Nota Técnica 567418

Data de conclusão: 11/09/2026 10:57:01

Paciente

Nome: [redacted]

Data de Nascimento: 15/08/1960

Idade: 66 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Santo André/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001859-03.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 567418-A

CID: G12.2 - Doença do neurônio motor

Diagnóstico: esclerose lateral amiotrófica (ELA)

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: RILUZOL

Via de administração: VO

Posologia: riluzol 50mg, tomar 1 comprimido, via oral, de 12 em 12 horas. Uso contínuo.

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? Sim

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: RILUZOL

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Além do riluzol, o SUS oferece medidas de suporte essenciais no manejo da ELA, incluindo acompanhamento multiprofissional, suporte ventilatório não invasivo, suporte nutricional com avaliação para gastrostomia, cuidados paliativos e atenção domiciliar, conforme necessidade clínica (7). A edaravona também foi incorporada para pacientes adultos com ELA em estágios iniciais (graus 1 ou 2) e duração da doença menor ou igual a dois anos. A portaria de incorporação estabelece prazo máximo de 180 dias para efetivar sua oferta, ainda em curso na data desta análise (5,6).

Existe Genérico? Sim

Existe Similar? Sim

Descrever as opções disponíveis de Genérico ou Similar: Vide CMED.

Custo da Tecnologia

Tecnologia: RILUZOL

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: RILUZOL

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: RILUZOL

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O riluzol é um fármaco com ação neuroprotetora demonstrada em estudos experimentais, cujo principal mecanismo farmacológico proposto envolve a modulação da neurotransmissão glutamatérgica excitatória, envolvida na fisiopatologia da esclerose lateral amiotrófica. Atua reduzindo a liberação pré-sináptica de glutamato, bloqueando parcialmente canais de sódio voltagem-dependentes e modulando a atividade de receptores excitatórios, o que contribui para a diminuição da excitotoxicidade neuronal. Entretanto, o mecanismo pelo qual produz benefício clínico em pacientes com ELA não está completamente esclarecido (8).

Um ensaio clínico randomizado, duplo-cego e controlado por placebo avaliou a eficácia e a segurança do riluzol em 155 pacientes ambulatoriais com esclerose lateral amiotrófica (ELA). Os participantes receberam riluzol 100 mg/dia ou placebo, com randomização estratificada conforme o local de início da doença (bulbar ou em membros). Os desfechos primários foram sobrevida e taxa de declínio funcional, e o desfecho secundário foi a força muscular, com seguimento mediano de 573 dias. Após 12 meses, a sobrevida foi significativamente maior no grupo riluzol em comparação ao placebo (74% vs. 58%). A análise do subgrupo com início bulbar sugeriu benefício mais pronunciado, mas deve ser interpretada com cautela diante do pequeno número de participantes. Ao final do período controlado por placebo, o benefício de sobrevida manteve-se significativo na população geral. Observou-se ainda, nesse estudo, progressão mais lenta da perda de força muscular no grupo riluzol. Os eventos adversos mais frequentes foram astenia, espasticidade e elevação de aminotransferases. Os autores concluíram que o riluzol pode melhorar a sobrevida e retardar a deterioração muscular na ELA (3).

Uma revisão sistemática da Cochrane reuniu quatro ensaios clínicos randomizados, envolvendo 1.477 participantes. Na análise conjunta de três estudos comparáveis, o riluzol na dose de 100 mg/dia proporcionou benefício na sobrevida livre de traqueostomia, com hazard ratio (HR) de 0,84 (IC95% 0,698–0,997; p=0,046). Os autores estimaram prolongamento da sobrevida mediana de aproximadamente dois a três meses. Foi observado pequeno benefício sobre a função bulbar e dos membros, mas não sobre a força muscular na análise conjunta. A

qualidade metodológica dos ensaios foi considerada aceitável, embora houvesse heterogeneidade entre as populações estudadas. Os eventos adversos foram, em geral, relativamente leves e reversíveis, com maior frequência de elevação das enzimas hepáticas entre os pacientes tratados com riluzol (9).

Em relação à segurança, podem ocorrer astenia, náuseas, outros sintomas gastrointestinais e elevação de aminotransferases. O PCDT recomenda avaliação de hemograma, plaquetas e enzimas hepáticas antes do início do tratamento e periodicamente durante o acompanhamento, além de reavaliação clínica da tolerabilidade. Elevação das aminotransferases acima de cinco vezes o limite superior da normalidade constitui critério para suspensão do medicamento no protocolo (7).

Custo:
Item: RILUZOL
Descrição: 50 MG COM REV CT BL AL PLAS TRANS X 28
Quantidade: 27
Valor unitário: R$ 667,25
Valor anual: R$ 18.015,75

Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) de 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(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.

O medicamento riluzol é produzido por diversos laboratórios farmacêuticos. Em consulta ao painel CMED, em setembro de 2026, e aos dados de prescrição juntados aos autos, foi estimado o custo anual de tratamento, apresentado na tabela acima.

