

NOTA TÉCNICA Nº 5528/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5005957-71.2025.4.03.6119
1.3. Data da Solicitação: 16/07/2025
1.4. Data da Resposta: 16/09/2025
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 11/12/2015 – 09 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
2.4. Histórico da doença: Distrofia muscular de Duchenne – CID G71.01

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

1. Existe registro na ANVISA do medicamento ATALUREN (TRANSLARNA®)?
Sim.
2. O medicamento ATALUREN (TRANSLARNA®) é eficaz para o tratamento de DISTROFIA MUSCULAR PROGRESSIVA DO TIPO DUCHENNE (CID 11 8C 70.1)?
Não se pode afirmar isso.
3. Com base nos documentos trazidos pela parte autora, é possível afirmar que há necessidade do tratamento com o medicamento 93 saches de 125mg e 155 saches de 250mg ao mês de ATALUREN (TRANSLARNA®)? Por quanto tempo?
Considerar resposta do item 2.
4. Se for possível aguardar o fornecimento dos medicamentos indicados, e possível precisar por quanto tempo sem que haja piora no seu quadro de saúde?
Considerar resposta do item 2.
5. Caso não seja realizado o tratamento em prazo inferior a 180 dias, quais os riscos para a saúde do paciente?
Considerar resposta do item 2.
6. Caso não seja iniciado o tratamento em tempo oportuno, quais os riscos para a saúde de terceiros, considerando as possibilidades de transmissão?
Considerar resposta do item 2.
7. Existe tratamento alternativo ao ATALUREN (TRANSLARNA®) no SUS para a moléstia que acomete a parte autora?
Dentre os possíveis medicamentos disponibilizados pelo SUS para o tratamento sintomático das manifestações da DMD, encontram-se os corticosteroides (prednisona e fosfato sódico de prednisolona), com a finalidade de retardar a progressão da perda de força e função da musculatura esquelética; os inibidores da enzima de conversão da angiotensina (captopril, maleato de enalapril, succinato e

tartarato de metoprolol), os betabloqueadores (atenolol, cloridrato de dobutamina e cloridrato de propranolol), os diuréticos (acetazolamida, espironolactona e furosemida) e os anticoagulantes (heparina sódica e varfarina sódica), para auxiliar na função cardiovascular, e o antagonista dos receptores histamínicos H2 (cloridrato de ranitidina), para os pacientes com refluxo gastroesofágico, por meio do Componente Básico da Assistência Farmacêutica Terapias de suporte como fisioterapia, fornecimento de órteses, cadeiras de rodas e ventiladores mecânicos para uso em domicílio.

8. Os exames trazidos são suficientes para diagnosticar as doenças indicadas no item 2?

Sim.



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?
TRANSLARNA – ATALURENO 125mg	Atalureno	1577000010011	NÃO	- corticosteroides (prednisona e fosfato sódico de prednisolona), com a finalidade de retardar a progressão da perda de força e função da musculatura esquelética, - inibidores da enzima de conversão da angiotensina (captopril, maleato de enalapril, succinato e tartarato de metoprolol), os betabloqueadores (atenolol, cloridrato de dobutamina e cloridrato de propranolol), os diuréticos (acetazolamida, espironolactona e furosemida) e os anticoagulantes (heparina sódica e varfarina sódica), para auxiliar na função cardiovascular, - antagonista dos receptores histamínicos H2 (cloridrato de ranitidina), para os pacientes com refluxo gastroesofágico, (Componente Básico da Assistência Farmacêutica)	NÃO
TRANSLARNA - ATALURENO 250mg	Atalureno	1577000010028	NÃO		NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	Preço Máximo de venda ao Governo	Dose diária	Custo Anual
TRANSLARNA 125 MG	TRANSLARNA	PTC FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.	125 MG GRAN SUS OR CT 30 ENV AL	R\$ 16.184,10	1 sachê de 125mg e 1 sachês de 250mg à noite	R\$ 388.418,4
TRANSLARNA 250 MG	TRANSLARNA	PTC FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.	250 MG GRAN SUS OR CT 30 ENV AL	R\$ 32.368,46	1 sachê e 125mg e 3 sachês de 250mg à noite	R\$ 1.553.686,08
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO						R\$ 1.942.104,48
MÉDICO PRESCRITOR			SAÚDE SUPLEMENTAR			

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Súmula Vinculante nº60 do STF.



4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência setembro/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: Não foi avaliado pela CONITEC o uso do atalureno para incorporação pelo SUS. A CONITEC publicou documento, em dezembro de 2018, citando-o no rol de monitoramento do horizonte tecnológico, com possibilidade de melhora apenas de alguns sintomas da doença.

