padrões do SUS. Destaca-se que o tratamento só se tornaria custo-efetivo em cenários de redução de aproximadamente 79% do preço de aquisição atualmente proposto para o mepolizumabe. A ampliação de cobertura do mepolizumabe para pacientes com asma grave eosinofílica com idade entre 6 e 17 anos pode implicar um impacto incremental total de aproximadamente R\$ 16 milhões em cinco anos, com uma variação de R\$ 8.165.964,84 a R\$ 19.865.349,46.

4. Consta dos laudos médicos devidamente individualizados (id 336930870 - págs. 22/23) que os pacientes, portadores de asma alérgica grave, foram submetidos a múltiplas internações hospitalares. Além das internações acima citadas, mantém exacerbações mensais de corticóide oral com impacto importante na qualidade de vida e consideráveis efeitos colaterais decorrentes do uso de repetidos cursos dos referidos corticóides. Afirma, ainda, o profissional que os pacientes mantêm as exacerbações acima, a despeito do uso de budesonida com formoterol 6:200 mcg (2 jatos de 12/12 horas, dose alta para a idade), tiotrópio 2,5 mcg, 2 jatos por dia e montelucaste 5 mg/dia. Esclarece que os pacientes apresentam quadro de eosinofilia, sensibilização (Ige específico elevado) para vários aeroalérgenos, razão pelas quais solicita o fármaco. Nessas condições, é possível afirmar que os medicamentos fornecidos pelo SUS para tratamento da moléstia são ineficazes ou, diante da sensibilização, trariam efeitos colaterais?

Os medicamentos fornecidos pelo SUS são incorporados devido à sua eficácia, minuciosamente estudada e avaliada. Nenhum medicamento é 100% eficaz, há populações específicas que não respondem a esses medicamentos. No caso, o autor respondeu, porém ainda há episódios de descompensação, devido ao perfil de sua asma, que é alérgica, por isso necessita de mepolizumabe.

5. Observando o quadro descrito na pergunta anterior, é possível afirmar que o fármaco Mepolizumabe 100mg/mL, ainda que se trate de crianças, é o mais indicado para o tratamento dos autores? Por quê?

O mepolizumabe foi incorporado ao SUS para tratamento de crianças de 6 a 18 anos com asma eosinofílica grave.

6. Caso utilizado no tratamento, qual a recomendação de dosagem do fármaco a ser administrada aos autores considerando a idade atual? Por qual período?]

Conforme prescrição médica, aplicar 01 dose de mepolizumabe 40mg, via SC, a cada quatro semanas.



TRIBUNAL DE JUSTIÇA DE SÃO PAULO
■ SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS
SGP 5 – Diretoria da Saúde

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO**

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS	Existe Genérico ou Similar?
MEPOLIZUMABE 40mg	MEPOLIZUMABE	1010703350040	SIM	Disponível no SUS através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, conforme critérios definidos no PCDT de Asma.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual
MEPOLIZUMABE 40mg	NUCALA	GLAXOSMITHKLINE BRASIL LTDA	40 MG/ 0,4 ML SOL INJ CT SER PREENC VD TRANS + ADAPT + AGU	R\$ 2.385,10	Aplicar 01 dose, via SC, a cada quatro semanas	R\$ 28.621,20
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 28.621,20		
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE SUPLEMENTAR		

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência fevereiro de 2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: O Comitê de Medicamentos da Conitec, em sua 127ª Reunião Ordinária, no dia 6 de março de 2024, deliberou, por unanimidade, recomendar a incorporação do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Considerou-se que houve elementos suficientes para modificar a interpretação inicial em relação aos aspectos de custo-efetividade, impacto orçamentário e implementação da tecnologia. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 883/2024.