Não há relatório específico da CONITEC contendo análise formal de impacto orçamentário para a incorporação do riluzol, uma vez que se trata de tecnologia antiga, incorporada ao SUS anteriormente à atual sistemática de avaliação econômica. O medicamento permanece preconizado no SUS por meio do PCDT da Esclerose Lateral Amiotrófica, sem reavaliação econômica recente.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Prolongamento modesto da sobrevida, com ganho mediano estimado em aproximadamente dois a três meses em comparação ao placebo, sem reversão dos déficits neurológicos já estabelecidos (9).

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: RILUZOL

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: Há evidência de eficácia do riluzol no tratamento da esclerose lateral amiotrófica, com benefício modesto de sobrevida. Trata-se de medicamento incorporado ao SUS, integrante do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica e preconizado no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da doença (7,9).

No caso em análise, a documentação apresenta elementos clínicos e eletrofisiológicos compatíveis com o diagnóstico de ELA, estabelecido por neurologista. O relatório médico informa que a paciente já vinha utilizando riluzol, com prescrição de 50 mg a cada 12 horas, posologia prevista no PCDT. Consta solicitação administrativa com situação pendente e sem registro de dispensação nos documentos apresentados, além de pedido de informações sobre a previsão de fornecimento, sem resposta documentada.

Considerando a indicação clínica fundamentada, a evidência de benefício e a necessidade de continuidade do tratamento de uma doença neurodegenerativa progressiva, conclui-se favoravelmente ao fornecimento do riluzol, na dose prescrita, com acompanhamento neurológico e monitorização clínica e laboratorial conforme o PCDT.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Elman L, McCluskey L, Quinn C. Clinical features of amyotrophic lateral sclerosis and other forms of motor neuron disease. UpToDate [Internet]. 2025. Disponível em: UpToDate.

2. Vasta R, De Mattei F, Tafaro S, Canosa A, Manera U, Grassano M, et al. Changes to average survival of patients with amyotrophic lateral sclerosis (1995–2018): results from the Piemonte and Valle d'Aosta Registry. Neurology. 2025;104(8). doi: 10.1212/WNL.0000000000213467.

3. Bensimon G, Lacomblez L, Meininger V; ALS/Riluzole Study Group. A controlled trial of riluzole in amyotrophic lateral sclerosis. N Engl J Med. 1994;330(9):585–591. doi: 10.1056/NEJM199403033300901.

4. Lacomblez L, Bensimon G, Leigh PN, Guillet P, Meininger V; Amyotrophic Lateral Sclerosis/Riluzole Study Group II. Dose-ranging study of riluzole in amyotrophic lateral sclerosis. Lancet. 1996;347(9013):1425–1431. doi: 10.1016/S0140-6736(96)91680-3.

5. Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Relatório de recomendação nº 1.117: edaravona para o tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, e duração da doença menor ou igual a 2 anos (early stage). Brasília: Ministério da Saúde; 2026. Disponível em: Relatório final da Conitec.

6. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde. Portaria SCTIE/MS nº 40, de 20 de julho de 2026. Torna pública a decisão de incorporar a edaravona para o tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica em estágios iniciais. Diário Oficial da União. 2026 jul 21;Seção 1:166. Disponível em: Portaria de incorporação.

7. Brasil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Esclerose Lateral Amiotrófica. Aprovado pela Portaria Conjunta nº 13, de 13 de agosto de 2020. Brasília: Ministério da Saúde; 2020. Disponível em: PCDT da Esclerose Lateral Amiotrófica.

8. Doble A. The pharmacology and mechanism of action of riluzole. Neurology. 1996;47(6 Suppl 4)–S241. doi: 10.1212/WNL.47.6_Suppl_4.233S.

9. Miller RG, Mitchell JD, Moore DH. Riluzole for amyotrophic lateral sclerosis (ALS)/motor neuron disease (MND). Cochrane Database Syst Rev. 2012;(3). doi: 10.1002/14651858.CD001447.pub3.

NatJus Responsável: Nacional

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

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme os relatórios médicos de 27/05/2026 e 08/07/2026, a parte autora apresenta diagnóstico recente de esclerose lateral amiotrófica (ELA), estabelecido com base em achados clínicos indicativos de progressão da doença e corroborado por exames complementares. No relatório de maio, foram descritas fraqueza nos membros inferiores havia aproximadamente um ano, quedas frequentes e alteração da dorsiflexão do pé esquerdo havia cerca de 20 dias. Ao exame neurológico, apresentava redução da força nos membros superiores, paraparesia assimétrica mais acentuada à esquerda, reflexos exaltados, reflexo cutaneoplantar em extensão à direita e marcha parética, com preservação da fala e da linguagem. O diagnóstico foi fundamentado nos critérios de Gold Coast.

