

NOTA TÉCNICA Nº 2370/2026 - NAT-JUS/SP Elaborada com a utilização de IA e validada pela equipe técnica.

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000264-66.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 18/03/2026
- 1.4. Data da Resposta: 28/04/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento: 20/03/2007 - 19 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo /SP
- 2.4. Histórico da doença: CID G71 Distrofia Muscular de Duchenne

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

Considerando que o NatJus se destina exclusivamente à análise da relação entre doença, medicamento, procedimento ou produto sob a perspectiva da Medicina Baseada em Evidências, deixam-se de apreciar os quesitos que versem sobre circunstâncias particulares do caso concreto. Assim, passa-se à emissão da nota técnica, restrito aos limites de atuação deste núcleo, com base nas evidências científicas disponíveis



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?
Duvyzat 8,86mg - 5ml 2x ao dia	GIVINOSTAT	NÃO	NÃO	corticoides e reabilitação não farmacológicos	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
Duvyzat	DUVYZAT	ITF THERAPEUTICS.	Suspensão Oral 86 mg/mL	-	-	-
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 2.500.000,00		

* 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: () RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO (x) NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Paciente é descrito como portador de **Distrofia Muscular de Duchenne**, com evolução típica da doença:

- perda da deambulação (cadeirante);
- diminuição progressiva da força muscular;
- dependência para atividades de vida diária;
- função cardíaca preservada;
- restrição ventilatória moderada

Consta uso prévio de **corticosteroides**, reconhecidos como terapia padrão no SUS, com benefício limitado nesta fase avançada da doença, conforme descrito nos próprios relatórios médicos.

O **givinostat (Duvyzat®)** representa uma **terapia modificadora do curso da doença**, com evidência clínica de **redução do ritmo de progressão funcional** em pacientes com DMD, especialmente em fases mais precoces e ainda deambulantes.

Entretanto:

- o medicamento **não foi incorporado ao SUS** e **não há recomendação favorável da CONITEC**;
- os benefícios demonstrados são **modestos**, relacionados a desfechos funcionais intermediários;
- **não há comprovação de ganho de sobrevida global**;
- o impacto em pacientes **já cadeirantes é incerto**, não havendo evidência robusta específica para esse subgrupo;
- o custo é extremamente elevado, com impacto orçamentário relevante.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

O benefício esperado descrito é **potencial**, relacionado à modulação do curso da doença. Todavia, **não há comprovação documental**, nos autos, de:

- benefício clínico superior às opções disponíveis no SUS;
- impacto comprovado em sobrevida ou qualidade de vida mensurável;
- vantagem terapêutica clara em relação ao tratamento atualmente ofertado.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

- O **Duvyzat® (givinostat)** não está incorporado ao SUS;
- Não há recomendação favorável da CONITEC;
- Os benefícios clínicos demonstrados são **limitados e não incluem ganho de sobrevida**;
- A evidência é mais consistente para pacientes ainda deambulantes, não para fase avançada;
- O **custo anual extremamente elevado** compromete a relação custo-efetividade;
- Não se configuram critérios técnicos que justifiquem o fornecimento excepcional pelo SUS.

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

- Brasil. Ministério da Saúde. **Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – Distrofia Muscular de Duchenne**. Brasília: Ministério da Saúde.
- Bushby K, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy. *Lancet Neurol*. 2010;9(1):77-93.
- Mercuri E, Muntoni F. Muscular dystrophies. *Lancet*. 2013;381(9869):845-860.
- Bettica P, et al. Givinostat treatment in Duchenne muscular dystrophy: a randomized, double-blind, placebo-controlled phase III study. *Lancet Neurol*. 2024.
- U.S. Food and Drug Administration. **FDA approves givinostat for Duchenne muscular dystrophy**.

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.