

NOTA TÉCNICA Nº 10060/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000868-61.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 18/12/2025
- 1.4. Data da Resposta: 02.02.2026
- 1.5 Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 04/07/2023 - 2 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Síndrome hemolítico urêmica atípica - D59.3

3. Descrição da Tecnologia

- 3.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO
-SOLIRIS (Eculizumabe) 10mg/ml
300mg EV a cada 21 dias.

-ULTOMIRIS (ravulizumabe) 100mg/ml
600mg EV a cada 4 semanas.

4. Discussão e Conclusão

- 1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Ambos os medicamentos foram avaliados pela CONITEC com recomendação de não 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?

Parecer da CONITEC: Os membros do Comitê de Medicamentos, na 142ª Reunião da Conitec, em 02/07/2025, deliberaram, por maioria simples, recomendar a **não incorporação** do ravulizumabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa), considerando a manutenção do alto impacto orçamentário e do cenário de incerteza em relação ao número de pacientes e à descontinuação terapêutica. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 1014/2025. Com base na recomendação da Conitec, o Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu pela **não**

incorporação do eculizumabe para tratamento da síndrome hemolítica urêmica atípica, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

2. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

Atualmente, não há PCDT do Ministério da Saúde para o tratamento da SHUa. Segundo os protocolos internacionais, a abordagem terapêutica consiste em terapia de suporte e tratamento com eculizumabe. A terapia de suporte inclui a terapia plasmática e os transplantes renal e/ou hepático.

3. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

Para o eculizumabe: Síndrome hemolítico-urêmica atípica e hemoglobinúria paroxística noturna. Para o ravulizumabe, as indicações constantes em bula são: o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com peso corporal igual ou superior a 10 kg com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN); tratamento de pacientes com peso igual ou superior a 10 kg com síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa), incluindo pacientes não tratados com inibidor do complemento e pacientes que receberam eculizumabe por pelo menos 3 meses; tratamento de pacientes adultos com Miastenia Gravis generalizada (MGg) positivo para anticorpo anti-receptor de acetilcolina (AChR) e tratamento de pacientes adultos com doença do espectro da neuromielite óptica (NMOSD) positivos para anticorpos anti-aquaporina-4 (AQP4+).

4. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Sim.

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

Indicação de acordo com a bula aprovada pela ANVISA.

6. 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?

Sim.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Não existem ensaios clínicos randomizados que comparem diretamente o tratamento da síndrome hemolítica urêmica (SHU) com plasmaférese versus o tratamento com ravulizumabe ou eculizumabe; os dados disponíveis são provenientes de estudos de

braço único ou comparações indiretas (Pugh, 2021; Tomazos, 2022; Michael, 2022; West, 2024).

Eculizumabe e ravulizumabe, ambos inibidores do complemento C5, demonstraram eficácia e segurança em estudos de braço único para SHU atípica (SHUa), com melhora significativa dos parâmetros hematológicos e renais, sendo que o ravulizumabe oferece a vantagem de menor frequência de administração (Pugh, 2021; Tomazos, 2022; Rondeau, 2020; Syed, 2021; Ariceta, 2021).

A plasmaférese foi historicamente utilizada como primeira linha para SHUa, mas atualmente é considerada menos eficaz, com dados de registros mostrando piores desfechos renais em comparação aos inibidores do complemento; permanece como opção quando eculizumabe é inacessível ou em subtipos específicos, como HUS associado a autoanticorpos contra fator H (Michael, 2022)

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Sim

c) Ganho de sobrevida livre de progressão? Não se aplica

d) Melhora de qualidade de vida mensurável? Sim

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos? Sim

b) Bula aprovada pela ANVISA? Sim

c) Literatura científica de qualidade? Sim

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

Desfechos utilizados melhora hematológica e renal.

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

Não se aplica.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO**

SOLIRIS (Eculizumabe) 10mg/ml

300mg EV a cada 21 dias.

-ULTOMIRIS (ravulizumabe) 100mg/ml

600mg EV a cada 4 semanas.

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
Eculizumabe	ECULIZUMABE	1161803040011	NAO	UNACON;CACON	NAO

Ravulizumabe	RAVULIZUMABE	1161803010021	NAO	UNACON;CACON	NAO
--------------	--------------	---------------	-----	--------------	-----

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
ECULIZUMABE	SOLIRIS	ASTRAZENECA DO BRASIL LTDA	10 MG/ML SOL DIL INFUS CT FA VD TRANS X 30 ML	R\$ 19.511,11	300mg EV	R\$ 331.688,87
RAVULIZUMAB	ULTOMIRIS	ASTRAZENECA DO BRASIL LTDA	100 MG/ML SOL DIL INFUS IV CT FA VD TRANS X 3 ML	R\$ 21.074,16	600mg EV	R\$ 505.779,8
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 837.468,71		

* 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 01.2026

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

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Eculizumabe e ravulizumabe, ambos inibidores do complemento C5, demonstraram eficácia e segurança em estudos de braço único para SHU atípica (SHUa), com melhora significativa dos parâmetros hematológicos e renais, sendo que o ravulizumabe oferece a vantagem de menor frequência de administração (Pugh, 2021; Tomazos, 2022; Rondeau, 2020; Syed, 2021; Ariceta, 2021).