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A asma afeta indivíduos de todas as idades e é a doença crônica mais comum entre as crianças. No Brasil, a condição é um dos problemas de saúde respiratória mais recorrentes e estima-se que 23,2% da população viva com a doença, representando aproximadamente 24% da população infantil. Mesmo com tratamento otimizado, cerca de 5-10% dos adultos e 2-5% das crianças apresentam sintomas persistentes, gerando altos custos em saúde com repetidas internações hospitalares devido às exacerbações, faltas no trabalho e na escola, além do prejuízo da qualidade de vida do paciente e familiares. A asma eosinofílica grave, na criança ou adolescente, é caracterizada pela presença de eosinófilos no sangue igual ou superior a 150 células/ μ L, e/ou eosinófilos detectados no escarro em uma proporção \geq 2%, juntamente com resultados positivos para testes específicos de IgE ou teste cutâneo de leitura imediata. O tratamento da asma deve ser individualizado, de acordo com a gravidade da doença e o controle dos sintomas. No Brasil, de acordo com a bula atualizada em 2023, o medicamento em questão é indicado como tratamento complementar de manutenção da asma eosinofílica grave em pacientes adultos e pediátricos a partir de 6 anos de idade, porém, conforme PCDT de asma, o uso do mepolizumabe estava restrito a pacientes adultos com asma eosinofílica grave refratária, associado ao tratamento com Corticosteroides Inalatórios (CI) + broncodilatadores beta 2 (β 2) agonistas de longa duração (LABA) e com contagem de eosinófilos no sangue periférico \geq 300 células/ μ L, entretando o Comitê de Medicamentos da Conitec, em sua 127ª Reunião Ordinária, no dia 6 de março de 2024, deliberou, por unanimidade, recomendar a incorporação do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

Mepolizumabe é um anticorpo monoclonal anti interleucina-5 que é usado em tratamento de asma grave, geralmente não responsiva ao tratamento consagrado otimizado. Na literatura médica, há evidências de que mepolizumabe reduz exacerbações em paciente com asma grave eosinofílica (eosinófilo maior que 150/microL) (3,4) e pode poupar o uso de corticoide oral por pacientes com exacerbações frequentes de asma, com controle sintomático melhor (2,3,4).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Diminuição da ocorrência e da gravidade das crises de asma, a redução de internações, a possibilidade de realização de atividades cotidianas sem cansaço e a não ocorrência de eventos adversos.

5.3. Parecer

(X) Favorável, disponível no SUS pelas vias administrativas.

() Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

Trata-se de paciente diagnosticado com Asma Grave Eusínofílica Refratária ao tratamento indicado por PCDT de Asma. Conforme relatórios médicos anexados aos autos o autor já fez uso das medicações recomendadas nas dosagens máximas, entretanto permanece apresentando quadros de exacerbações da doença.

O Comitê de Medicamentos da Conitec, em sua 127ª Reunião Ordinária, no dia 6 de março de 2024, deliberou, por unanimidade, recomendar a incorporação do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária.

Portanto este NATJUS manifesta-se **favorável** a demanda, ressaltando que o medicamento solicitado já está incorporado ao SUS para o quadro clínico do caso em tela, devendo ser dispensado pelo Componente Especializado da Assistência Farmacêutica com aquisição pelo Estado de São Paulo com recursos Federais, após preenchimento do Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica e apresentação de exames e relatórios médicos.

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

(X) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

- Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Coordenação-Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde. Relatório de Recomendação: Ampliação de uso do mepolizumabe para o tratamento de pacientes com idade entre 6 e 17 anos com asma eosinofílica grave refratária. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2023. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2023/relatorio_cp_-mepolizumabe_asma6a17anos_55_2023.pdf
- <https://ginasthma.org/2024-report/>
- Pavord ID, Korn S, Howarth P, Bleecker ER, Buhl R, Keene ON, Ortega H, Chanez P. Mepolizumab for severe eosinophilic asthma (DREAM): a multicentre, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet. 2012 Aug;380(9842):651-9.
- Bel EH, Wenzel SE, Thompson PJ, Prazma CM, Keene ON, Yancey SW, Ortega HG, Pavord ID, SIRIUS Investigators. Oral glucocorticoid-sparing effect of mepolizumab in eosinophilic asthma. N Engl J Med. 2014 Sep;371(13):1189-97. Epub 2014 Sep 8.
- <https://www.saude.sp.gov.br/resources/ses/perfil/cidadao/aceso-rapido/medicamentos/relacao-estadual-de-medicamentos-do-componente->

[especializado-da-assistencia-farmaceutica/consulta-por-medicamento/510_mepolizumabe_v1.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