

NOTA TÉCNICA Nº 5957/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5001450-95.2024.4.03.6315
1.3. Data da Solicitação: 31/07/2025
1.4. Data da Resposta: 09/10/2025
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- [REDACTED]
2.1. Data de Nascimento/Idade: 29/07/2017 - 08 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: Sorocaba/SP
2.4. Histórico da doença: CID G 40.0 - Síndrome de Dravet; CID F84 - Transtorno de Espectro Autista

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

Em relação ao caso, considerando os documentos acostados, este Juízo formula os seguintes questionamentos:

1) O esquema de medicação proposto pelo médico assistente da parte autora está incorporado pelo SUS?

- Não. O medicamento Stiripentol (ou estiripentol) não está registrado na ANVISA.

2) O uso do medicamento já foi submetido ao CONITEC? Em caso positivo descrever.

- Não. O medicamento Stiripentol (ou estiripentol) não está registrado na ANVISA.

3) O medicamento detém registro na ANVISA?

- Não. O medicamento Stiripentol (ou estiripentol) não está registrado na ANVISA.

4) É possível afirmar que a paciente já utilizou todos os esquemas disponíveis no SUS, tendo apresentado ineficácia aos tratamentos usados anteriormente e está apresentando progressão da doença com piora da qualidade de vida?

- O relatório médico menciona que o autor está em uso de: levetiracetam, canabidiol, stiripentol, clobazam. Não menciona o uso de ácido valpróico, um dos anticonvulsivantes indicados para caso em tela.

5) A medicação consta em sua bula com indicação para tratamento da alegada enfermidade?

- O medicamento Stiripentol não está registrado na ANVISA. Entretanto, o medicamento é aprovado pela Food and Drug Administration (FDA) e European Medicines Agency (EMA) para o tratamento de crises convulsivas da Síndrome de Dravet.

5.1) É autorizada pela ANVISA?

- Não. O medicamento Stiripentol não está registrado na ANVISA.

5.2) É utilizada em pacientes com Convênio Médico?

- Não. O medicamento Stiripentol não está registrado na ANVISA.

6) Não há no âmbito do SUS opções que possam substituir o tratamento proposto pela médica da autora?

- Sim, mas as opções já estão em uso, exceto o ácido valpróico que não foi relatado no documento anexo

7) Existe comprovação da segurança e eficácia do uso do medicamento à luz da medicina baseada em evidências?

Sim. O estiripentol (ou stiripentol) é um antiepiléptico aprovado como terapia adjuvante na síndrome de Dravet, indicado para pacientes que, mesmo em uso de clobazam e valproato, mantêm crises refratárias. Seu uso é sustentado por ensaios clínicos randomizados e meta-análises de alta qualidade, que demonstram eficácia significativa na redução da frequência e na liberdade de crises (LATTANZI et al., 2023; BRIGO; IGWE; BRAGAZZI, 2017; WU et al., 2022).

O grau de evidência é considerado alto (nível 1), baseado em estudos multicêntricos, placebo-controlados, que embasaram sua aprovação na Europa, Estados Unidos, Canadá e

Japão (FRAMPTON, 2019; FDA, 2024; VASQUEZ; WIRRELL; YOUSSEF, 2023; WHELESS; WEATHERSPOON, 2025). Diretrizes internacionais recomendam o fármaco como segunda linha, sempre em associação ao clobazam e valproato (CHIRON; DULAC, 2011; BUCK; GOODKIN, 2019).

8) É possível verificar de antemão por quanto tempo o medicamento deverá ser ministrado?

- Não é possível estimar o tempo de uso.