Constam exames de eletroneuromiografia dos membros superiores e inferiores. O exame dos membros inferiores, realizado em 08/04/2026, evidenciou comprometimento motor difuso, com sinais de reinervação tardia e desnervação ativa, de distribuição assimétrica e maior intensidade no membro inferior esquerdo, compatível com comprometimento dos neurônios motores inferiores. A eletroneuromiografia dos membros superiores, realizada em 09/12/2025, demonstrou comprometimento do miótomo de C7 à direita, de grau leve e crônico, com reinervação tardia, sem sinais de desnervação ativa, podendo corresponder a radiculopatia cervical e/ou acometimento dos neurônios motores inferiores nesse nível. A avaliação complementar da região bulbar encontrava-se normal. Constam, ainda, exames de ressonância magnética do crânio e das colunas cervical, torácica e lombossacra, além de tomografia computadorizada da coluna lombossacra, os quais demonstraram predominantemente alterações degenerativas, sem comprometimento estrutural da medula espinal. Também foi apresentada análise do líquido cefalorraquidiano, sem achados sugestivos de processo infeccioso ou inflamatório relevante.

A documentação médica caracteriza a doença como em estágio inicial, com menos de dois anos de evolução. O relatório de julho de 2026 informa que a paciente já vinha fazendo uso de riluzol, sendo indicada a associação de edaravona. Não há descrição detalhada da independência para as atividades de vida diária.

O fornecimento do riluzol foi solicitado administrativamente e consta no sistema MEDEX com situação pendente e sem registro de dispensação. Em 30/06/2026, a família encaminhou pedido de informações à Farmácia do Componente Especializado do Hospital Estadual Mário Covas sobre a previsão de fornecimento do medicamento, a normalização do estoque ou a emissão de declaração de indisponibilidade. Não consta resposta do órgão nem negativa administrativa formal. Não consta nos autos comprovação de solicitação administrativa da edaravona.

A esclerose lateral amiotrófica (ELA) é uma doença neurodegenerativa progressiva, atualmente incurável, que causa fraqueza muscular, incapacidade e, eventualmente, morte. O termo "esclerose lateral amiotrófica" é derivado da combinação do achado do exame clínico de amiotrofia com o achado patológico de esclerose lateral. Embora já tenha sido presumido ser um distúrbio motor puro, hoje se entende que há também degeneração de outras regiões do cérebro, como neurônios corticais frontais e temporais. A ELA é a forma mais comum de doença do neurônio motor e inclui patologias dos neurônios motores superiores e inferiores (1).

A manifestação clínica inicial da ELA pode ocorrer em qualquer segmento do corpo, sendo a fraqueza assimétrica dos membros a apresentação mais comum (80%). O curso progressivo da ELA pode, eventualmente, produzir um ou ambos os aspectos da doença com risco de vida: insuficiência respiratória neuromuscular e disfagia. A ELA apresenta evolução clínica heterogênea, com sobrevida média estimada entre dois e cinco anos a partir do início dos sintomas. O prognóstico varia conforme a idade de início, o padrão de acometimento, a velocidade de progressão e a função respiratória, havendo pacientes com evolução mais rápida ou mais prolongada (2). Os fatores associados ao aumento da sobrevida sem insuficiência respiratória incluem idade mais jovem no início dos sintomas, maior atraso do início dos sintomas até o diagnóstico, maior pontuação na escala de classificação funcional da ELA, maior capacidade vital forçada na apresentação, e início dos sintomas nos membros em vez de sintomas bulbares (1).

O riluzol é um medicamento conhecido por ter algum impacto na sobrevivência na ELA, com evidências advindas de dois ensaios clínicos randomizados (3,4). O restante do tratamento se baseia no apoio sintomático, incluindo cuidado multidisciplinar, com atenção especial ao manejo das funções respiratória e alimentar.

Em junho de 2026, a Conitec recomendou a incorporação da edaravona para o tratamento de pacientes adultos com ELA em estágio inicial (grau 1 ou 2), com duração da doença de até dois anos (5). A incorporação ao SUS foi formalizada pela Portaria SCTIE/MS nº 40, de 20 de julho de 2026 (6).

Tecnologia 567418-B

CID: G12.2 - Doença do neurônio motor

Diagnóstico: esclerose lateral amiotrófica (ELA)

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: EDARAVONA

Via de administração: IV

Posologia: edaravona 30mg/20ml - aplicar 60mg IV, durante 60min.
Ciclo inicial de tratamento: administração diária por 14 dias, seguido de período de 14 dias sem administração do medicamento.
Ciclos subsequentes de tratamento: administração diária por 10 dias em período de duas semanas (14 dias), seguido de período de 14 dias sem administração do medicamento.

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? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: EDARAVONA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: riluzol e tratamentos sintomáticos (5,7).

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: EDARAVONA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: EDARAVONA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: EDARAVONA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O medicamento edaravona é uma tecnologia que atua como sequestrante de radicais livres, com potencial capacidade de reduzir a morte neuronal por meio da diminuição do dano oxidativo às membrana celulares, podendo contribuir para inibir a progressão da ELA. Entretanto, o mecanismo pelo qual a edaravona retarda o declínio da função física em pacientes com ELA ainda é desconhecido (5,7).

