

## **NOTA TÉCNICA Nº 1361-A/2021 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5027948-05.2021.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 24/07/2025
- 1.4. Data da Resposta: 05/09/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 09/10/2010 – 14 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: CID 10 G80 - Paralisia cerebral, CID 10 G40.5 - Síndrome de Dravet, CID 10 F84 - Transtorno do Espectro Autista, CID 10 F70 - Retardo Mental Leve.

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

**(...) parecer do NATJUS sobre o aumento de dose pleiteado - alteração na dosagem da medicação para 240 cápsulas ao mês.**

#### 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? |
|----------------|-----------------|--------------------|--------------------|--|-----------------------------|
| DIACOMIT 250MG | STIRIPENTOL     | NÃO                | NÃO                | <ul style="list-style-type: none"> <li>PELO COMPONENTE BÁSICO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA: ÁCIDO VALPROICO; CARBAMAZEPINA; CLONAZEPAM; FENITOÍNA; FENOBARBITAL</li> <li>PELO COMPONENTE ESPECIALIZADO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA: CLOBAZAM; ETOSSUXIMIDA; GABAPENTINA; LAMOTRIGINA; LEVETIRACETAM; PRIMIDOMA; TOPIRAMATO; VIGABATRINA.</li> </ul> | NÃO                         |

| Medicamento   | Marca Comercial | Laboratório | Apresentação   | PMVG                     | Dose     | Custo Anual*             |
|---|-----------------|-------------|--|--------------------------|----------|--------------------------|
| DIACOMIT  | DIACOMIT        | BIOCODEX    | FRASCO DE POLIPROPILENO COM SELO VEDANTE E TAMPA DE ROSCA EM POLIETILENO. FRASCOS DE 30, 60 E 90 CÁPSULAS EM EMBALAGEM EXTERIOR DE CARTÃO. | NÃO CONTA DA TABELA CMED | 08CP/DIA | NÃO CONTA DA TABELA CMED |
| <b>CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO</b> |                 |             |  |                          |          |                          |
| <b>MÉDICO PRESCRITOR</b>                                    |                 |             |  | <b>SAÚDE SUPLEMENTAR</b> |          |                          |

\* 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 agosto/2025 - Uma vez que se trata de medicamento importado, o custo está sujeito a variações cambiais e outros ônus de importação.

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

## **5. Discussão**

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

#### **Sobre a Epilepsia - Síndrome de Dravet**

A epilepsia é uma doença que se caracteriza por uma predisposição permanente do cérebro em originar crises epiléticas e pelas consequências neurobiológicas, cognitivas, psicológicas e sociais destas crises. A epilepsia está associada a uma maior mortalidade (risco de acidentes e traumas, crises prolongadas e morte súbita), a um risco aumentado de comorbidades psiquiátricas (sobretudo depressão e ansiedade) e também a inúmeros problemas psicossociais (perda da carteira de habilitação, desemprego, isolamento social, efeitos adversos dos fármacos, disfunção sexual e estigma social).

Uma crise epilética é a ocorrência transitória de sinais ou sintomas clínicos secundários a uma atividade neuronal anormal excessiva ou sincrônica. A definição de epilepsia requer a ocorrência de pelo menos uma crise epilética. do ponto de vista prático, a epilepsia pode ser definida por uma das seguintes condições:

- Ao menos duas crises não provocadas (ou reflexas) ocorrendo com intervalo maior que 24 horas;
- Uma crise não provocada (ou reflexa) e probabilidade de novas crises ocorrerem nos próximos 10 anos, similar ao risco de recorrência geral (pelo menos 60%) após duas crises não provocadas;
- Diagnóstico de uma síndrome epilética.

A definição de epilepsia refratária pode variar conforme o contexto clínico. Uma revisão sistemática que avaliou a definição e aspectos epidemiológicos identificou que, em um universo de 35 estudos de incidência, prevalência ou de identificação de fatores de risco, apenas quatro adotaram a definição da Liga Internacional Contra a Epilepsia (ILAE). O número de anticonvulsivantes que tiveram falha no tratamento, a avaliação de eventos adversos como causa da descontinuação do tratamento e o período adotado para avaliar a ausência de crises epiléticas foram algumas das características relacionadas à definição de epilepsia refratária que variaram entre os estudos clínicos.

