

NOTA TÉCNICA Nº 5606/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5005582-70.2025.4.03.6119
- 1.3. Data da Solicitação: 18/07/2025
- 1.4. Data da Resposta: 26/09/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 16/09/2008 – 16 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: CID G35 – Esclerose Múltipla.

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

O aludido núcleo deverá responder às seguintes indagações:

1. De que doença a autora padece?
2. Os documentos anexados à petição inicial corroboram o diagnóstico?
3. Os medicamentos pleiteados são os mais recomendados no estágio atual da doença?
4. Os medicamentos têm registro na ANVISA?
5. Encontram-se eles em fase experimental ou tem eficácia bem documentada na literatura científica?
6. Qual a resposta a se esperar com seu uso? Qual a melhoria na sobrevida ou na qualidade de vida do usuário?
7. Há outros medicamentos mais baratos, que, isolada ou combinadamente, produzem o mesmo efeito?
8. Há opção terapêutica disponível em algum programa do SUS?
9. Há parecer da CONITEC para a específica doença da parte autora?
10. É possível a inclusão imediata da paciente com idade de 17 anos e 10 meses para uso do medicamento pleiteado, tendo em vista estar próxima de completar a idade mínima de 18 anos para o seu uso?

Respostas:

1. Esclerose múltipla.
2. Sim.
3. Sim.
4. Sim.
5. Há eficácia documentada.
6. Melhora em déficits motores.
7. A discussão deste caso na verdade envolve outros aspectos decorrentes da faixa etárias – detalhados a seguir.
8. Como no item 7.
9. Como no item 7.
10. Sim.



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?
NATALIZUMABE 300MG – 03 A 05MG/KG/MÊS	NATALIZUMABE	1699300020018	SIM	NATALIZUMABE para esclerose múltipla para 108 anos ou mais	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
NATALIZUMABE	TYSABRI	BIOGEN BRASIL PRODUTOS FARMACEUTICOS LTDA	20 MG/ML SOL DIL INFUS IV CT FA VD TRANS X 15 ML	R\$ 4.942,94	3-4 mg /kg/mês	R\$ 59.315,28
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.

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

4.3. Recomendações da CONITEC: (X) RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

Natalizumabe para tratamento da Esclerose Múltipla Remitente/Recorrente após primeira falha terapêutica para maiores de 18 anos PORTARIA SCTIE/MS Nº 49, DE 11 DE NOVEMBRO DE 2020.

Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Esclerose Múltipla (EM) Pacientes adultos (> 18 anos) com esclerose múltipla remitente-recorrente (EMRR) em alta atividade da doença.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

O PCDT de esclerose múltipla oferece diversas opções o manejo da doença, incluindo natalizumabe. Pelos documentos apresentados, a paciente preenche os critérios de inclusão para uso do natalizumabe. No entanto, o mesmo documento afirma sobre o tratamento em crianças e adolescentes:

“Inexistem ensaios clínicos que tenham incluídos doentes desta faixa etária, sendo os melhores estudos de segurança do tratamento de crianças e adolescentes as séries de casos em que se demonstra bom perfil de segurança. A teriflunomida, o fumarato de dimetila, o natalizumabe e o alentuzumabe não estão aprovados para uso por menores de 18 anos, não havendo ensaios clínicos com crianças e adolescentes, razões pelas quais não são preconizadores neste Protocolo para essa faixa etárias.”

O PCDT então opta por não incluir o medicamento para pacientes pediátricos pela falta de determinado tipo de estudo nessa população, mas não pela sua ineficácia ou mesmo pelo seu comprovado malefício.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Existem diferentes estudos demonstrando a segurança do uso de natalizumabe em pacientes adolescentes. Como ocorre com outras drogas, por vezes, o relato da experiência bem-sucedida por meio de coortes e estudos retrospectivos por vezes é a fonte que respalda a eventual tomada de decisão de ampliação da faixa etária de certo medicamento.

6. Conclusão

6.1. Parecer

- (x) Favorável
() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Espera-se que o medicamento contribua para controle de doença. O seu uso está respaldado na literatura médica, a paciente preenche critérios para uso do medicamento e **a sua idade não é uma contraindicação absoluta ao uso do medicamento**. Existe literatura científica respaldando a segurança do seu uso nessa faixa etária, sob o risco dos mesmos eventos adversos que pessoas acima de 18 anos de idade.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

(x) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

() NÃO

7. Referências bibliográficas

Spelman T, Simoneau G, Hyde R, Kuhelj R, Alroughani R, Ozakbas S, Karabudak R, Yamout BI, Khoury SJ, Terzi M, Boz C, Horakova D, Kubala Havrdova E, Weinstock-Guttman B, Patti F, Altintas A, Mrabet S, Gouider R, Inshasi J, Shaygannejad V, Eichau S, Ward WL, Butzkueven H; MSBase Investigators. Comparative Effectiveness of Natalizumab, Fingolimod, and Injectable Therapies in Pediatric-Onset Multiple Sclerosis: A Registry-Based Study. *Neurology*. 2024 Apr 9;102(7):e208114. doi: 10.1212/WNL.000000000208114. Epub 2024 Mar 6. PMID: 38447093.