Inicialmente, um estudo confirmatório de 36 semanas foi conduzido para confirmar a eficácia e a segurança da edaravona em pacientes com ELA. O estudo consistiu em um período de pré-observação de 12 semanas, seguido por um período de tratamento de 24 semanas. Os pacientes receberam placebo (n=104) ou infusão intravenosa de edaravona (n=102) e o desfecho primário de eficácia foi a alteração na pontuação da Escala de Avaliação Funcional de ELA Revisada (ALSFRS-R) durante o tratamento de 24 semanas. As alterações da escala foram de –6,35 ± 0,84 no grupo placebo (n=99) e –5,70 ± 0,85 no grupo edaravona (n=100), com uma diferença de 0,65 ± 0,78 (p=0,411). A frequência de eventos adversos foi semelhante: 88,5% (92/104) no grupo placebo e 89,2% (91/102) no grupo edaravona. Embora o desfecho primário não tenha sido alcançado e o estudo não tenha demonstrado eficácia da edaravona na população avaliada, os resultados foram úteis para formular hipóteses de benefício em subgrupos de pacientes (8).

A partir de uma análise post-hoc desses dados foi demonstrado que pacientes em estágio inicial com diagnóstico definitivo ou provável de ELA, que atenderam a um conjunto

selecionado de critérios de inclusão, apresentaram maior magnitude de efeito do que a população completa do estudo. Assim, um novo ensaio clínico randomizado (ECR) de fase 3, duplo-cego e controlado por placebo, buscou fundamentar esses resultados (Study 19; n=137) (9). Nesse estudo, foram incluídos pacientes entre 20 e 75 anos com ELA de grau 1 e 2 na Classificação Japonesa de Gravidade da ELA; pontuação de pelo menos dois pontos em todos os 12 itens da ALSFRS-R; capacidade vital forçada (CVF) de 80% ou mais; ELA definida ou provável pelos critérios de El Escorial; duração da doença de dois anos ou menos. Também era necessária redução de um a quatro pontos na ALSFRS-R durante o período de observação. pós um período de observação de 12 semanas, os pacientes foram randomizados para receber 60 mg de edaravona intravenosa (n=69) ou placebo (n=68) por 6 ciclos, para uma duração total de tratamento de 24 semanas. Cada ciclo durava quatro semanas, com administração por 14 dias no primeiro ciclo e por 10 dias, dentro de um período de 14 dias, nos ciclos seguintes, sempre seguidos de 14 dias sem administração. Pacientes que já haviam recebido riluzol poderiam continuar a recebê-lo, desde que o regime permanecesse inalterado, contudo, iniciar esse tratamento após o início do período de observação não foi permitido. Mais de 90% dos participantes de cada grupo utilizavam riluzol concomitantemente.

Para o desfecho primário de eficácia avaliado, a alteração na pontuação da escala ALSFRS-R foi de –5,01 (SE 0,64) no grupo edaravona e –7,50 (0,66) no grupo placebo. A diferença média dos mínimos quadrados entre os grupos foi de 2,49 (SE 0,76, IC95% 0,99-3,98; p=0,0013) a favor da edaravona, indicando menor declínio funcional em 24 semanas, com incertezas quanto à manutenção desse benefício em longo prazo. Em relação aos desfechos secundários, as avaliações da Escala de Norris Modificada (total), que avalia a função dos membros e a função bulbar, favoreceram a edaravona em comparação com o placebo (diferença média dos mínimos quadrados 4,89, SE 2,35; p=0,0393). A deterioração da qualidade de vida, demonstrada pelo ALSAQ-40, foi menor em pacientes que receberam edaravona em comparação com pacientes que receberam placebo (diferença média dos mínimos quadrados –8,79, SE 4,03; p=0,0309). Não houve diferença estatisticamente significativa na CVF, na Escala de Norris Modificada (membros ou bulbar), na força de preensão, na força de pinça ou na classificação da gravidade da ELA ao final do ciclo 6 em pacientes que receberam edaravona em comparação com o placebo. O desfecho composto de morte ou um estado específico de progressão da doença ocorreu em dois pacientes no grupo edaravona (um com traqueostomia e um com perda da fala útil) e em seis pacientes no grupo placebo (três com perda da fala útil, dois com deficiência de deambulação independente e um com uso de alimentação por sonda). Eventos adversos emergentes do tratamento foram relatados em 58 (84%) pacientes que receberam edaravona e 57 (84%) pacientes que receberam placebo. A edaravona demonstrou eficácia em um pequeno subconjunto de pessoas com ELA que preencheram os critérios identificados na análise post-hoc de um estudo de fase 3 anterior, mostrando um declínio menor na pontuação ALSFRS-R em comparação com o placebo. A generalização desses resultados para pacientes que não atendem aos critérios estudados permanece incerta (9). Análises post-hoc do acompanhamento aberto sugeriram manutenção do benefício até 48 semanas, mas utilizaram projeções do declínio esperado para o grupo placebo, sem um grupo placebo concomitante na fase de extensão, o que limita a interpretação desses resultados (10).