Os principais fatores de risco para epilepsia refratária são: histórico de dano cerebral perinatal, presença de déficits neurológicos, menor idade, incapacidade intelectual, convulsões neonatais e variáveis relacionadas à inflamação e fatores epigenéticos. A resistência ao tratamento também pode ocorrer no contexto das encefalopatias epiléticas e de desenvolvimento, também conhecidas como síndromes epiléticas, como a de Lennox-Gastaut e de Dravet.

A síndrome de Dravet (SD), anteriormente chamada de epilepsia mioclônica grave da infância, refere-se a um tipo específico de epilepsia, cuja prevalência é de 3% dentro de todas as epilepsias diagnosticadas no primeiro ano de vida. Diferencia-se das demais

majoritariamente devido ao diagnóstico genético, comprometimento neurológico marcante e epilepsia refratária ao tratamento medicamentoso.

#### Tratamento geral da epilepsia:

O tratamento farmacológico junto com a educação em saúde são as bases para o tratamento integral à pessoa com epilepsia, portanto, dentro do campo de atuação da Atenção Básica, essencial para o acompanhamento de pessoas com doenças crônicas.

O controle das crises pode ser alcançado em 50% dos casos com as medicações disponíveis na Atenção Básica. O restante deve ser avaliado em conjunto com centros secundários, que podem controlar mais 20%; e os terciários especializados em epilepsia, que podem ampliar o controle em mais 10% dos casos com medicações. Para planejamento e definição dos parâmetros de atenção à pessoa com epilepsia é importante considerar algumas premissas.

A prevalência de epilepsia está entre 1 e 2% da população. O tratamento com as medicações antiepilépticas carbamazepina, fenobarbital, fenitoína e valproato em monoterapia e em dose adequada pode controlar as crises epiléticas em 50% dos casos. Um incremento no controle das crises de aproximadamente 20% pode ser obtido com duoterapia usando drogas de primeira geração ou com associação de drogas de segunda geração - topiramato, lamotrigina, gabapentina, clobazam ou clonazepam.

A chance de controlar as crises após o uso de dois antiepiléticos adequadamente escolhidos, tolerados e utilizados (em mono ou politerapia), é de 10%. Estas pessoas devem ser avaliadas quanto a outras terapias não farmacológicas e cirúrgicas.

Quanto ao tratamento não medicamentoso, há o tratamento cirúrgico. Há evidências de que a estimulação de nervo vago é uma alternativa terapêutica para populações adultas e pediátricas com epilepsia refratária a tratamento medicamentoso e cirúrgico. As indicações para uso do estimulador de nervo vago incluem:

- Pacientes que falharam no controle de crises mesmo após uso de duas drogas (primeira, segunda e terceira geração) em doses apropriadas e adequadamente selecionadas.
- Pacientes em que o tratamento cirúrgico foi contraindicado, após avaliação em centros terciários.
- Pacientes com status epilepticus superrefratário.

Os medicamentos anti-convulsivantes disponíveis no SUS incluem: ácido valproico (valproato de sódio); carbamazepina; clobazam; clonazepam, etossuximida; fenitoína; fenobarbital; gabapentina; lamotrigina, levetiracetam, primidona, topiramato, vigabatrina.

### **Sobre a tecnologia pleiteada:**

#### **STIRIPENTOL (DIACOMIT):**

O estiripentol é um medicamento antiepilético de amplo espectro com eficácia particular em Síndrome de Dravet (8). Ele atua como modulador alostérico positivo nos receptores GABA, inibe canais iônicos, como os canais de cálcio pós-sinápticos, pode alterar o metabolismo energético cerebral em neurônios e astrócitos ao inibir a lactato desidrogenase, além de atuar em interações farmacocinéticas com medicamentos antiepiléticos concomitantes, como o clobazam (CLB), ao inibir o citocromo P450 (CYP) (8).

