

NOTA TÉCNICA Nº 1738/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5000895-44.2025.4.03.6703
1.3. Data da Solicitação: 25/02/2026
1.4. Data da Resposta: 04/03/2026
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 13/11/2015 – 10 anos
2.2. Sexo: Feminino
2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
2.4. Histórico da doença: Neoplasia maligna do encéfalo – CID C71.8

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

Desde já, seguem os quesitos apresentados pelo magistrado, já que o formulário veio previamente preenchido pela parte:

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

Não aplicável no momento, pois não há incorporação da tecnologia ao SUS.

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?

Até o momento, não existem ensaios clínicos randomizados de fase III demonstrando ganho de sobrevida global que modifiquem substancialmente o nível de evidência previamente disponível.

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

O tratamento padrão para a doença é radioterapia. Não há terapia sistêmica com benefício comprovado em sobrevida global incorporada ao SUS para esse subtipo molecular específico. Após radioterapia, as opções são limitadas e predominantemente paliativas.

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

Até o momento, a dordaviprona não possui aprovação regular pela ANVISA para glioma difuso de linha média H3K27M.

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

Não.

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

Sim, trata-se de uso não aprovado pela ANVISA para esta indicação.

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?

Não. Existem apenas estudos de fase I/II, não randomizados e sem grupo controle comparador.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS? Não há ensaios comparativos randomizados que demonstrem superioridade.

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Não há demonstração robusta de ganho de sobrevida global em ensaio clínico randomizado.

c) Ganho de sobrevida livre de progressão? Dados limitados e oriundos de estudos não comparativos.

d) Melhora de qualidade de vida mensurável? Não há evidência consistente proveniente de ensaios randomizados controlados demonstrando melhora significativa de qualidade de vida.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos? Aprovação acelerada pelo FDA em agosto de 2025.

b) Bula aprovada pela ANVISA? Não.

c) Literatura científica de qualidade? Há literatura preliminar (fase I/II), porém não de nível alto (fase III randomizado).

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

Não há comparação direta randomizada.



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

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

Não há dados comparativos diretos que permitam afirmar superioridade em relação à radioterapia isolada ou a outras abordagens paliativas.



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 / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
MODEYSO 125mg – 3cp, 1x/semana, por 12 meses	Dordaviprone	Não	Não	Conforme Cacon e Unacon	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
MODEYSO	MODEYSO	Não consta na tabela CMED				
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 - Referência 02/2026.

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

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A dordaviprona é um ativador da protease mitocondrial ClpP (mitochondrial caseinolytic protease P) e também atua como inibidor do receptor de dopamina D2 (DRD2). Os GDM's com mutação da histona H3 K27M estão associados à perda da trimetilação da H3 K27, evento epigenético que contribui para sua agressividade. A dordaviprona demonstrou, em modelos in vitro e in vivo, capacidade de restaurar essa modificação epigenética, induzir apoptose e exercer atividade antitumoral.

O medicamento dordaviprona é produzido pela Jazz Pharmaceuticals com registro recente no FDA, portanto ainda não tem registro junto a ANVISA e não é comercializado no Brasil.

Até o momento, não há ensaios clínicos randomizados de fase III, duplo-cegos, controlados, que demonstrem ganho de sobrevida global com dordaviprona em glioma difuso de linha média H3K27M. Os dados disponíveis decorrem predominantemente de estudos de fase I/II, de braço único, não comparativos.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Embora se trate de doença gravíssima e com poucas alternativas terapêuticas, a dordaviprona, até o momento, não dispõe de comprovação de eficácia baseada em ensaio clínico randomizado fase III com demonstração de ganho de sobrevida global.

A evidência disponível é preliminar e não permite afirmar, à luz da medicina baseada em evidências de alto nível, que o fármaco altere de maneira consistente o desfecho duro de sobrevida nessa população.

As evidências disponíveis são incertas e não demonstraram benefício suficiente para sustentar a indicação de dordaviprona para o tratamento de GDM. Além disso, o fato de não ter ainda registro junto a ANVISA o caracteriza como tratamento off-label.

Frente a incerteza de benefício incremental estimado; à estimativa de perfil de custo-efetividade desfavorável; ao alto impacto orçamentário mesmo em decisão isolada; e na ausência de registro junto à ANVISA e avaliação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, entendemos que se impõe o presente parecer desfavorável.

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

Arrillaga-Romany I, Gardner SL, Odia Y, Aguilera D, Allen JE, Batchelor T, Butowski N, Chen C, Cloughesy T, Cluster A, de Groot J, Dixit KS, Graber JJ, Haggiagi AM, Harrison RA, Kheradpour A, Kilburn LB, Kurz SC, Lu G, MacDonald TJ, Mehta M, Melemed AS, Nghiemphu PL, Ramage SC, Shonka N, Sumrall A, Tarapore RS, Taylor L, Umemura Y, Wen PY. ONC201 (Dordaviprone) in Recurrent H3 K27M-Mutant Diffuse Midline Glioma. J Clin Oncol. 2024 May 1;42(13):1542-1552. doi: 10.1200/JCO.23.01134. Epub 2024 Feb 9. PMID: 38335473; PMCID: PMC11095894.

Chi AS, Tarapore RS, Hall MD, Shonka N, Gardner S, Umemura Y, Sumrall A, Khatib Z, Mueller S, Kline C, Zaky W, Khatua S, Weathers SP, Odia Y, Niazi TN, Daghistani D, Cherrick I, Korones D, Karajannis MA, Kong XT, Minturn J, Waanders A, Arillaga-Romany I, Batchelor T, Wen PY, Merdinger K, Schalop L, Stogniew M, Allen JE, Oster W, Mehta MP. Pediatric and adult H3 K27M-mutant diffuse midline glioma treated with the selective DRD2 antagonist ONC201. J Neurooncol. 2019 Oct;145(1):97-105. doi: 10.1007/s11060-019-03271-3. Epub 2019 Aug 27. PMID: 31456142; PMCID: PMC7241441.

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://bvsmms.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.