

Nota Técnica 557560

Data de conclusão: 19/08/2026 11:12:21

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 07/06/1991

Idade: 35 anos

Sexo: Feminino

Cidade: São Paulo/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001781-09.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 557560

CID: G11.1 - Ataxia cerebelar de início precoce

Diagnóstico: ataxia de Friedreich

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudo médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: OMAVELOXOLONA

Via de administração: VO

Posologia: omaveloxolona 50 mg - tomar 3 comprimidos ao dia, por tempo indeterminado.

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: OMAVELOXOLONA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Tratamento de suporte.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: OMAVELOXOLONA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: OMAVELOXOLONA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: OMAVELOXOLONA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O mecanismo de ação da omaveloxolona não é completamente conhecido. Acredita-se que atue por meio da ativação do fator de transcrição Nrf2 e da inibição do NF-κB, promovendo redução do estresse oxidativo, restauração do equilíbrio redox, melhora da função mitocondrial e diminuição da resposta inflamatória. Esses efeitos podem atenuar a disfunção celular observada na ataxia de Friedreich (1,3).

O ensaio clínico randomizado internacional MOXle (4), avaliou 103 pacientes de 16 a 40 anos de idade com AF (idade mediana de 21 a 22 anos; duração média da doença de aproximadamente 4,5 anos) os quais foram aleatoriamente designados para receber omaveloxolona oral 150 mg diariamente ou placebo por 48 semanas. Pacientes com diabetes não controlado ou doença cardíaca clinicamente significativa foram excluídos. O desfecho primário foi baseado no grupo pré-especificado de 87 pacientes sem pé cavo (condição comum na AF e que pode afetar a marcha e o equilíbrio); destes, 82 pacientes selecionados receberam 48 semanas de tratamento e concluíram as medidas de desfecho primário na Escala de Avaliação de Ataxia de Friedreich modificada (mFARS). A escala mFARS varia de 0 a 93 pontos, onde notas mais baixas indicam melhor função neurológica e menor comprometimento. Entre os pacientes avaliados, as pontuações mFARS melhoraram em 1,55 ponto no grupo omaveloxolona e pioraram em 0,85 ponto no grupo placebo (diferença média entre os grupos: -2,4 pontos, IC 95%: -4,3 a -0,5). A população completa do estudo, composta por 103 pacientes, apresentou efeito semelhante, com uma magnitude de benefício ligeiramente menor (diferença média entre os grupos: -1,93, IC 95%: -3,71 a -0,16). As medidas secundárias de eficácia favoreceram numericamente a omaveloxolona, mas não foram estatisticamente significativas (4).

Os efeitos adversos no MOXle ocorreram mais comumente no grupo omaveloxolona do que com placebo no estudo de 48 semanas e incluíram níveis elevados de aminotransferase (37% versus 2%; nenhum caso de lesão hepática clínica), dor de cabeça (37% versus 25%), náusea (33% versus 14%) e diarreia (20% versus 10%) (4).

A eficácia em longo prazo da omaveloxolona foi avaliada na fase de extensão aberta do estudo MOXle, que incluiu pacientes que concluíram as etapas 1 ou 2 do ensaio clínico (5). Nessa fase, foi adotado um desenho de início tardio (delayed-start) para avaliar se o benefício observado nos escores da mFARS ao final da fase controlada por placebo seria mantido após 72 semanas de seguimento na extensão aberta, correspondendo a um acompanhamento total de até 144 semanas. Para essa análise, foi realizado um teste de não inferioridade por meio de um modelo misto para medidas repetidas (MMRM), comparando os pacientes inicialmente randomizados para placebo, que posteriormente passaram a receber omaveloxolona, com aqueles que receberam o medicamento durante todo o período do estudo. Os resultados

demonstraram que o benefício observado ao final da fase controlada foi preservado após 72 semanas de extensão aberta, com diferença nos escores da mFARS de $-2,17 \pm 1,09$ pontos ao término da parte 2 e de $-2,91 \pm 1,44$ pontos após a extensão. Além disso, os pacientes tratados com omaveloxolona desde a randomização inicial mantiveram estabilidade clínica, sem piora dos escores da mFARS em relação ao início da fase de extensão, durante todo o período de acompanhamento de até 144 semanas.

