

NOTA TÉCNICA Nº 4941/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5000818-98.2026.4.03.6703
1.3. Data da Solicitação: 18/06/2026
1.4. Data da Resposta: 23/06/2026
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 16/07/2020 – 5 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: Peruíbe/SP
2.4. Histórico da doença: Síndrome de Prader-Willi - CID-10: Q87

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

O escopo de trabalho da equipe do Nat-Jus/SP se refere exclusivamente a avaliação de evidências científicas sobre a realização de tratamentos e/ou fornecimento de medicamentos-insumos-procedimentos.

A avaliação de custo ou de cobertura contratual diz com a acordado entre as partes, não sendo essa equipe técnica apta a fornecer parecer a esse respeito.

Atenciosamente



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?
SILDENAFILA 50mg	CITRATO DE SILDENAFILA	1004704790112	SIM	Pertence ao Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF, conforme PCDT Esclerose Sistêmica. Grupo de financiamento 1A.	SIM
TOPIRAMATO 25mg	TOPIRAMATO	1004309590051	SIM	Pertence ao Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF, conforme PCDT Epilepsia. Grupo de financiamento 2.	SIM
VITAMINA D 1.000 UI/gota	COLECALCIFEROL	1558405170334	NÃO	Carbonato de cálcio 600mg + colecalciferol 400UI	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
SILDENAFILA 50mg	CITRATO DE SILDENAFILA	SANDOZ DO BRASIL INDÚSTRIA FARMACÊUTICA LTDA	50 MG COM CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 8	R\$ 19,95	03 cp. ao dia	R\$ 2.733,15
TOPIRAMATO 25mg	AMATO	EUROFARMA LABORATORIOS S.A.	25 MG COM REV CT BL AL AL X 30	R\$ 15,44	01 cp. ao dia (2 meses)	R\$ 30,88
VITAMINA D 1.000 UI/gota	DROPY-D	BRAINFARMA INDÚSTRIA QUÍMICA E FARMACÊUTICA S.A.	10000 UI/ML SOL OR CT FR VD AMB X 10ML	R\$ 51,42	02 gotas ao dia	R\$ 205,68
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 2.969,71		

* 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 junho/2026.

4.3. Recomendações da CONITEC:

- Sildenafil: Não avaliado para o quadro clínico do autor.
- Topiramato: Não avaliado.
- Vitamina D (colecalciferol): Não avaliado.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Sobre a Síndrome de Prader-Willi (SPW)

A Síndrome de Prader-Willi (SPW) é uma doença neurogenética rara causada pela perda de função dos genes de origem paterna no segmento 15q11-q13 do cromossomo 15. É considerada a principal causa genética de obesidade e afeta igualmente meninos e meninas de todas as etnias.

A SPW acomete aproximadamente 1 em cada 15.000 a 30.000 nascidos vivos em todo o mundo. No Brasil, estima-se que existam milhares de pessoas com a síndrome, muitas ainda sem diagnóstico definitivo. É um erro genético que ocorre na concepção — não é hereditário na maioria dos casos e não está relacionado a ações dos pais durante a gestação.

A SPW é um distúrbio complexo e multissistêmico caracterizado por hipotonia neonatal com baixa sucção e baixo ganho quando não há suporte nutricional, atraso no desenvolvimento, comprometimento cognitivo leve, hipogonadismo levando à hipoplasia genital e insuficiência puberal, baixa estatura se não tratada com hormônio do crescimento (GH), obesidade infantil se a compulsão alimentar não for tratada, achados comportamentais e, tipicamente, aparência facial característica. Características menos frequentes, mas comuns, incluem diminuição dos movimentos fetais, mãos e/ou pés pequenos, hipopigmentação em comparação com os familiares do indivíduo afetado, comportamento de cutucar a pele, estrabismo e anormalidades na acuidade visual, distúrbios do sono (incluindo sonolência diurna e, às vezes, apneia do sono), saliva espessa e viscosa e diferenças na articulação. Há alguma variabilidade nos achados clínicos dependendo da causa molecular da SPW.