Estudo de coorte multicêntrico, pareado por escore de propensão, avaliou a segurança e eficácia da edaravona como tratamento complementar à terapia padrão com riluzol em pacientes com ELA (n=324 – 194 tratados com edaravona + riluzol e 130 com riluzol), em uso a longo prazo. Os resultados demonstraram que a progressão da doença entre 116 pacientes

tratados por uma mediana de 13,9 meses (IIQ, 8,9-19,9 meses) com edaravona não diferiu da dos 116 pacientes tratados por uma mediana de 11,2 meses (IIQ, 6,4-20,0 meses) com terapia padrão [pontos na escala ALSFRS-R/mês, –0,91 (IC95%, –1,07 a –0,69) vs –0,85 (IC95%, –0,99 a –0,66)]; P=0,37). Não foram observadas diferenças significativas nos desfechos secundários de probabilidade de sobrevida, tempo para ventilação e mudança na progressão da doença. Também foram definidos subgrupos aplicando-se os critérios de inclusão do estudo pivotal (9), descrito acima, para avaliar se os pacientes seriam considerados elegíveis ou não. Da mesma forma, os desfechos entre pacientes tratados com edaravona e pacientes pareados não diferiram entre esses subgrupos. Potenciais efeitos adversos foram observados em 30 casos (16%), principalmente infecções nos locais de infusão e reações alérgicas. Esses achados sugerem que o tratamento com edaravona de longo prazo, além da terapia padrão para pacientes com ELA, é viável e relativamente segura, mas pode não proporcionar um benefício clinicamente relevante. Por se tratar de estudo observacional, seus resultados estão sujeitos a confundimento residual (11).

Revisão sistemática sobre a eficácia e segurança da edaravona para o tratamento de ELA, que incluiu cinco ECRs (n=566), demonstrou uma diferença significativa (DM 1,33, IC95% 0,33-2,34; p=0,009) na pontuação da escala ALSFRS-R entre os grupos de tratamento e placebo. O grupo edaravona apresentou aumento na força de preensão (DM 0,26, IC95% 0,03-0,49; p=0,03) e na pontuação da Escala de Norris modificada (DM 2,81, IC95% 1,18-4,43; p = 0,0007). Entretanto, não houve diferenças significativas entre os grupos quanto à alteração na CVF, força de pinça ou pontuação no questionário ALSAQ-40. A incidência de eventos adversos, eventos adversos graves e o número de mortes não diferiram estatisticamente do grupo placebo. A qualidade da evidência foi baixa apenas para eventos adversos graves, e as demais medidas de desfecho foram de qualidade moderada. Em comparação com o placebo, a edaravona pode proporcionar potenciais benefícios clínicos no tratamento da ELA. No entanto, os autores destacam a necessidade de estudos adicionais para confirmar os resultados, diante do pequeno tamanho das amostras e das limitações das evidências disponíveis (12).

Outras revisões apresentaram resultados heterogêneos. Uma revisão que incluiu ECRs e estudos observacionais não identificou diferença estatisticamente significativa na ALSFRS-R aos seis meses em nenhum desses dois grupos de estudos (13). Outra revisão encontrou associação com maior sobrevida em determinados períodos de acompanhamento, sem benefício funcional consistente. Entretanto, a inclusão de estudos observacionais e as limitações metodológicas impedem interpretar essa associação como comprovação definitiva de aumento da sobrevida (14).

Custo:
Item: EDARAVONA
Descrição: 1,5 MG/ML SOL DIL INFUS IV CT 2 AMP VD TRANS X 20 ML
Quantidade: 134
Valor unitário: R$ 231,70
Valor anual: R$ 31.047,80

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(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 edaravona é registrada e importada pelo laboratório Daiichi Sankyo Brasil Farmacêutica Ltda sob o nome comercial Radicava®, sendo disponibilizada no país a formulação para administração via intravenosa. Em consulta à tabela CMED, no site da ANVISA, em junho de 2026, e conforme a prescrição médica, considerando um ciclo inicial de 28 dias, com administração por 14 dias consecutivos, seguido de 12 ciclos de manutenção de 28 dias, com administração em 10 dias por ciclo, foi elaborada a tabela acima, estimando o custo do medicamento para um ano de tratamento.

A Canada's Drug Agency - Drug, Health Technologies and Systems (CDA-AMC), do Canadá, recomendou em 2019 que a edaravona seja reembolsada para o tratamento de ELA se: o paciente apresentar diagnóstico de ELA provável ou definitivo; apresentar pontuação de pelo menos dois pontos em cada item da escala ALSFRS-R; ter capacidade vital forçada maior ou igual a 80% do previsto; ter apresentado sintomas de ELA há dois anos ou menos e não estar necessitando de ventilação mecânica permanente não invasiva ou invasiva. Quanto aos critérios de administração, o paciente deve estar sob cuidados de um especialista com experiência no diagnóstico e tratamento da ELA. O reembolso do tratamento deve ser descontinuado em paciente que atendam a qualquer um dos seguintes critérios: quando o paciente se torna incapaz de deambular (pontuação ALSFRS-R ≤ 1 para o item 8) e incapaz de cortar alimentos e alimentar-se sem assistência, independentemente de haver ou não gastrostomia (pontuação ALSFRS-S < 1 para o item 5a ou 5b); ou quando o paciente necessitar de ventilação não invasiva ou invasiva permanente. Ainda, condicionou-se à redução no preço do medicamento (15).