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Sobre a Distrofia Muscular de Duchenne (DMD)

A distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma desordem genética progressiva que causa enfraquecimento e perda de tecido muscular. É uma das muitas formas de distrofia muscular, mas é a mais comum e severa, e é caracterizada pelo rápido progresso dos sintomas. A DMD afeta principalmente meninos, e os sintomas geralmente começam a se manifestar entre os 3 e 5 anos de idade.

A DMD é causada por mutações no gene que produz a distrofina, uma proteína essencial para a saúde e funcionamento das fibras musculares. A ausência ou deficiência de distrofina faz com que as fibras musculares se tornem frágeis e se danifiquem facilmente.

Sintomas:

- Fraqueza muscular progressiva que começa, geralmente, nos músculos do quadril, pélvis, coxas e ombros.
- Dificuldade em levantar-se do chão, correr ou subir escadas.
- Aumento do tamanho dos músculos da panturrilha devido ao tecido fibroso e gorduroso substituindo o músculo perdido (pseudohipertrofia).
- Caminhar na ponta dos pés.
- Contraturas musculares que limitam a flexibilidade.
- Dificuldades respiratórias à medida que a doença progride, devido ao envolvimento dos músculos respiratórios.
- Complicações cardíacas, incluindo cardiomiopatia.

A maioria das crianças com DMD começa a mostrar sintomas antes dos 6 anos de idade. Muitos precisarão de uma cadeira de rodas antes dos 12 anos de idade. À medida que a doença avança, os indivíduos podem desenvolver dificuldades respiratórias e cardíacas, o que pode ser fatal, geralmente na segunda ou terceira década de vida.

O diagnóstico da DMD pode envolver uma combinação de exame físico, exames de sangue (incluindo níveis elevados de uma enzima chamada creatina quinase), biópsia muscular, e testes genéticos para identificar mutações no gene da distrofina.

Tratamentos:

Várias terapias que podem retardar a progressão da doença ou prolongar a sobrevivência estão disponíveis para pacientes com DMD (Gloss et al., 2016; Mackenzie et al., 2021). O tratamento com corticosteroides, padrão de cuidado em DMD, visa tratar os sintomas da DMD e retardar a progressão da doença; no entanto, o uso prolongado de

corticosteroides está associado a efeitos colaterais significativos, incluindo ganho excessivo de peso, crescimento retardado e osteoporose (Gloss et al., 2016; Kourakis et al., 2021). Além disso, esse tratamento é apenas paliativo e não aborda a ausência da proteína distrofina funcional, a causa subjacente desta doença (Kourakis et al., 2021). Embora existam várias terapias de exon-skipping aprovadas, menos de 30% de todos os pacientes com DMD têm mutações que são susceptíveis a esses tratamentos. Além disso, essas modalidades, embora modifiquem a doença, requerem administração crônica e vitalícia.

Dentre os possíveis medicamentos disponibilizados pelo SUS para o tratamento sintomático das manifestações da DMD, encontram-se os corticosteroides (prednisona e fosfato sódico de prednisolona), com a finalidade de retardar a progressão da perda de força e função da musculatura esquelética; os inibidores da enzima de conversão da angiotensina (captopril, maleato de enalapril, succinato e tartarato de metoprolol), os betabloqueadores (atenolol, cloridrato de dobutamina e cloridrato de propranolol), os diuréticos (acetazolamida, espironolactona e furosemida) e os anticoagulantes (heparina sódica e varfarina sódica), para auxiliar na função cardiovascular, e o antagonista dos receptores histamínicos H2 (cloridrato de ranitidina), para os pacientes com refluxo gastroesofágico, por meio do Componente Básico da Assistência Farmacêutica. Terapias de suporte como fisioterapia, fornecimento de órteses, cadeiras de rodas e ventiladores mecânicos para uso em domicílio

Terapia gênica

Na terapia gênica para DMD, o objetivo é introduzir uma versão funcional (embora frequentemente mais curta) do gene da distrofina nas células musculares dos pacientes. Como o gene da distrofina é um dos maiores genes do genoma humano, muitas vezes é desafiador introduzir uma cópia completa do gene em vetores virais. Por isso, versões mais curtas (ou "microdistrofinas") são frequentemente usadas. Estas são versões truncadas do gene da distrofina que ainda podem produzir uma proteína parcialmente funcional. O objetivo deste tratamento é abordar a causa subjacente da DMD através da expressão direcionada da distrofina SRP-9001, uma proteína distrofina encurtada que mantém os principais domínios funcionais da proteína do tipo selvagem, no músculo esquelético e cardíaco.

