

NOTA TÉCNICA Nº 1505/2025- NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001840-94.2025.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 10/03/2025
- 1.4. Data da Resposta: 28.03.2025

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 06/02/2021 – 04 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística – CID E84

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;**
Sim.
- (b) **Impossibilidade de substituição por outro medicamento constante nas listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;**
O SUS fornece outros medicamentos para pacientes com a doença.
- (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;**
Medicamento tem comprovação (de alta qualidade) de eficácia e segurança para crianças a partir de 6 anos de idade. Há comprovação de segurança para crianças a partir de 6 anos de idade. Há recomendações internacionais atualizadas indicando o uso do medicamento a partir dos 2 anos de idade.
- (d) **imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado;**
Sim.

1.O(s) medicamento(s) requerido(s) é(são) o(s) fármaco(s) normalmente utilizado(s) no tratamento da doença de que padece o(a) autor(a)? Há quanto tempo o medicamento foi incorporado à terapêutica da doença de que padece o(a) autor(a) e com que resultados?

Existe PCDT específico sobre a condição que acomete a paciente. O medicamento está previsto no PCDT desde o ano passado para pacientes acima de 6 anos de idade com mutação no homozigótica F508del.

2.O(s) medicamento(s) pleiteado(s) é(são) fornecido(s) pelo SUS? Houve estudo de sua inclusão nas listas do SUS? Ele(s) é(são) substituível(is) por outro(s) fornecido(s) pelo SUS, com eficiência equivalente?

Sim, o medicamento está incluído no SUS. O PCDT prevê o medicamento alfadornase para crianças abaixo de 6 anos de idade.

3.Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde da autora em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do fármaco pretendido?

Trata-se de doença crônica. Os medicamentos procuram manter a função pulmonar e reduzir intercorrências respiratórias. Não foram encontrados ensaios clínicos com crianças menores de 6 anos de idade.

4.Referido medicamento, para a idade da requerente, é considerado experimental? Possui registro na Anvisa para utilização por crianças menores de 6 (seis) anos? Se negativa a resposta, há pedido de registro nesse sentido em andamento na Anvisa? Há registro do medicamento em renomadas agências estrangeiras? Quais?

Há registro na ANVISA.

5.O(s) fármaco(s) pleiteado(s) é(são) considerado(s) medicamento(s) órfão(s) para tratamento de doenças raras ou ultrarraras? Explicar.

Não.

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?
TRIKAFTA (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor). Comprimidos Revestidos. 2cps pela manhã, 1 cp à noite. F	Os mesmos	1382300050029	N	<p>Ivacaftor (Kalydeco): registro na ANVISA e avaliação favorável CONITEC;</p> <p>- Ivacaftor + Lumacaftor (Orkambi): registro na ANVISA e avaliação desfavorável pela CONITEC;</p> <p>- Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko): registro na ANVISA e avaliação desfavorável pela CONITEC;</p> <p>- Terapia tripla (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor = Trikafta) Com registro ANVISA. Sem avaliação CONITEC.</p> <p>De acordo como Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021) são previstos para tratamento: alfadornase, tobramicina, pancreatina, ivacaftor e transplante.</p>	N

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	Preço Máximo de venda ao Governo	Dose diária	Custo Anual
TRIKAFTA	O mesmo	VERTEX FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.	(100 + 50 + 75) MG COM REV + 150 MG COM REV CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 56 + 28	R\$ 84.440,97	Tomar 2 comprimidos LARANJAS (100MG/50 MG/75MG) pela manhã e um azul;	1.013.291,64

					(150MG) à noite, diariamente, junto com alimentação rica em gorduras.	
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO						
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE PÚBLICA		

RÉU: SAÚDE PÚBLICA

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa

4.3. Recomendações da CONITEC: Trikafta foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) e recebeu recomendação favorável à incorporação no SUS por trazer benefícios clínicos importantes, como a melhora da função pulmonar, do estado nutricional do paciente, com consequente redução das internações hospitalares, retirada do paciente da fila de transplante pulmonar e melhora da qualidade e expectativa de vida em agosto de 2023.

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A revisão da literatura realizada para elaboração do PCDT identificou que o medicamento foi estudado em ensaios clínicos que recrutaram crianças a partir de 6 anos de idade. Portanto, houve recomendação favorável para crianças acima de 6 anos de idade com fibrose cística com mutação F508del no gene CFTR.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O PCDT afirma o seguinte sobre análises orçamentárias e de eficácia.

O impacto orçamentário apresentado pelo demandante considerou a população com FC com > 6 anos projetados a partir dos dados do Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) de 2019 e considerou que 920 pacientes seriam elegíveis para o uso de ELX/TEZ/IVA no primeiro ano, totalizando 1.224 pacientes ao final de 5 anos. O estudo estimou um impacto orçamentário incremental variando de R\$ 354- 431 milhões por ano e de 1,99 bilhões em 5 anos, em relação ao cenário de referência com o tratamento padrão ou ivacaftor, sob o pressuposto de um compartilhamento de mercado de 54% até 74% em 5 anos, sobre a prevalência da população alvo no Brasil.

O medicamento foi incluído para crianças a partir dos 6 anos de idade provavelmente porque foi esta a população que foi especificamente estudada em ensaios clínicos de fase III e por uma previsão orçamentária com uma devida análise de custo-efetividade.

A Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health (CADTH) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. A Haute Autorité de Santé (HAS) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. O National Institute for Health and Care Excellence (NICE) foi favorável ao uso a partir dos 2 anos de idade.

A droga se mostra segura na população pediátrica, sendo possível identificar que crianças a partir de dois anos teriam segurança caso recebessem o medicamento. Há publicação que corrobora isso. Ao mesmo tempo, não haveria motivo para que o medicamento funcionasse somente a partir de uma determinada idade.

5.3. Parecer

() Favorável

() Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O medicamento é eficaz para a condição em questão e seguro na população pediátrica. Outros locais já sugerem seu uso a partir dos 2 anos de idade.

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:

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf

Goralski JL, Hoppe JE, Mall MA, et al. Phase 3 Open-Label Clinical Trial of Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in Children Aged 2-5 Years with Cystic Fibrosis and at Least One F508del Allele. *Am J Respir Crit Care Med.* 2023;208(1):59-67. doi:10.1164/rccm.202301-0084OC

https://www.has-sante.fr/jcms/p_3460538/fr/kaftrio-ivacaftor-/tezacaftor-/elexacafto-en-association-avec-kalydeco-mucoviscidose-2-ans-6-ans

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230906Relatorio844elexacaftor_tezacaftor_ivacaftor.pdf

<https://www.cda-amc.ca/elexacaftortezacaftorivacaftor-and-ivacaftor-1>

<https://www.nice.org.uk/guidance/ta988/resources/ivacaftortezacaftorelexacaftor-tezacaftorivacaftor-and-lumacaftorivacaftor-for-treating-cystic-fibrosis-pdf-82615917119173>

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.

PROTOS 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