Pacientes com SPW apresentam risco aumentado de complicações cardiovasculares, incluindo insuficiência cardíaca, tromboembolismo venoso, embolia pulmonar e doença cardíaca coronariana. A mortalidade é significativamente elevada, com idade média de óbito aos 42 anos, sendo que metade das mortes está relacionada à obesidade e causas cardiopulmonares.

Além disso, distúrbios respiratórios do sono são extremamente prevalentes na SPW (53-80% dos casos), incluindo apneia obstrutiva do sono, apneia central e hipoventilação alveolar. A hipoventilação crônica, combinada com hipotonia muscular, disfunção hipotalâmica e possível doença pulmonar restritiva secundária à escoliose, pode predispor ao desenvolvimento de hipertensão pulmonar.

Sobre o Topiramato

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Antiepiléticos (anticonvulsivantes).

b. Indicações

O medicamento topiramato é indicado, em monoterapia, tanto em pacientes com epilepsia recentemente diagnosticada como em pacientes que recebiam terapia adjuvante e serão convertidos à monoterapia. Além disso, é indicado para adultos e crianças, como adjuvante no tratamento de crises epiléticas parciais, com ou sem generalização secundária e crises tônico-clônicas generalizadas primárias; como adjuvante no tratamento das crises associadas à Síndrome de Lennox-Gastaut; e, em adultos, como tratamento profilático da enxaqueca.

c. Informações sobre o medicamento

Topiramato é um anticonvulsivante com amplo potencial de ação. Entre seus efeitos estão a potencialização da atividade do GABA (Gamma-AminoButyric Acid), a diminuição da atividade dos canais de cálcio sensíveis à voltagem, a inibição da anidrase carbônica e o antagonismo da atividade do glutamato nos receptores não-NMDA (N-metil-D-aspartato). Alguma eficácia da adição do topiramato em pacientes com história de má resposta a outros estabilizadores do humor, inclusive em casos de ciclagem rápida foi observada em estudos abertos. Não é medicação de primeira linha para tratamento do transtorno bipolar. Existem outras medicações disponíveis pelo SUS e contempladas no PCDT de transtorno bipolar do Ministério da Saúde. Topiramato é disponível pelo SUS para tratamento de epilepsia.

O medicamento topiramato está padronizado pelo Ministério da Saúde para o tratamento da Epilepsia - CID10 G40.0, G40.1, G40.2, G40.3, G40.4, G40.5, G40.6, G40.7 e G40.8, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), nas apresentações de 25 mg, 50 mg e 100 mg (comprimido), sendo necessário o preenchimento dos critérios de inclusão definidos pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – PCDT da doença.

Cabe ao paciente a responsabilidade de buscar atendimento pela via administrativa por meio do CEAF e atender as exigências preconizadas no PCDT (exames, documentos, receita, termo de consentimento e laudo médico, entre outros). Os documentos serão analisados por técnicos da SES e, estando de acordo com o protocolo, os medicamentos serão disponibilizados e entregues para o paciente na sua respectiva unidade de saúde, conforme o tempo previsto para cada tratamento.

d. Informações sobre o financiamento

O medicamento topiramato pertence ao Grupo 2 do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF). O financiamento e distribuição dos medicamentos que compõem o grupo 2 é de responsabilidade das Secretarias de Estado da Saúde.

Independentemente do Grupo, o fornecimento de medicamentos padronizados no CEAF deve obedecer aos critérios de diagnóstico, indicação de tratamento, inclusão e exclusão de pacientes, esquemas terapêuticos, monitoramento, acompanhamento e

demais parâmetros contidos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), estabelecidos pelo Ministério da Saúde, de abrangência nacional.