A plasmaférese foi historicamente utilizada como primeira linha para SHUa, mas atualmente é considerada menos eficaz, com dados de registros mostrando piores desfechos renais em comparação aos inibidores do complemento (Michael, 2022).

Não foram encontrados ensaios clínicos randomizados de alta qualidade para avaliação do uso de eculizumabe na situação proposta e a CONITEC considerou o nível de evidência insuficiente para incorporação do mesmo para síndrome hemolítico-urêmica atípica (Brasil, 2019).

A base para recomendação de uso é a de que os pacientes com microangiopatia trombótica tratados com bloqueio terminal do complemento parecem ter um prognóstico melhor em relação aos controles históricos, com uma taxa de progressão consideravelmente menor para doença renal terminal do que seria esperado com base sobre a história natural da doença. Isso inclui melhorias na função renal, contagem de plaquetas e hemólise em indivíduos que foram tratados com eculizumabe ou ravulizumabe,

em alguns casos dramáticos o suficiente para permitir a descontinuação da hemodiálise (Rathbone, 2013; Legendre, 2013; Fakhouri, 2014; Prével, 2022). Em ensaio clínico não controlado, 79% dos pacientes que receberam eculizumabe durante a descompensação aguda descontinuaram a diálise (Fakhouri, 2016).

Na análise da CONITEC quanto à incorporação do ravulizumabe, foram incluídos quatro ensaios clínicos não randomizados de braço único na síntese de evidências. Após a atualização, foram identificadas 273 publicações, das quais, após leitura completa, oito artigos foram incluídos, sendo seis apresentados no Dossiê do demandante e dois estudos observacionais publicados recentemente. Dentre os desfechos considerados na nova pergunta PICOS, a resposta completa à MAT é o mais relevante para o tratamento de pessoas com SHUa. Em geral, os estudos indicaram taxas de resposta completa à MAT entre 26 e 52 semanas de acompanhamento, tanto na população adulta quanto na pediátrica, variando de 54% em 26 semanas a 94% ao final de 52 semanas. Este resultado foi mantido em após dois anos de tratamento com ravulizumabe. Os estudos observacionais demonstraram que, após o início do tratamento com ravulizumabe, 100% dos pacientes apresentaram resposta completa à MAT. Parâmetros como contagem de plaquetas, níveis de LDH, hemoglobina e creatinina mostraram normalização para a maioria dos participantes, com variação de 70% a 94%. O tempo de resposta à MAT variou entre 30 e 86 dias nos estudos avaliados. A interrupção da diálise foi observada em aproximadamente 78% a 100% dos pacientes. A qualidade de vida foi avaliada pela ferramenta FACIT-Fatigue, uma escala que abrange fadiga física, funcional, emocional e suas implicações sociais. Os estudos relataram um aumento mediano de 20 pontos na escala, refletindo uma melhora na qualidade de vida dos pacientes. Quanto aos desfechos de segurança, os eventos adversos graves mais recorrentes foram hipertensão, pneumonia e infecções. No estudo pivotal (Rondeau et al., 2020), foram relatados eventos adversos fatais associados ao uso do medicamento, incluindo dois casos de choque séptico e uma hemorragia cerebral. Todos os estudos apresentaram muito baixa certeza da evidência, devido à ausência de um braço comparador e ao alto risco de viés (Brasil, 2025). Não existem ensaios clínicos randomizados que comparem diretamente o tratamento da síndrome hemolítica urêmica (SHU) com plasmaférese versus o tratamento com ravulizumabe ou eculizumabe; os dados disponíveis são provenientes de estudos de braço único ou comparações indiretas (Pugh, 2021; Tomazos, 2022; Michael, 2022; West, 2024).

Devido às altas taxas de comprometimento renal, grande parte dos pacientes com SHUa torna-se dependente de diálise e outras terapias de substituição renal. A paciente da presente demanda vem sendo submetido a sessões de hemodiálise três vezes por semana.