Na avaliação econômica realizada pela CDA-AMC, em dólares canadenses (CAD$), o custo da edaravona foi estimado em CAD$ 1.424,48 por dose de 60 mg, totalizando CAD$ 190.880 no primeiro ano de tratamento e CAD$ 185.182 nos anos subsequentes. A análise do fabricante indicou que a edaravona não é custo-efetiva em comparação com o tratamento padrão, com uma relação custo-efetividade incremental de CAD$ 1.957.200 por ano de vida ganho ajustado pela qualidade (QALY). A reanálise da agência projetou ganhos de dois a cinco meses de sobrevida e de um a três meses de vida ajustados pela qualidade, com aumento dos custos ao longo da vida entre CAD$ 200.000 e CAD$ 385.000 por paciente. Esses ganhos são projeções do modelo econômico. Como resultado, a relação custo-utilidade incremental (ICUR) da edaravona em comparação com o tratamento padrão varia de CAD$ 1.441.000 por QALY ganho em pacientes com ELA em estágio 1 a CAD$ 3.152.000 por QALY ganho em pacientes com ELA em estágio 3. Uma redução de 95% no preço é necessária para reduzir o ICUR para menos de US$ 200.000 por QALY ganho em pacientes com ELA em estágio 1. Com reduções de preço superiores a 97%, o ICUR da edaravona permanece em mais de CAD$ 200.000 por QALY ganho para pacientes tratados em outros estágios (16).

O National Institute for Health and Care Excellence (NICE), do Reino Unido, submeteu o medicamento para avaliação em 07/06/2023 e ainda não foi emitido um parecer definitivo sobre a edaravona (17).

Conforme o relatório final nº 1.117/2026 da Conitec, após redução adicional de 5% no preço proposto, para R$ 212,03 por embalagem com duas ampolas, a avaliação de custo-utilidade resultou em uma razão de custo-utilidade incremental (RCUI) de R$ 55.624,00 por QALY. O impacto orçamentário incremental acumulado em cinco anos foi estimado em aproximadamente R$ 141 milhões no cenário baseado na demanda aferida pela dispensação de riluzol, chegando a R$ 158 milhões no cenário baseado em registros do CID G12. Permanecem limitações relacionadas à estimativa da população elegível, à progressão da doença e aos pressupostos de modelagem, além de incertezas quanto à duração e à generalização do benefício clínico e desafios operacionais para a oferta de infusões no SUS. Em 18/06/2026, na 152ª Reunião, o Comitê de Medicamentos deliberou, por unanimidade, recomendar a incorporação da edaravona para adultos com ELA em estágios iniciais (graus 1 ou 2), com duração da doença menor ou igual a dois anos (5).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Redução discreta do declínio funcional em comparação ao placebo, em pacientes com ELA em estágios iniciais com características semelhantes às dos participantes dos ensaios clínicos. A evidência de benefício foi obtida predominantemente em pacientes que já utilizavam riluzol. Permanecem incertezas quanto à duração do efeito e ao impacto sobre a sobrevida e a necessidade de ventilação mecânica.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: EDARAVONA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: As evidências disponíveis indicam que a edaravona pode proporcionar discreta redução do declínio funcional em pacientes criteriosamente selecionados com ELA em estágio inicial. Contudo, permanecem incertezas quanto à magnitude desse benefício e ao seu impacto sobre desfechos como sobrevida e necessidade de ventilação mecânica.

A edaravona foi recentemente incorporada ao SUS para pacientes adultos com ELA em graus 1 ou 2 da classificação japonesa de gravidade e duração da doença igual ou inferior a dois anos. Esses graus pressupõem preservação da independência funcional, mesmo quando já existem limitações para o trabalho. Relatório da Conitec.

No caso em análise, os relatórios médicos informam doença em estágio inicial, com menos de dois anos de evolução, e uso de riluzol, sendo indicada a associação de edaravona. Entretanto, embora descrevam fraqueza nos membros e marcha parética, não esclarecem suficientemente a independência para as atividades de vida diária, especialmente quanto à necessidade de auxílio para caminhar e alimentar-se. Assim, não é possível confirmar o enquadramento nos graus de gravidade contemplados pela incorporação.

Dessa forma, com base na documentação disponível, manifesta-se parecer desfavorável ao fornecimento judicial do medicamento neste momento, com possibilidade de reapreciação mediante apresentação de informações funcionais que permitam confirmar o enquadramento na população contemplada pela recomendação da Conitec.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Elman L, McCluskey L, Quinn C. Clinical features of amyotrophic lateral sclerosis and other forms of motor neuron disease. UpToDate [Internet]. 2025. Disponível em: www.uptodate.com/contents/clinical-features-of-amyotrophic-lateral-sclerosis-and-other-forms-of-motor-neuron-disease

2. Vasta R, De Mattei F, Tafaro S, Canosa A, Manera U, Grassano M, et al. Changes to average survival of patients with amyotrophic lateral sclerosis (1995–2018): results from the Piemonte and Valle d'Aosta Registry. Neurology. 2025;104(8):e213467. doi: 10.1212/WNL.0000000000213467.

3. Bensimon G, Lacomblez L, Meininger V. A controlled trial of riluzole in amyotrophic lateral sclerosis. ALS/Riluzole Study Group. N Engl J Med. 1994 Mar 3;330(9):585-91. doi: 10.1056/NEJM199403033300901.

