

## **NOTA TÉCNICA Nº 10015/2025 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000958-69.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 17/12/2025
- 1.4. Data da Resposta: 10/02/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 06/10/2018 – 07 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Campinas/SP
- 2.4. Histórico da doença: Niemann Pick Tipo C – CID E75.2

### **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?
- 6. 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?

Resposta- Medicamento ainda não aprovado pela ANVISA.



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?
MIPLYFFA – Caixa com 90 cápsulas. Tomar 1 cápsula de 62mg 3x/dia.	Arimoclomol	Sem registro	Não	Não há	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
MIPLYFFA	-	-	-	-	-	-
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

4.3. Recomendações da CONITEC: não avaliado.

## **5. Discussão**

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

A doença de Niemann-Pick tipo C (NPC) é uma doença de depósito lisossomal neurovisceral, que pode afetar vísceras e cérebro. É causada por um defeito no transporte intracelular de colesterol e glicoesfingolipídeos; geralmente ocorre por mutações no gene NPC1, mas também podem ocorrer mutações no gene NPC2, sendo, em ambos os casos, herdadas de forma autossômica recessiva. A apresentação clínica da NPC varia de uma doença pré-natal fatal a uma doença neurodegenerativa crônica de início na vida adulta (2). Os neonatos podem apresentar ascite e hepatomegalia, e a NPC pode-se associar a dificuldade respiratória por infiltração dos pulmões. Outros lactentes, sem doença hepática ou pulmonar, podem ter hipotonia e atraso no desenvolvimento. A apresentação clássica ocorre na infância média a tardia com o início insidioso de ataxia, paralisia supranuclear vertical do olhar (para cima e para baixo) e demência. Distonia e convulsões são comuns. A morte ocorre geralmente na segunda ou terceira décadas de vida por pneumonia aspirativa. Os adultos são mais propensos a apresentar demência ou sintomas psiquiátricos (1, 2).

O paciente com NPC tem uma doença crônica, progressiva e requer cuidados por equipe multiprofissional incluindo fonoaudiólogo, fisioterapeuta, terapeuta ocupacional, equipe de enfermagem e diferentes especialidades médicas (2,3).

O Arimoclomol é um medicamento aprovado pelo FDA estadunidense para tratar os sintomas neurológicos da Doença de Niemann-Pick tipo C (NPC), uma doença genética rara, atuando como ativador de proteínas de choque térmico (HSP) para estabilizar as funções lisossomais e reduzir o acúmulo de gorduras. Usado em combinação com miglustat, ele visa estabilizar a progressão da doença em pacientes a partir dos 2 anos de idade, sendo uma inovação terapêutica para essa condição neurodegenerativa.

Nas Diretrizes do Ministério da Saúde, não está indicado, em qualquer forma da doença de Niemann-Pick, o uso de terapia de redução do substrato (miglustate), haja vista que o mesmo não se associa a benefícios em desfechos clínicos relevantes. A Portaria nº 35/SCTIE/MS, de 23/07/2019, aprovando o Relatório de Recomendação da CONITEC, decide por não incorporar o miglustate para manifestações neurológicas da doença de Niemann-Pick tipo C, no âmbito do Sistema Único de Saúde (4).

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

Retardar a progressão das manifestações neurológicas, especialmente quando utilizado em combinação com miglustat, conforme aprovado pela FDA nos Estados Unidos para adultos e crianças a partir de 2 anos.

## **6. Conclusão**

#### 6.1. Parecer

( ) Favorável

( X ) Desfavorável

#### 6.2. Conclusão Justificada

Medicamento ainda não aprovado pela ANVISA.

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

#### **7. Referências bibliográficas**

1. PATTERSON, M. C. Niemann-Pick Disease. In: SCHAPIRA, A. W. Z.; DAWSON, T. M.; WOOD, N. (ed.). Neurodegeneration. Hoboken, NJ: Wiley Blackwell, 2017. p. 303-308.
2. Brasil, Ministério da Saúde, 2020. DIRETRIZES BRASILEIRAS PARA DIAGNÓSTICO E TRATAMENTO DA DOENÇA DE NIEMANN-PICK TIPO C
3. GEBERHIWOT, T. M. A. et al. Consensus clinical management guidelines for Niemann-Pick disease type C. Orphanet Journal of Rare Diseases, [London], v. 13, p. 50, 2018.

#### **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](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, 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.

**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.**