A terapia plasmática tem por objetivo eliminar as proteínas reguladoras anormais e os anticorpos anti-CHF e, ao mesmo tempo, fazer a suplementação com proteínas reguladoras normais. Existem duas modalidades de terapia plasmática: a troca de plasma (TP), também chamada de plasmaférese, que se caracteriza pela remoção do plasma sanguíneo para separação seletiva de células ou de outros componentes específicos; e a infusão de plasma (IP), que consiste em administrar ao paciente plasma fresco congelado.

A paciente já fez ambas as modalidades, sem benefício conforme os documentos clínicos anexados.

O tratamento com o anticorpo monoclonal humanizado anti-C5 (eculizumabe) visa bloquear a via final do complemento, inibindo a clivagem de C5 em C5b e a formação da anafilotoxina C5a e do CAM (complexo de ataque à membrana, C5b-9), bloqueando assim as consequências pró-inflamatórias de C5a e pró-trombóticas de C5b-9 da ativação do complemento.

Por fim, há a possibilidade de transplante renal e hepático.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Diminuição das crises de microangiopatia trombótica, melhora hematológica e renal e melhora da qualidade de vida.

5. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

5.1 Conclusão justificada

A literatura atual sugere que o uso dos medicamentos eculizumabe e ravulizumabe se associam a melhor prognóstico do ponto de vista renal, o que é relevante, em comparação com a plasmaferese, que é a terapia padrão disponível no SUS. Esses estudos não são de comparação direta e o custo dos medicamentos pleiteados é altíssimo, e não há planejamento de tempo de tratamento bem definido, o que comprometeria a sustentabilidade do sistema de saúde e reforçando as incertezas que levaram à opção de não incorporação pela CONITEC, conclusões desta alinhadas às da revisão sistemática do grupo Cochrane (Pugh, 2021).

Por outro lado, de acordo com os documentos médicos fornecidos, o paciente já vem em uso de eculizumabe, com descrição de benefício.

Referências bibliográficas

Ariceta G, Dixon BP, Kim SH, Kapur G, Mauch T, Ortiz S, Vallee M, Denker AE, Kang HG, Greenbaum LA; 312 Study Group. The long-acting C5 inhibitor, ravulizumab, is effective and safe in pediatric patients with atypical hemolytic uremic syndrome naïve to complement inhibitor treatment. *Kidney Int.* 2021 Jul;100(1):225-237. doi: 10.1016/j.kint.2020.10.046. Epub 2020 Dec 8. Erratum in: *Kidney Int.* 2023 Jul;104(1):205. doi: 10.1016/j.kint.2023.04.010. PMID: 33307104.

Ariceta G, Fakhouri F, Sartz L, Miller B, Nikolaou V, Cohen D, et al. Eculizumab discontinuation in atypical haemolytic uraemic syndrome: TMA recurrence risk and renal outcomes. *Clin Kidney J.* 2021; 14(9):2075-84

Bagga A, Khandelwal P, Mishra K, Thergaonkar R, Vasudevan A, Sharma J, Patnaik SK, Sinha A, Sethi S, Hari P, Dragon-Durey MA; Indian Society of Pediatric Nephrology. Hemolytic uremic syndrome in a developing country: Consensus guidelines. *Pediatr Nephrol*. 2019 Aug;34(8):1465-1482

Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Eculizumabe para tratamento da Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica. Relatório de recomendação No 483, Novembro/2019.

Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Ravulizumabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa). Relatório de recomendação No 992. Brasília, 2025

Fakhouri F, Delmas Y, Provot F, Barbet C, Karras A, Makdassi R, Courivaud C, Rifard K, Servais A, Allard C, Besson V, Cousin M, Châtelet V, Goujon JM, Coindre JP, Laurent G, Loirat C, Frémeaux-Bacchi V. Insights from the use in clinical practice of eculizumab in adult patients with atypical hemolytic uremic syndrome affecting the native kidneys: an analysis of 19 cases. *Am J Kidney Dis*. 2014 Jan;63(1):40-8

Fakhouri F, Hourmant M, Campistol JM, Cataland SR, Espinosa M, Gaber AO, Menne J, Minetti EE, Provôt F, Rondeau E, Ruggenenti P, Weekers LE, Ogawa M, Bedrosian CL, Legendre CM. Terminal Complement Inhibitor Eculizumab in Adult Patients With Atypical Hemolytic Uremic Syndrome: A Single-Arm, Open-Label Trial. *Am J Kidney Dis*. 2016 Jul;68(1):84-93

Garnier A, Brochard K, Kwon T, Sellier-Leclerc AL, Lahoche A, Launay EA, Nobili F, Caillez M, Taque S, Harambat J, Michel-Bourdat G, Guigonis V, Fila M, Cloarec S, Djamal-Dine D, de Parscaux L, Allard L, Salomon R, Ulinski T, Frémeaux-Bacchi V, Morin C, Olivier-Abbal P, Colineaux H, Auriol F, Arnaud C, Kieffer I, Brusq C. Efficacy and Safety of Eculizumab in Pediatric Patients Affected by Shiga Toxin-Related Hemolytic and Uremic Syndrome: A Randomized, Placebo-Controlled Trial. *J Am Soc Nephrol*. 2023 Sep 1;34(9):1561-1573. doi: 10.1681/ASN.0000000000000182. Epub 2023 Jun 12. PMID: 37303085; PMCID: PMC10482062.