A terapia gênica para DMD geralmente envolve o uso de vetores virais (como o AAV, ou vírus adeno-associado) para entregar o gene terapêutico às células musculares. Uma vez introduzida, a esperança é que as células musculares produzam a microdistrofina, restaurando parcialmente a função muscular e retardando ou até mesmo parando a progressão da doença.

É uma terapia genética baseada em vetor viral adeno-associado recombinante (rAAV), projetada para compensar a falta de distrofina na DMD, entregando um transgene que

codifica a micro-distrofina delandistrogene moxeparvovec, uma proteína projetada que retém domínios funcionais chave da distrofina do tipo selvagem.

Estudos pré-clínicos em animais demonstraram segurança e eficácia após a administração sistêmica de delandistrogene moxeparvovec, apoiando a iniciativa de ensaios clínicos da Fase 1 (Potter et al., 2021). SRP-9001-101 (Estudo 101; NCT03375164), um ensaio de Fase 1/2a de delandistrogene moxeparvovec em quatro pacientes com DMD, demonstrou um perfil de segurança favorável e expressão robusta de proteína. Melhoria sustentada e subsequente estabilização da função motora, medida usando a Avaliação Ambulatória North Star (NSAA), uma escala funcional específica utilizada para avaliar habilidades motoras, e testes de função cronometrados, foram observadas 4 anos após o tratamento em pacientes com uma idade média de 9,2 anos, quando um declínio acentuado na função motora seria previsto com base na história natural.

Atalureno

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Outros medicamentos para transtornos do sistema músculo-esquelético.

b. Indicações

O medicamento atalureno é indicado para o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne resultante de uma mutação sem sentido (nonsense) no gene da distrofina (DMDmn) em pacientes de ambulatórios pediátricos a partir dos 5 anos de idade do sexo masculino. A presença de uma mutação sem sentido no gene da distrofina deve ser determinada por testes genéticos.

c. Informações sobre o medicamento

O medicamento atalureno 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.

Informações adicionais: O medicamento atalureno para distrofia muscular de Duchenne, encontra-se entre as tecnologias analisadas pelo Monitoramento do Horizonte Tecnológico (MHT), na Conitec

O atalureno permite a leitura ribossômica do RNAm que contém um códon de parada prematuro (que ocasiona a doença ao terminar a tradução antes de ser gerada uma proteína de comprimento completo), o que resulta na produção de uma proteína de comprimento completo. A atividade de atalureno é seletiva para a leitura do códon de terminação prematura, sem afetar os códons de terminação normal; acredita-se que esta seletividade é resultante de diferenças na estrutura do RNAm e no ambiente na

proximidade de um códon de terminação normal versus um códon de terminação prematura.

Bushby et al (2014) conduziram um ECR, de fase IIb, multicêntrico, duplo-cego, comparando a eficácia e a segurança de ataluren com placebo, em pacientes com distrofia muscular de Duchenne. Foram incluídos 174 pacientes do sexo masculino, com idade igual ou superior a cinco anos, dos quais 57 foram direcionados para placebo, 57 para ataluren em uma dose diária de 40mg/kg e 60 para ataluren em uma dose diária de 80mg/kg. Dos 174 pacientes, 124 (71%) estavam recebendo glicocorticoides, as alterações nos regimes destes medicamentos foram mínimas e nenhum paciente interrompeu o uso de glicocorticoides durante o estudo. O desfecho primário foi a distância de caminhada de 6 minutos (6MWD). Os desfechos secundários medidos foram à alteração na função muscular proximal e alteração na força exercida durante a flexão e extensão do joelho. Além da qualidade de vida, avaliada pelo Inventário de Qualidade de Vida Pediátrica (PedsQL). Observaram-se declínios médios na 6MWD em 48 semanas de 42,6 e 12,9 metros para o placebo e para o ataluren 40mg/kg/dia, respectivamente ($\Delta = 29,7$ metros; $p = 0,149$). A hipótese do estudo era que a mudança média na 6MWD da linha de base para 48 semanas seria 30 metros melhor em pelo menos um braço de ataluren versus placebo. Na população ITT corrigida, em uma análise post hoc, foram observados declínios médios na 6MWD na semana 48 de 44,1 e 12,8 metros para o placebo e para o ataluren 40mg/kg/dia, respectivamente ($\Delta = 31,3$ metros; $p = 0,056$). A diferença na variação média na 6MWD desde a linha de base até a semana 48 entre placebo e ataluren na dose de 80mg/kg/dia não foi significativa. Os desfechos secundários (testes de função temporizada) mostraram diferenças significativas entre ataluren 40mg/kg/dia e placebo. As medidas de desfecho secundárias não relacionadas ao funcionamento físico não mostraram diferença entre o ataluren e o placebo.