Um dos principais ensaios clínicos sobre o uso de estiripentol para confirmar sua eficácia na Síndrome de Dravet ou em associação com clobazam e valproato foi realizado na França com 41 crianças entre 3 e 12 anos de idade com diagnóstico de SD em um estudo randomizado e controlado por placebo (9). Após um período basal de um mês, placebo (n=20) ou estiripentol (n=21) foi adicionado ao valproato e clobazam durante um período duplo-cego de dois meses. Os pacientes então receberam estiripentol de forma aberta. Os respondedores foram definidos como tendo mais de 50% de redução na frequência de convulsões clônicas (ou tônico-clônicas) durante o segundo mês do período duplo-cego em comparação com o basal. Após este período, 15 (71%) pacientes responderam ao estiripentol (incluindo nove livres de convulsões clônicas ou tônico-clônicas), enquanto houve apenas um (5%) no placebo (nenhum ficou livre de convulsões; estiripentol IC95% 52,1 a 90,7 vs placebo 0 a 14,6). A porcentagem de mudança em relação à linha de base foi maior no estiripentol (-69%) do que no placebo (+7%);  $P < 0,0001$ . Os 21 pacientes no estiripentol tiveram efeitos adversos moderados (sonolência, perda de apetite) em comparação com oito no placebo, mas os efeitos colaterais desapareceram quando a dose do medicamento foi diminuída em 12 dos 21 casos.

Uma primeira revisão sistemática avaliou o uso de estiripentol e outras terapias para o controle de crises epiléticas na Síndrome de Dravet (10). A revisão incluiu dois RCT avaliando o uso de STP (total de 64 crianças), sendo um dos estudos já descrito acima (9) e outro estudo foi descrito apenas como resumo (11). Nos dados agrupados, uma proporção significativamente maior de participantes teve redução de 50% ou mais na frequência de convulsões no grupo estiripentol em comparação com o grupo placebo (22/33 versus 2/31; RR 10,40, IC de 95% 2,64 a 40,87). Uma proporção significativamente maior de participantes ficou livre de convulsões no grupo estiripentol em comparação com o grupo placebo (12/33 versus 1/31; RR 7,93, IC de 95% 1,52 a 41,21). A qualidade da evidência foi classificada como baixa a moderada de acordo com os critérios GRADE, pois a maioria das informações é de estudos considerados com risco incerto de viés.

Já uma segunda revisão pesquisou especificamente sobre a eficácia e tolerabilidade do estiripentol como tratamento complementar para pessoas com epilepsia focal resistente a medicamentos, investigando como desfechos a redução de 50% ou mais na frequência de crises, ausência de crises, efeitos adversos, efeito da retirada do tratamento e mudanças na qualidade de vida (12). Foi incluído apenas um estudo com 32 crianças com diagnóstico de epilepsia focal que analisou a adição de estiripentol ao tratamento convencional com carbamazepina (13). Este estudo adotou um desenho enriquecido de respondedores e não encontrou nenhuma evidência clara de redução de 50% ou mais na frequência de crises (razão de risco (RR) 1,51; IC95% 0,81 a 2,82; evidência de baixa certeza) e nenhuma evidência de ausência de convulsões (RR 1,18; IC95% 0,31 a 4,43; evidência de baixa certeza) ao comparar estiripentol adicional com placebo. O estiripentol levou a um maior risco de efeitos adversos (RR 2,65; IC95% 1,08 a 6,47; evidência de baixa certeza). A validade externa deste estudo foi limitada porque apenas os respondedores ao estiripentol (ou seja, participantes que experimentaram uma diminuição na frequência de crises de 50% ou mais durante uma fase de pré-randomização aberta em comparação com a linha de base) foram incluídos na fase randomizada, complementar, controlada por placebo e duplo-cega. Além disso, os efeitos de troca de tratamento e retirada provavelmente influenciaram os resultados relacionados à frequência de crises. Informações muito limitadas derivadas do único estudo incluído mostram que os efeitos adversos considerados como um todo podem ocorrer com mais frequência com estiripentol complementar comparado ao uso de placebo.