Legendre CM, Licht C, Muus P, Greenbaum LA, Babu S, Bedrosian C, Bingham C, Cohen DJ, Delmas Y, Douglas K, Eitner F, Feldkamp T, Fouque D, Furman RR, Gaber O, Herthelius M, Hourmant M, Karpman D, Lebranchu Y, Mariat C, Menne J, Moulin B, Nürnberger J, Ogawa M, Remuzzi G, Richard T, Sberro-Soussan R, Severino B, Sheerin NS, Trivelli A, Zimmerhack LB, Goodship T, Loirat C. Terminal complement inhibitor eculizumab in atypical hemolytic-uremic syndrome. *N Engl J Med*. 2013 Jun 6;368(23):2169-81

Michael M, Bagga A, Sartain SE, Smith RJH. Haemolytic uraemic syndrome. *Lancet*. 2022 Nov 12;400(10364):1722-1740. doi: 10.1016/S0140-6736(22)01202-8. Epub 2022 Oct 19. PMID: 36272423.

Prével R, Delmas Y, Guillotin V, Gruson D, Riviére E. Complement Blockade Is a Promising Therapeutic Approach in a Subset of Critically Ill Adult Patients with Complement-Mediated Hemolytic Uremic Syndromes. *J Clin Med*. 2022 Feb 1;11(3):790. doi: 10.3390/jcm11030790

Pugh D, O'Sullivan ED, Duthie FA, Masson P, Kavanagh D. Interventions for atypical haemolytic uraemic syndrome. *Cochrane Database Syst Rev*. 2021 Mar 23;3(3):CD012862. doi: 10.1002/14651858.CD012862.pub2. PMID: 33783815; PMCID: PMC8078160.
Rathbone J, Kaltenthaler E, Richards A, Tappenden P, Bessey A, Cantrell A. A systematic review of eculizumab for atypical haemolytic uraemic syndrome (aHUS). *BMJ Open*. 2013 Nov 4;3(11):e003573. doi: 10.1136/bmjopen-2013-003573

Rondeau E, Scully M, Ariceta G, Barbour T, Cataland S, Heyne N, Miyakawa Y, Ortiz S, Swenson E, Vallee M, Yoon SS, Kavanagh D, Haller H; 311 Study Group. The long-acting C5 inhibitor, Ravulizumab, is effective and safe in adult patients with atypical hemolytic uremic syndrome naïve to complement inhibitor treatment. *Kidney Int*. 2020 Jun;97(6):1287-1296. doi: 10.1016/j.kint.2020.01.035. Epub 2020 Mar 6. Erratum in: *Kidney Int*. 2020 Dec;98(6):1621. doi: 10.1016/j.kint.2020.11.001. Erratum in: *Kidney Int*. 2021 May;99(5):1244. doi: 10.1016/j.kint.2021.03.008. PMID: 32299680.

Syed YY. Ravulizumab: A Review in Atypical Haemolytic Uraemic Syndrome. *Drugs*. 2021 Apr;81(5):587-594. doi: 10.1007/s40265-021-01481-6. Erratum in: *Drugs*. 2021 Apr;81(6):737. doi: 10.1007/s40265-021-01517-x. Erratum in: *Drugs*. 2021 Jul;81(11):1363-1364. doi: 10.1007/s40265-021-01563-5. PMID: 33738756; PMCID: PMC8052220.

Tomazos I, Hatswell AJ, Cataland S, Chen P, Freemantle N, Lommele Å, Deighton K, Knowles E, Sheerin NS, Rondeau E. Comparative efficacy of ravulizumab and eculizumab in the treatment of atypical hemolytic uremic syndrome: An indirect comparison using clinical trial data. *Clin Nephrol*. 2022 May;97(5):261-272. doi: 10.5414/CN110516. PMID: 34931610; PMCID: PMC9040196.

West EE, Woodruff T, Fremeaux-Bacchi V, Kemper C. Complement in human disease: approved and up-and-coming therapeutics. *Lancet*. 2024 Jan 27;403(10424):392-405. doi: 10.1016/S0140-6736(23)01524-6. Epub 2023 Nov 15. PMID: 37979593; PMCID: PMC10872502.

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://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.