4. Lacomblez L, Bensimon G, Leigh PN, Guillet P, Meininger V. Dose-ranging study of riluzole in amyotrophic lateral sclerosis. Amyotrophic Lateral Sclerosis/Riluzole Study Group II. Lancet. 1996 May 25;347(9013):1425-31. doi: 10.1016/s0140-6736(96)91680-3.

5. CONITEC - Monitoramento do HORIZONTE TECNOLÓGICO - Medicamentos para o tratamento de Esclerose Lateral Amiotrófica. Brasília, Maio de 2023. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2023/20230526_Informe_MHT_ELA.pdf

6. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Relatório preliminar de recomendação: edaravona para o tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA), graus 1 ou 2, e duração da doença menor ou igual a 2 anos (early stage). Brasília: Ministério da Saúde; 2026. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2026/relatorio-preliminar-edaravona-cp-19

7. Brasil. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Esclerose Lateral Amiotrófica. 2020. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/portaria_conjunta_pcdt_ela.pdf

8. Edaravone: Drug information. UpToDate [Internet]. 2025. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/edaravone-drug-information

9. Abe K, Itoyama Y, Sobue G, Tsuji S, Aoki M, Doyu M, et al. Edaravone ALS Study Group. Confirmatory double-blind, parallel-group, placebo-controlled study of efficacy and safety of edaravone (MCI-186) in amyotrophic lateral sclerosis patients. Amyotroph Lateral Scler Frontotemporal Degener. 2014 Dec;15(7-8):610-7. doi: 10.3109/21678421.2014.959024. Epub 2014 Oct 6. PMID: 25286015; PMCID:

PMC4266079.

10. Writing Group; Edaravone (MCI-186) ALS 19 Study Group. Safety and efficacy of edaravone in well defined patients with amyotrophic lateral sclerosis: a randomised, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet Neurol. 2017 Jul;16(7):505-512. doi: 10.1016/S1474-4422(17)30115-1. Epub 2017 May 15. PMID: 28522181.

11. Shefner J, Heiman-Patterson T, Pioro EP, Wiedau-Pazos M, Liu S, Zhang J, Agnese W, Apple S. Long-term edaravone efficacy in amyotrophic lateral sclerosis: Post-hoc analyses of Study 19 (MCI186-19). Muscle Nerve. 2020 Feb;61(2):218-221. doi: 10.1002/mus.26740. Epub 2019 Nov 11. PMID: 31621933; PMCID: PMC7004197.

12. Witzel S, Maier A, Steinbach R, Grosskreutz J, Koch JC, Sarikidi A, et al. German Motor Neuron Disease Network (MND-NET). Safety and Effectiveness of Long-term Intravenous Administration of Edaravone for Treatment of Patients With Amyotrophic Lateral Sclerosis. JAMA Neurol. 2022 Feb 1;79(2):121-130. doi: 10.1001/jamaneurol.2021.4893. Erratum in: JAMA Neurol. 2022 Jul 1;79(7):727. doi: 10.1001/jamaneurol.2022.1581. PMID: 35006266; PMCID: PMC8749709.

13. Gao M, Zhu L, Chang J, Cao T, Song L, Wen C, Chen Y, Zhuo Y, Chen F. Safety and Efficacy of Edaravone in Patients with Amyotrophic Lateral Sclerosis: A Systematic Review and Meta-analysis. Clin Drug Investig. 2023 Jan;43(1):1-11. doi: 10.1007/s40261-022-01229-4. Epub 2022 Dec 3. PMID: 36462105.

14. Huang SL, Shen YL, Peng WY, Ye K, Zheng H. Edaravone for patients with amyotrophic lateral sclerosis: a systematic review and meta-analysis. Acta Neurol Belg. 2024 Jun;124(3):895-904. doi: 10.1007/s13760-024-02476-2. Epub 2024 Feb 12. PMID: 38347315.

15. Nourelden AZ, Kamal I, Hagrass AI, Tawfik AG, Elhady MM, Fathallah AH, Eshag MME, Zaazouee MS. Safety and efficacy of edaravone in patients with amyotrophic lateral sclerosis: a systematic review and meta-analysis. Neurol Sci. 2023 Oct;44(10):3429-3442. doi: 10.1007/s10072-023-06869-8. Epub 2023 May 30. PMID: 37249667; PMCID: PMC10495275.

16. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH). CADTH COMMON DRUG REVIEW. CADTH Canadian Drug Expert Committee Recommendation. EDARAVONE (RADICAVA — MITSUBISHI TANABE PHARMA CORPORATION). 2019. Disponível em: https://www.cda-amc.ca/edaravone

17. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH). CADTH COMMON DRUG REVIEW Pharmacoeconomic Review Report. Edaravone (RADICAVA). 2019. Disponível em: https://www.cda-amc.ca/edaravone

18. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Edaravone for treating amyotrophic lateral sclerosis [TSID11869]. 2023. Disponivel em: https://www.nice.org.uk/guidance/awaiting-development/gid-ta11362

NatJus Responsável: Nacional

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

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Sim

Outras Informações: Conforme os relatórios médicos de 27/05/2026 e 08/07/2026, a parte autora apresenta diagnóstico recente de esclerose lateral amiotrófica (ELA), estabelecido com base em achados clínicos indicativos de progressão da doença e corroborado por exames complementares. No relatório de maio, foram descritas fraqueza nos membros inferiores havia aproximadamente um ano, quedas frequentes e alteração da dorsiflexão do pé esquerdo havia cerca de 20 dias. Ao exame neurológico, apresentava redução da força nos membros superiores, paraparesia assimétrica mais acentuada à esquerda, reflexos exaltados, reflexo cutaneoplantar em extensão à direita e marcha parética, com preservação da fala e da linguagem. O diagnóstico foi fundamentado nos critérios de Gold Coast.

Constam exames de eletroneuromiografia dos membros superiores e inferiores. O exame dos membros inferiores, realizado em 08/04/2026, evidenciou comprometimento motor difuso, com sinais de reinervação tardia e desnervação ativa, de distribuição assimétrica e maior intensidade no membro inferior esquerdo, compatível com comprometimento dos neurônios motores inferiores. A eletroneuromiografia dos membros superiores, realizada em 09/12/2025, demonstrou comprometimento do miótomo de C7 à direita, de grau leve e crônico, com reinervação tardia, sem sinais de desnervação ativa, podendo corresponder a radiculopatia cervical e/ou acometimento dos neurônios motores inferiores nesse nível. A avaliação complementar da região bulbar encontrava-se normal. Constam, ainda, exames de ressonância magnética do crânio e das colunas cervical, torácica e lombossacra, além de tomografia computadorizada da coluna lombossacra, os quais demonstraram predominantemente alterações degenerativas, sem comprometimento estrutural da medula espinal. Também foi apresentada análise do líquido cefalorraquidiano, sem achados sugestivos de processo infeccioso ou inflamatório relevante.

A documentação médica caracteriza a doença como em estágio inicial, com menos de dois anos de evolução. O relatório de julho de 2026 informa que a paciente já vinha fazendo uso de riluzol, sendo indicada a associação de edaravona. Não há descrição detalhada da independência para as atividades de vida diária.

O fornecimento do riluzol foi solicitado administrativamente e consta no sistema MEDEX com situação pendente e sem registro de dispensação. Em 30/06/2026, a família encaminhou pedido de informações à Farmácia do Componente Especializado do Hospital Estadual Mário Covas sobre a previsão de fornecimento do medicamento, a normalização do estoque ou a emissão de declaração de indisponibilidade. Não consta resposta do órgão nem negativa administrativa formal. Não consta nos autos comprovação de solicitação administrativa da edaravona.

Nesse contexto, pleiteia o fornecimento de riluzol e edaravona. Contudo, a presente nota técnica versará exclusivamente sobre o edaravona.

A esclerose lateral amiotrófica (ELA) é uma doença neurodegenerativa progressiva, atualmente incurável, que causa fraqueza muscular, incapacidade e, eventualmente, morte. O termo "esclerose lateral amiotrófica" é derivado da combinação do achado do exame clínico de

amiotrofia com o achado patológico de esclerose lateral. Embora já tenha sido presumido ser um distúrbio motor puro, hoje se entende que há também degeneração de outras regiões do cérebro, como neurônios corticais frontais e temporais. A ELA é a forma mais comum de doença do neurônio motor e inclui patologias dos neurônios motores superiores e inferiores (1).

A manifestação clínica inicial da ELA pode ocorrer em qualquer segmento do corpo, sendo a fraqueza assimétrica dos membros a apresentação mais comum (80%). O curso progressivo da ELA pode, eventualmente, produzir um ou ambos os aspectos da doença com risco de vida: insuficiência respiratória neuromuscular e disfagia. A ELA apresenta evolução clínica heterogênea, com sobrevida média estimada entre dois e cinco anos a partir do início dos sintomas. O prognóstico varia conforme a idade de início, o padrão de acometimento, a velocidade de progressão e a função respiratória, havendo pacientes com evolução mais rápida ou mais prolongada (2). Os fatores associados ao aumento da sobrevida sem insuficiência respiratória incluem idade mais jovem no início dos sintomas, maior atraso do início dos sintomas até o diagnóstico, maior pontuação na escala de classificação funcional da ELA, maior capacidade vital forçada na apresentação, e início dos sintomas nos membros em vez de sintomas bulbares (1).

O riluzol é um medicamento conhecido por ter algum impacto na sobrevivência na ELA, com evidências advindas de dois ensaios clínicos randomizados (3,4). O restante do tratamento se baseia no apoio sintomático, incluindo cuidado multidisciplinar, com atenção especial ao manejo das funções respiratória e alimentar.

Em junho de 2026, a Conitec recomendou a incorporação da edaravona para o tratamento de pacientes adultos com ELA em estágio inicial (grau 1 ou 2), com duração da doença de até dois anos (6). A incorporação ao SUS foi formalizada pela Portaria SCTIE/MS nº 40, de 20 de julho de 2026.