

NOTA TÉCNICA Nº 4781/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5013313-77.2025.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 13/06/2025
- 1.4. Data da Resposta: 20/08/2025

2. Requerido:

SAÚDE PÚBLICA

3. Paciente

- 3.1. Data de Nascimento/Idade: 04/05/2006 – 19 anos
- 3.2. Sexo: Feminino
- 3.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 3.4. Histórico da doença: Polineuropatias inflamatórias – CID G61.8

4. 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.



5. Descrição da Tecnologia

5.1. 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?
VYVGART HYTRULO	EFGARTIGIMOD ALFA + HIALURONIDASE QVFC	Não	Não	Corticosteroides, Imunoglobulina endovenosa, plasmaférese, reabilitação	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
VYVGART HYTRULO	VYVGART HYTRULO	ARGENX E ZAI LAB	200 mg/mL de efgartigimod alfa e 2.000 U/mL de hialuronidase por seringa pré-cheia, ou 180 mg/mL de efgartigimod alfa e 2.000 U/mL de hialuronidase por frasco-ampola.	US\$ 15.723,11	1088mg effartigimod alfa e 11200 unid de hialuronidas e, adm semanalmente por via SC	-
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO						
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE PÚBLICA		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

5.2. Fonte do custo da tecnologia: <https://www.drugs.com/price-guide/vyvgart-hytrulo>.

5.3. Recomendações da CONITEC: Não avaliado

6. Discussão e Conclusão

6.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Efgartigimod alfa é um antagonista do receptor neonatal Fc (FcRn) que reduz seletivamente os níveis de IgG circulante, sendo uma estratégia racional para doenças autoimunes mediadas por IgG, como a polirradiculoneuropatia desmielinizante inflamatória crônica (CIDP) (Bussel, 2025; Yang, 2024).

Uma série de casos chinesa (Sun, 2025) relatou resposta clínica em todos os cinco pacientes tratados, com melhora em escalas funcionais (INCAT, I-RODS, MRC, NIS, TUG) e redução média de 43% nos níveis de IgG, além de perfil de segurança favorável em curto prazo. Dados de segurança agregados de ensaios clínicos em doenças autoimunes mediadas por IgG, incluindo CIDP, mostram que eventos adversos são geralmente leves a moderados, sem aumento de infecções graves ou descontinuação relacionada ao tratamento, mesmo com uso prolongado (Gwathmey, 2025). Em ensaio clínico de fase 2 (Allen, 2024) houve redução do risco de recidivas da CIDP.

As opções terapêuticas consagradas para CIDP incluem corticosteroides, imunoglobulina intravenosa (IVIg) e plasmaférese. Estas intervenções são respaldadas por décadas de uso clínico e evidências robustas de eficácia, sendo consideradas padrão-ouro no manejo inicial e de manutenção da doença. Imunossupressores como azatioprina, ciclofosfamida, micofenolato mofetil e rituximabe podem ser considerados em casos refratários, embora a evidência para esses agentes seja menos robusta e baseada em séries de casos ou estudos abertos, sendo que o efgartigimod vem sendo estudado para a doença, especialmente em casos graves e refratários a outras opções, como é o caso da paciente em tela.

6.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Melhora da funcionalidade e redução da probabilidade de recidivas.

6.3. Parecer : Não encontrado registro na ANVISA

() Favorável

(x) Desfavorável

6.4. Conclusão Justificada:

Existem evidências crescentes acerca do uso do medicamento para o tratamento da doença em questão. Entretanto, nas vias eletrônicas de busca do registro do medicamento na ANVISA, não foi encontrado registro válido.

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

6.5. Referências bibliográficas:

Allen JA, Lin J, Basta I, Dysgaard T, Eggers C, Guptill JT, Gwathmey KG, Hewamadduma C, Hofman E, Hussain YM, Kuwabara S, Le Masson G, Leypoldt F, Chang T, Lipowska M, Lowe M, Lauria G, Querol L, Simu MA, Suresh N, Tse A, Ulrichs P, Van Hoorick B, Yamasaki R, Lewis RA, van Doorn PA; ADHERE Study Group. Safety, tolerability, and efficacy of subcutaneous efgartigimod in patients with chronic inflammatory demyelinating polyradiculoneuropathy (ADHERE): a multicentre, randomised-withdrawal, double-blind, placebo-controlled, phase 2 trial. *Lancet Neurol.* 2024 Oct;23(10):1013-1024. doi: 10.1016/S1474-4422(24)00309-0. Erratum in: *Lancet Neurol.* 2025 May;24(5):e8.

Bussel JB, Cines DB, Blumberg RS. Neonatal Fc Receptor - Biology and Therapeutics. *N Engl J Med.* 2025 Apr 24;392(16):1621-1635

Gwathmey KG, Broome CM, Goebeler M, Murai H, Bata-Csörge Z, Newland AC, Allen JA, Miyakawa Y, Ulrichs P, Truyen L, Podhorna J, Kerstens R, Steeland S, Beauchamp J, Guptill JT, Howard JF Jr. Safety profile of efgartigimod from global clinical trials across multiple immunoglobulin G-mediated autoimmune diseases. *Expert Rev Clin Immunol.* 2025 May;21(5):627-638.

Sun C, Hu J, Zhao Y, Zheng Y, Meng Q, Luo S, Qiao K, Sun J, Lu J, Lin J, Zhao C. Short-term treatment of CIDP with efgartigimod: a case series in China. *Front Immunol.* 2025 May 1;16:1533167

Yang Y, Shen Z, Shi F, Wang F, Wen N. Efgartigimod as a novel FcRn inhibitor for autoimmune disease. *Neurol Sci.* 2024 Sep;45(9):4229-4241

6.6. 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.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravamento 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