Sobre a Vitamina D (colecalfiferol)

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC):

Vitaminas.

b. Indicações:

O medicamento colecalfiferol refere-se à vitamina D. Está indicado como suplemento vitamínico em dietas restritivas e inadequadas, sendo utilizado na prevenção e no tratamento auxiliar na desmineralização óssea pré e pós menopausa, e na prevenção de raquitismo

c. Informações sobre o medicamento

O medicamento colecalfiferol não pertence ao elenco da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME (2024), que contempla os medicamentos e insumos disponíveis no SUS. Também não se encontra na lista de medicamentos padronizados do Ministério da Saúde, não existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

Sobre a Sildenafil

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Vasodilatadores.

b. Indicações

O medicamento sildenafil está indicado para:

- tratamento da hipertensão arterial pulmonar (HAP);
- tratamento da disfunção erétil, que se entende como sendo a incapacidade de atingir ou manter uma ereção suficiente para um desempenho sexual satisfatório.

c. Informações sobre o medicamento

A sildenafil é um inibidor potente e seletivo da fosfodiesterase do tipo 5 (PDE-5), enzima responsável pela degradação do monofosfato de guanosina cíclico (cGMP). Ao bloquear a PDE-5, o medicamento promove o acúmulo de cGMP na musculatura lisa vascular. Isso resulta no relaxamento muscular e na consequente vasodilatação do leito arterial pulmonar.

A ação vasodilatadora seletiva reduz significativamente a Resistência Vascular Pulmonar (RVP), diminuindo a sobrecarga de trabalho do ventrículo direito sem causar hipotensão sistêmica periférica severa.

O aumento crônico dos níveis de cGMP ajuda a inibir a hipertrofia e a proliferação celular na parede das artérias pulmonares, auxiliando no controle do remodelamento vascular.

O medicamento sildenafil está padronizado pelo Ministério da Saúde para o tratamento da Esclerose Sistêmica - CID10 M34.0, M34.1, M34.8, nas apresentações de 25 mg e 50 mg (comprimido) e para o tratamento da Hipertensão Pulmonar - CID10 I27.0, I27.2, I27.8, na apresentação de 20 mg (comprimido), por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), sendo necessário o preenchimento dos critérios de inclusão definidos pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas – PCDT da doença.

Cabe ao paciente a responsabilidade de buscar atendimento pela via administrativa por meio do CEAF e atender as exigências preconizadas no PCDT (exames, documentos, receita, termo de consentimento e laudo médico, entre outros). Os documentos serão analisados por técnicos da SES/SC e, estando de acordo com o protocolo, os medicamentos serão disponibilizados e entregues para o paciente na sua respectiva unidade de saúde, conforme o tempo previsto para cada tratamento.

d. Informações sobre o financiamento

O medicamento sildenafil pertence ao Grupo 1A do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF). A aquisição dos medicamentos que compõem o grupo 1A é de responsabilidade exclusiva da União.

O Grupo 1 (1A e 1B) é constituído por medicamentos que representam elevado impacto financeiro para o Componente, por aqueles indicados para doenças mais complexas, para os casos de refratariedade ou intolerância a primeira e/ou segunda linha de tratamento e por aqueles que se incluem em ações de desenvolvimento produtivo no complexo industrial da saúde.

A responsabilidade pelo armazenamento, distribuição e dispensação dos medicamentos do Grupo 1 (1A e 1B) é das Secretarias Estaduais de Saúde. Independentemente do Grupo, o fornecimento de medicamentos padronizados no CEAF deve obedecer aos critérios de diagnóstico, indicação de tratamento, inclusão e exclusão de pacientes, esquemas terapêuticos, monitoramento, acompanhamento e demais parâmetros contidos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), estabelecidos pelo Ministério da Saúde, de abrangência nacional.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Gestão e controle das manifestações clínicas apresentadas pelo paciente decorrentes da Síndrome de Prader-Willi.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Trata-se de criança do sexo masculino, 5 anos de idade, em acompanhamento no Centro de Genética Médica da Universidade Federal de São Paulo – Escola Paulista de Medicina, com histórico de hipotonia, atraso de desenvolvimento neuropsicomotor associados a dismorfismos faciais e obesidade. Apresenta cardiopatia dilatada, atualmente dependente de oxigênio contínuo por cateter nasal. Em investigação para confirmação do diagnóstico de Síndrome de Prader-Willi.

A Síndrome de Prader-Willi (SPW) é uma doença neurogenética rara, portanto, não consta como indicação nas bulas dos medicamentos solicitados, a prescrição é baseada no mecanismo de ação do medicamento e nos achados clínicos do paciente.