Ensaio clínico de fase 3, randomizado, multicêntrico, duplo-cego, controlado por placebo que avaliou eficácia e segurança do ataluren. Realizado em 230 pacientes de 7 a 16 anos de idade, portadores da distrofia muscular de Duchenne com mutação sem sentido confirmada por exame genético. O principal desfecho foi a capacidade do ataluren retardar a progressão da doença, avaliado pela diferença entre a distância percorrida no teste de caminhada de 6 minutos (TC6M) no dia da triagem e após 48 semanas de tratamento. Resultados: ataluren 40 mg/Kg/dia x placebo: Tempo para subir 4 degraus = -1,4s ($p = 0,058$); Tempo para descer 4 degraus = -2,0s ($p = 0,012$); Correr/andar 10 m: -1,1 s ($p = 0,117$).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Reduzir as incapacidades, prevenir complicações, prolongar a mobilidade e melhorar a qualidade de vida.

5.3. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

A medicação pleiteada é uma droga ainda pouco estudada.

Diante das evidências atuais, não há avaliação da função pulmonar ou cardíaca, pontos extremamente relevantes na evolução da doença. Apesar do possível benefício marginal apontado pela terapêutica, não parece um medicamento fundamental ao tratamento da doença em questão, não sendo recomendado seu uso levando em consideração as evidências científicas atuais. Ensaios clínicos devem ser encorajados para determinar o seu potencial benefício.

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/ptbr/midias/radar/2018/alerta_mht_04_atalureno_duchene.pdf

Araujo, A. P. Q. C., De Carvalho, A. A. S., Cavalcanti, E. B. U., Saute, J. A. M., Carvalho, E., França Junior, M. C., ... Zanoteli, E. (2017). Brazilian consensus on duchenne muscular dystrophy. Part 1: Diagnosis, steroid therapy and perspectives. Arquivos de Neuro-Psiquiatria, 75(8), 589–599. <https://doi.org/10.1590/0004-282x20170112>

Bushby K, Finkel R, Wong B, Barohn R, Campbell C, Comi GP, Connolly AM, Day JW, Flanigan KM, et al. PTC124-GD-007-DMD STUDY GROUP. Ataluren treatment of patients with nonsense mutation dystrophinopathy. Muscle Nerve. 2014 Oct;50(4):477-87. doi: 10.1002/mus.24332.

MCDONALD CM, CAMPBELL C, TORRICELLI RE, FINKEL RS, FLANIGAN KM, GOEMANS N, et al. Ataluren in patients with nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy (ACT DMD): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. Lancet Lond Engl. 23 de 2017;390(10101):1489–98.

BUSHBY K, FINKEL R, WONG B, BAROHN R, CAMPBELL C, COMI GP, et al. Ataluren treatment of patients with nonsense mutation dystrophinopathy. Muscle Nerve. outubro de 2014;50(4):477–87.

Campbell C, Barohn RJ, Bertini E, Chabrol B, Comi GP, Darras BT, Finkel RS, Flanigan KM, Goemans N, Iannaccone ST, Jones KJ, Kirschner J, Mah JK, Mathews KD, McDonald CM, Mercuri E, Nevo Y, Péréon Y, Renfroe JB, Ryan MM, Sampson JB, Schara U, Sejersen T, Selby K, Tulinius M, Vélchez JJ, Voit T, Wei LJ, Wong BL, Elfring G, Souza M, McIntosh J, Trifillis P, Peltz SW, Muntoni F; PTC124-GD-007-DMD Study Group; ACT DMD Study Group; Clinical Evaluator Training Groups. Meta-analyses of ataluren randomized controlled trials in

nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy. J Comp Eff Res. 2020 Oct;9(14):973-984. doi: 10.2217/ce-2020-0095. Epub 2020 Aug 27. PMID: 32851872.

Pascual-Morena C, Cavero-Redondo I, Álvarez-Bueno C, Mesas AE, Pozuelo-Carrascosa D, Martínez-Vizcaíno V. Restorative treatments of dystrophin expression in Duchenne muscular dystrophy: A systematic review. Ann Clin Transl Neurol. 2020 Sep;7(9):1738-1752. doi: 10.1002/acn3.51149. Epub 2020 Aug 10. PMID: 33325654; PMCID: PMC7480922.

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://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.

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.

PROTOSCOLOS 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.