Vitaliti G, Martin N, Tabatabaie O, Di Traglia M, Pavone P, Lubrano R, Falsaperla R. Natalizumab in multiple sclerosis: discontinuation, progressive multifocal leukoencephalopathy and possible use in children. *Expert Rev Neurother*. 2015;15(11):1321-41. doi: 10.1586/14737175.2015.1102061. Epub 2015 Oct 29. PMID: 26513633.

Ghezzi A, Pozzilli C, Grimaldi LM, Moiola L, Brescia-Morra V, Lugaresi A, Lus G, Rinaldi F, Rocca MA, Trojano M, Bianchi A, Comi G, Filippi M; Italian MS Study Group. Natalizumab in pediatric multiple sclerosis: results of a cohort of 55 cases. *Mult Scler*. 2013 Jul;19(8):1106-12. doi: 10.1177/1352458512471878. Epub 2013 Feb 11. PMID: 23401129.

Margoni M, Rinaldi F, Riccardi A, Franciotta S, Perini P, Gallo P. No evidence of disease activity including cognition (NEDA-3 plus) in naïve pediatric multiple sclerosis patients treated with natalizumab. *J Neurol*. 2020 Jan;267(1):100-105. doi: 10.1007/s00415-019-09554-z. Epub 2019 Sep 27. PMID: 31562558.

Ghezzi A, Comi G, Grimaldi LM, Moiola L, Pozzilli C, Fantaccini S, Gallo P. Pharmacokinetics and pharmacodynamics of natalizumab in pediatric patients with RRMS. *Neurol Neuroimmunol Neuroinflamm*. 2019 Jul 1;6(5):e591. doi: 10.1212/NXI.0000000000000591. PMID: 31355324; PMCID: PMC6624146.

Ghezzi A, Pozzilli C, Grimaldi LM, Brescia Morra V, Bortolon F, Capra R, Filippi M, Moiola L, Rocca MA, Rottoli M, Sarchielli P, Zaffaroni M, Comi G. Safety and efficacy of natalizumab in children with multiple sclerosis. *Neurology*. 2010 Sep 7;75(10):912-7. doi: 10.1212/WNL.0b013e3181f11daf. PMID: 20820002.

Palavra F, Figueiroa S, Correia AS, Tapadinhas F, Cerqueira J, Guerreiro RP, de Sá J, Sá MJ, Almeida S, Mota P, Sousa L. TyPed study: Natalizumab for the treatment of pediatric-onset multiple sclerosis in Portugal. *Mult Scler Relat Disord*. 2021 Jun;51:102865. doi: 10.1016/j.msard.2021.102865. Epub 2021 Feb 24. PMID: 33714125.

Kornek B, Aboul-Enein F, Rostasy K, Milos RI, Steiner I, Penzien J, Hellwig K, Pitarokoli K, Storm van's Gravesande K, Karenfort M, Blaschek A, Meyer A, Seidl R, Debelic D, Vass K, Prayer D, Kristoferitsch W, Bayas A. Natalizumab therapy for highly active pediatric multiple sclerosis. *JAMA Neurol*. 2013 Apr;70(4):469-75. doi: 10.1001/jamaneurol.2013.923. PMID: 23420110.

Gontika M, Skarlis C, Markoglou N, Tzanetakos D, Vakrakou A, Toulas P, Koutsis G, Evangelopoulos ME, Pons R, Dardiotis E, Chrousos G, Dalakas M, Stefanis L, Anagnostouli M. Natalizumab therapy in patients with pediatric-onset multiple sclerosis in Greece: clinical and immunological insights of time-long administration and future directions-a single-center retrospective observational study. *Naunyn Schmiedeberg's Arch Pharmacol*. 2022 Aug;395(8):933-943. doi: 10.1007/s00210-022-02238-y. Epub 2022 Apr 26. PMID: 35471586.

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://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 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.

Considerações NAT-Jus/SP: A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

Equipe NAT-Jus/SP