O medicamento **topiramato** é indicado para controle do comportamento de cutucada de pele e da mucosa, frequentemente deixando feridas crônicas abertas, é uma das questões mais difíceis. Cutucar o nariz, reto ou vagina é comum e muitas vezes desconhecido pelos cuidadores. A cutucada pode resultar em alterações pigmentares, cicatrizes e infecções.

A incidência de osteopenia e osteoporose aumenta em indivíduos com SPW. A frequência de fraturas ósseas, especialmente de ossos longos, parece ter aumentado, embora nenhum estudo bem elaborado tenha sido publicado. A **suplementação de cálcio e vitamina D** é indicada para evitar a osteopenia e osteoporose.

Pacientes com SPW apresentam risco aumentado de complicações cardiovasculares, incluindo insuficiência cardíaca, tromboembolismo venoso, embolia pulmonar e doença cardíaca coronariana. Além disso, distúrbios respiratórios do sono são extremamente prevalentes na SPW (53-80% dos casos), incluindo apneia obstrutiva do sono, apneia central e hipoventilação alveolar. A **sildenafil** é indicada para tratamento de hipertensão pulmonar secundária a hipoventilação crônica, distúrbios respiratórios do sono ou complicações cardiovasculares, no caso em tela o autor apresenta cardiopatia dilatada, é dependente de oxigênio e faz uso de mecanismo de ventilação não invasiva (BiPAP).

Portanto este NATJUS manifesta-se **FAVORÁVEL** à demanda, ressaltando que o medicamento **vitamina D (colecalfiferol) 1.000UI/gota** (não incorporado) pode ser substituído pelo medicamento **Carbonato de cálcio 600mg + colecalfiferol 400UI** que pertence ao CBAF.

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

1. Driscoll DJ, Miller JL, Cassidy SB. Prader-Willi Syndrome. 1998 Oct 6 [Updated 2026 Feb 19]. In: Adam MP, Bick S, Mirzaa GM, et al., editors. GeneReviews® [Internet]. Seattle (WA): University of Washington, Seattle; 1993-2026. Available from: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1330/>
2. Associação Brasileira da Síndrome de Prader-Willi. Síndrome de Prader-Willi (SPW): o que é, sintomas, fases e tratamento [Internet]. São Paulo: SPW Brasil; [2026]. Disponível em: <https://spwbrasil.org.br/sindrome>
3. Giesecke J, Oskarsson A, Petersson M, Nordenvall AS, Tettamanti G, Nordgren A, et al. Comorbidities, Endocrine Medications, and Mortality in Prader-Willi Syndrome-a Swedish Register Study. J Clin Med [Internet]. 2025. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40004838/>
4. Chen C, Ioan I, Thieux M, Nicolino M, Franco P, Coutier L, et al. Hypoventilation in patients with Prader-Willi syndrome across the pediatric age. Pediatr Pulmonol [Internet]. 2024. Disponível em: <https://publications.ersnet.org/content/eri/62/suppl67/pa1888>
5. Hedgeman E, Ulrichsen SP, Carter S, et al. Long-Term Health Outcomes in Patients With Prader-Willi Syndrome: A Nationwide Cohort Study in Denmark. Int J Obes [Internet]. 2017. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/28163011/>
6. Pellikaan K, Rosenberg AGW, Kattentidt-Mouravieva AA, Kersseboom R, Bos-Roubos AG, Veen-Roelofs JMC, et al. Missed Diagnoses and Health Problems in Adults With Prader-Willi Syndrome: Recommendations for Screening and Treatment. J Clin Endocrinol Metab [Internet]. 2020. Disponível em: <https://academic.oup.com/jcem/article/105/12/e4671/5900721>
7. Pavone M, Caldarelli V, Khirani S, et al. Sleep disordered breathing in patients with Prader-Willi syndrome: A multicenter study. Pediatr Pulmonol [Internet]. 2015. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/25132204/>
8. Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME 2024. Brasília: Ministério da Saúde, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/centrais-de-conteudo/biblioteca-virtual/renome-2024>

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 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.



A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.