O medicamento estiripentol não está registrado na ANVISA. Por isso, no Estado brasileiro, não há a possibilidade de circulação e/ou venda desse produto. Nesse sentido, não há uso aprovado para esse medicamento no Brasil. Outrossim, por não ser registrado na ANVISA, torna-se impossível ao País fiscalizar os requisitos mínimos que credenciam a utilização da medicação para uso humano, como a segurança, a eficácia e a qualidade da mesma.

Em agosto de 2018, o estiripentol foi aprovado pela Food and Drug Administration (FDA) dos EUA como terapia adjuvante para a Síndrome de Dravet

De acordo com a bula:

“A dose de estiripentol é calculada em mg/kg de peso do corpo.

A dose diária pode ser administrada em 2 ou 3 doses divididas.

O início da terapia adjuvante com estiripentol deve ser realizado gradualmente para cima utilizando um escalonamento ascendente da dose para alcançar a dose recomendada de 50 mg/kg/dia, administrado em combinação com clobazam e valproato.

O escalonamento de dosagem de estiripentol deve ser gradual, começando com 20mg/kg/dia durante 1 semana, depois 30mg/kg/dia durante mais 1 semana. O escalonamento adicional de dosagem está dependente da idade:

- Crianças com menos de 6 anos devem receber uns 20 mg/kg/dia adicionais na terceira semana, alcançando assim a dose recomendada de 50 mg/kg/dia em três semanas;
- Crianças de 6 a menos de 12 anos devem receber uns 10 mg/kg/dia adicionais a cada semana, alcançando assim a dose recomendada de 50 mg/kg/dia em quatro semanas;
- Crianças e adolescentes com 12 anos e mais velhos devem receber uns 5 mg/kg/dia adicionais a cada semana até que a dose ideal seja alcançada com base no parecer clínico.

A dose recomendada de 50 mg/kg/dia baseia-se nas conclusões do estudo clínico disponíveis e foi a única dose de Diacomit avaliada nos estudos principais (ver secção 5.1). Não se dispõe de dados de estudos clínicos que sustentem a segurança clínica de estiripentol administrado em doses diárias superiores a 50 mg/kg/dia. Não se dispõe de dados de estudos clínicos que suportem a utilização de estiripentol como monoterapia na síndrome de Dravet.”

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

Redução de crises tônico-clônicas quando utilizado em associação com clobazam e valproato.

## **6. Conclusão**

### 6.1. Parecer

- ( x ) Favorável – ajuste posológico do medicamento  
( ) Desfavorável

### 6.2. Conclusão Justificada

Trata-se de paciente de 14 anos, com doença que cursa com crises convulsivas graves que ameaçam sua vida.

Considerando que a síndrome de Dravet é uma doença grave e que pode trazer consequências sérias para os pacientes afetados;

Considerando que, de acordo com o relatório médico apresentado, o requerente já fez uso de diversas medicações anitoplépticas com efeitos colaterais graves e sem controle das crises;

Considerando que o paciente já recebe há alguns anos a medicação específica para sua doença, com melhora importante;

Considerando que o medicamento estiripentol parece reduzir o número de crises tônico-clônicas em crianças diagnosticadas com síndrome de Dravet, apesar de evidência disponível ainda limitada;

Considerando que a dose recomendada em bula é de 50 mg/kg/dia, baseada nas conclusões do estudo clínico disponíveis e tendo sido a única dose de Diacomit avaliada nos estudos principais;

Considerando o tempo decorrido desde a última prescrição e a faixa etária do paciente, é plausível supor que tenha ocorrido crescimento pondero estatural, o que pode impactar diretamente na eficácia da dose atualmente utilizada;

Concluimos FAVORAVELMENTE ao ajuste posológico do medicamento, com vistas à adequação terapêutica.