Até o momento, a evidência clínica disponível baseia-se essencialmente neste único ensaio clínico randomizado de fase II, não havendo estudos confirmatórios independentes de fase III.

Custo:

Item: OMAVELOXOLONA

Descrição: 50 MG CAP DURA CT FR PLAS PEAD OPC X 90

Quantidade: 13

Valor unitário: R\$ 152.164,71

Valor total: R\$ 1.978.141,23

*Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) em São Paulo (ICMS 18%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, $PMVG = PF \cdot (1 - CAP)$. O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.

A omaveloxolona é produzida pela empresa Biogen Brasil Farmacêutica Ltda sob o nome comercial Skyclarys® na forma farmacêutica de comprimidos de 150 mg. A partir de consulta à tabela da CMED, no site da ANVISA, realizada em agosto de 2026 e considerando a prescrição médica, foi construída a tabela acima estimando o custo anual do tratamento.

O National Institute For Health and Care Excellence (NICE), do sistema de saúde britânico, afirma que não foi possível emitir um parecer acerca da omaveloxolona, uma vez que a empresa retirou a submissão durante o processo de avaliação (6).

A Canada's Drug Agency (CDA-AMC) reconheceu que a omaveloxolona pode retardar a progressão do declínio neurológico em pacientes com ataxia de Friedreich, mas ressaltou incerteza quanto à relevância clínica do benefício observado e à magnitude real do ganho funcional para os pacientes. Na avaliação econômica, considerando o preço submetido pelo patrocinador e os custos públicos dos comparadores, estimou-se razão de custo-efetividade incremental de aproximadamente US\$ 1.5 milhão de dólares por QALY ganho em comparação ao tratamento padrão isolado, valor muito acima do limiar de disposição a pagar de US\$ 50.000 por QALY. Por esse motivo, embora tenha havido recomendação de reembolso com condições, a agência condicionou sua adoção à redução substancial de preço, estimada em 97%, além de critérios específicos de elegibilidade, acompanhamento por especialista e interrupção do tratamento em caso de progressão clínica além de limites predefinidos, o que reforça o importante grau de incerteza clínica e econômica associado à tecnologia (7).

Não estão disponíveis avaliações econômicas para o cenário clínico em tela no contexto brasileiro. Atualmente, a tecnologia encontra-se em análise pela CONITEC para o tratamento da ataxia de Friedreich em adultos e adolescentes com 16 anos de idade ou mais, porém, ainda não há relatório preliminar publicado.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Melhora discreta na pontuação da escala mFARS, permanecendo incerta sua tradução em benefício funcional, qualidade de vida ou modificação da história natural da doença.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: OMAVELOXOLONA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: A evidência atualmente disponível para a omaveloxolona baseia-se essencialmente em um único ensaio clínico randomizado, que demonstrou melhora estatisticamente significativa, porém de pequena magnitude (redução de cerca de 2,4 pontos na escala mFARS, que vai de 0 a 93 pontos). Permanece incerta a relevância clínica deste efeito, bem como seu impacto sobre qualidade de vida, capacidade funcional e necessidade de cuidados. Também permanece incerto se a tecnologia é capaz de modificar a história natural da doença ou produzir benefícios sustentados em longo prazo. Considerando tais limitações nas provas de efetividade, combinadas ao elevado custo do tratamento, resta incerta a custo efetividade do tratamento em casos como o da parte autora. A incorporação da omveloxolona não foi avaliada pela CONITEC, órgão competente para dirimir a incerteza em relação a custo-efetividade.

Compreende-se o desejo do paciente e da equipe assistente de buscar tratamento para uma doença cuja história natural é debilitante. No entanto, frente à modesta magnitude do benefício observado, incerteza sobre o real impacto clínico e de modificação da história natural bem como ao alto custo da tecnologia e falta de avaliação pela CONITEC, emitimos parecer desfavorável à concessão judicial do pleito.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas:

1. UpToDate. Friedreich ataxia [Internet]. Waltham (MA): UpToDate; Available from: <https://www.uptodate.com/contents/friedreich-ataxia>
2. DynaMed. Friedreich ataxia [Internet]. DynaMed; Disponível em: <https://www.dynamed.com/condition/friedreich-ataxia#GUID-50BC887B-B581-4576-B638-513BD2959799>

3. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Skyclarys (omaveloxolona): novo registro [Internet]. Brasília: ANVISA; 11 abr 2025. Available from: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/skyclarys-omaveloxolona-novo-registro>
4. Lynch DR, Chin MP, Delatycki MB, et al. Safety and Efficacy of Omaveloxolone in Friedreich Ataxia (MOXle Study). *Ann Neurol* 2021; 89:212.
5. Lynch DR, Chin MP, Boesch S, et al. Efficacy of Omaveloxolone in Friedreich's Ataxia: Delayed-Start Analysis of the MOXle Extension. *Mov Disord*. 2023;38(2):313-320. doi:10.1002/mds.29286
6. National Institute for Health and Care Excellence. Omaveloxolone for treating Friedreich's ataxia in people 16 years and over [Internet]. London: NICE; 6 May 2025. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/guidance/ta1061>
7. Canada's Drug Agency (CDA-AMC). Omaveloxolone (Skyclarys): reimbursement recommendation. Ottawa: CDA-AMC; 2025 Jul. Available from: <https://www.cda-amc.ca/omaveloxolone-skyclarys>

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: NAT-Jus Doenças Raras - HCPA/TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme a documentação médica apresentada, trata-se de paciente de 35 anos de idade, com diagnóstico de ataxia de Friedreich confirmada por teste genético. Paciente apresenta cardiopatia hipertrófica, escoliose, não escreve, não anda, em uso de cadeira de rodas e necessita de auxílio de terceiros para atividades básicas da rotina (Num. 596674106 - Pág. 1).

A ataxia de Friedreich (AF), um distúrbio neurodegenerativo, é a mais comum das ataxias hereditárias. As ataxias hereditárias são um grupo geneticamente heterogêneo de doenças caracterizadas por incoordenação motora resultante da disfunção do cerebelo e suas conexões (1). Especificamente a AF é resultante de uma mutação por expansão de repetições GAA no íntron 1 do gene FXN no cromossomo 9, levando à diminuição da expressão de frataxina. A frataxina é uma proteína essencial para a função mitocondrial e é encontrada concentrada no tecido nervoso. A deficiência de frataxina resulta em acúmulo anormal de ferro intramitocondrial, respiração mitocondrial defeituosa e superprodução de radicais livres de oxigênio com evidência de dano intracelular induzido por oxidantes. Decorrente disso, surgem as características neuropatológicas da doença, as quais incluem perda degenerativa de fibras sensoriais em nervos periféricos e colunas posteriores da medula espinhal e neuronopatia sensorial em gânglios da raiz dorsal (2). A AF é uma doença rara, com uma prevalência variável em diferentes populações. Apesar da escassez de dados epidemiológicos no Brasil, um estudo realizado no sul do país estimou uma prevalência de 0,20:100.000 (3).

O início dos sintomas da AF geralmente ocorre antes dos 25 anos de idade e envolve na

apresentação típica: ataxia cerebelar e sensorial mista, ataxia troncular (marcha oscilante e de base ampla, com perda frequente de equilíbrio) que progride da necessidade de suporte intermitente para a necessidade de suporte permanente; ataxia de membros causando diminuição da destreza e precisão, resultando em aumento da dificuldade em atividades como vestir-se, escrever e usar objetos; fraqueza central dos membros, que afeta inicialmente os músculos proximais e, em seguida, torna-se generalizada, o que contribui significativamente para a incapacidade relacionada ao quadro. Também podem ocorrer atrofia, especialmente nas mãos, disartria, fala lentificada, disfagia, cardiomiopatia e distúrbios metabólicos (2).

O diagnóstico de AF é feito em pacientes com critérios para ataxia e neuropatia sensorial e confirmado por testes genéticos que identificam expansão de GAA no gene FXN (localizado no braço longo proximal do cromossomo 9) (2). A neuroimagem do cérebro e da medula espinhal com ressonância magnética é recomendada para todos os pacientes que apresentam ataxia para excluir outras causas (1).

O tratamento da AF é multiprofissional visto tratar-se de condição multissistêmica. Em 2023, o US Food and Drug Administration (FDA) aprovou o uso de um novo medicamento para tratamento da AF, a omaveloxolona. No Brasil, este medicamento foi aprovado recentemente pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), em abril de 2025 (3).