Ressalta-se, contudo, que o peso corporal atualizado não foi informado, o que limita a precisão do cálculo da dose ideal.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

( ) SIM, com potencial risco de vida

( x ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

( ) NÃO

## **7. Referências bibliográficas**

1. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Portaria Conjunta Nº 17, de 21 de junho de 2018. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Epilepsia. Brasília: Ministério da Saúde, 2018. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas-pcdt>.
2. Dravet syndrome: Genetics, clinical features, and diagnosis- UpToDate {Internet}
3. Frampton JE. Stiripentol: A Review in Dravet Syndrome. *Drugs*. 2019 Nov;79(16):1785-1796. doi: 10.1007/s40265-019-01204-y. PMID: 31617141.
4. Wirrell EC, Hood V, Knupp KG, Meskis MA, Nabbout R, Scheffer IE, et al. International consensus on diagnosis and management of Dravet syndrome. *Epilepsia*. julho de 2022;63(7):1761–77.
5. Delgado MR, Riel A, Mills J, Pitt A, Browne R. Discontinuation of antiepileptic drug treatment after two seizure-free years in children with cerebral palsy. *Pediatrics*. 1996;97(2):192–7.
6. Kwan P, Brodie MJ. Early identification of refractory epilepsy. *N Engl J Med*. 2000;342(5):314–9.
7. Pisanti S, Malfitano AM, Ciaglia E, Lamberti A, Ranieri R, Cuomo G, et al. Cannabidiol: State of the art and new challenges for therapeutic applications. *Pharmacol Ther*. 2017;175:133–50.

8. Wheless J, Weatherspoon S. Use of Stiripentol in Dravet Syndrome: A Guide for Clinicians. *Pediatr Neurol*. 1o de janeiro de 2025; 162:76–86.
9. Chiron C, Marchand MC, Tran A, Rey E, d’Athis P, Vincent J, et al. Stiripentol in severe myoclonic epilepsy in infancy: a randomised placebo-controlled syndrome-dedicated trial. STICLO study group. *Lancet Lond Engl*. 11 de novembro de 2000;356(9242):1638–42.
10. Brigo F, Igwe SC. Antiepileptic drugs for the treatment of infants with severe myoclonic epilepsy. *Cochrane Database Syst Rev*. 19 de outubro de 2015;(10):CD010483.
11. Guerrini R, Tonnelier S, d’Athis P, Rey E, Vincent J, Pons G. Stiripentol in severe myoclonic epilepsy in infancy (SMEI): a placebo-controlled Italian trial. *Epilepsia*. 2002;43(Suppl 8):155.
12. Brigo F, Igwe SC, Bragazzi NL. Stiripentol add-on therapy for drug-resistant focal epilepsy. *Cochrane Database Syst Rev*. 6 de setembro de 2022;9(9):CD009887.
13. Chiron C, Tonnelier S, Rey E, Brunet ML, Tran A, d’Athis P, et al. Stiripentol in childhood partial epilepsy: randomized placebo-controlled trial with enrichment and withdrawal design. *J Child Neurol*. junho de 2006;21(6):496–502.
14. Chiron C, Chemaly N, Chancharme L, Nabbout R. Initiating stiripentol before 2 years of age in patients with Dravet syndrome is safe and beneficial against status epilepticus. *Dev Med Child Neurol*. dezembro de 2023;65(12):1607–16.
15. Scottish Medicines Consortium [Internet]. [citado 12 de março de 2025]. stiripentol (Diacomit). Disponível em: <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/stiripentol/diacomit-resubmission-52408/>
16. Stiripentol (Diacomit): For Severe Myoclonic Epilepsy in Infancy (Dravet Syndrome) [Internet] [Internet]. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health; 2015 [citado 12 de março de 2025]. Disponível em: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK349333/>
17. Biocodex. Diacomit® (estiripentol) – bula para profissionais de saúde [Internet]. São Paulo: Biocodex Brasil; [data desconhecida] [acesso em 4 set. 2025]. Disponível em: [https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2014/20140623129026/anx\\_129026\\_pt.pdf](https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2014/20140623129026/anx_129026_pt.pdf)

## **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://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.

**PROTOS COLS 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, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.

**Equipe NAT-Jus/SP**