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? |
|---------------------------|-----------------|--------------------|--------------------|---|-----------------------------|
| DIACOMIT 250MG – 02CP/DIA | ESTIRIPENTOL | NÃO | NÃO | | NÃO |

| Medicamento | Marca Comercial | Laboratório | Apresentação | PMVG | Dose | Custo Anual* |
|---|-----------------|-------------|--------------|--------------------------|------|--------------|
| DIACOMIT | | | | | | |
| CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO | | | | | | |
| MÉDICO PRESCRITOR | | | | SAÚDE SUPLEMENTAR | | |

* 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 xxxxxxx

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

O medicamento não é comercializado no Brasil

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

O estiripentol é um antiepilético aprovado como terapia adjuvante na síndrome de Dravet, indicado para pacientes que, mesmo em uso de clobazam e valproato, mantêm crises refratárias. Seu uso é sustentado por ensaios clínicos randomizados e meta-análises de alta qualidade, que demonstram eficácia significativa na redução da frequência e na liberdade de crises (LATTANZI et al., 2023; BRIGO; IGWE; BRAGAZZI, 2017; WU et al., 2022).

O grau de evidência é considerado alto (nível 1), baseado em estudos multicêntricos, placebo-controlados, que embasaram sua aprovação na Europa, Estados Unidos, Canadá e Japão (FRAMPTON, 2019; FDA, 2024; VASQUEZ; WIRRELL; YOUSSEF, 2023; WHELESS; WEATHERSPOON, 2025). Diretrizes internacionais recomendam o fármaco como segunda linha, sempre em associação ao clobazam e valproato (CHIRON; DULAC, 2011; BUCK; GOODKIN, 2019).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Controle e redução das crises epiléticas.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável, com ressalva (vide 6.2 Conclusão Justificada)

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

O autor apresenta doença neurológica caracterizada por crises convulsivas graves de muito difícil controle, mesmo com uso de combinação de vários medicamentos.

Há robusta evidência científica que respalda o uso do fármaco em pacientes com síndrome de Dravet, conforme demonstrado em ensaios clínicos e revisões sistemáticas de alta qualidade.

Todavia, a ausência de registro sanitário na ANVISA constitui, como regra geral, impedimento à concessão judicial do medicamento, nos termos da jurisprudência consolidada.

Excepcionalmente, é possível a concessão judicial de medicamento sem registro na ANVISA, desde que configurada mora irrazoável da agência em apreciar o pedido — isto é, quando ultrapassado o prazo previsto na Lei nº 13.411/2016 — e presentes cumulativamente os seguintes requisitos:

1. Existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (ressalvado o caso de medicamentos órfãos destinados a doenças raras ou ultrarraras);
2. Registro do medicamento em agências regulatórias de referência internacional; e
3. Inexistência de substituto terapêutico com registro regular no país.

Sob o ponto de vista estritamente médico-técnico-científico, a medicação está devidamente indicada para o caso em tela.

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

LATTANZI, S. et al. *Pharmacotherapy for Dravet Syndrome: A Systematic Review and Network Meta-Analysis of Randomized Controlled Trials*. **Drugs**, v. 83, n. 15, p. 1409-1424, 2023. DOI: 10.1007/s40265-023-01936-y.

BRIGO, F.; IGWE, S. C.; BRAGAZZI, N. L. *Antiepileptic Drugs for the Treatment of Infants With Severe Myoclonic Epilepsy*. **The Cochrane Database of Systematic Reviews**, v. 5, CD010483, 2017. DOI: 10.1002/14651858.CD010483.pub4.

FRAMPTON, J. E. *Stiripentol: A Review in Dravet Syndrome*. **Drugs**, v. 79, n. 16, p. 1785-1796, 2019. DOI: 10.1007/s40265-019-01204-y.

WU, J. et al. *Efficacy and Safety of Adjunctive Antiseizure Medications for Dravet Syndrome: A Systematic Review and Network Meta-Analysis*. **Frontiers in Pharmacology**, v. 13, 980937, 2022. DOI: 10.3389/fphar.2022.980937.

VASQUEZ, A.; WIRRELL, E. C.; YOUSSEF, P. E. *Stiripentol for the Treatment of Seizures Associated With Dravet Syndrome in Patients 6 Months and Older and Taking Clobazam*.

Expert Review of Neurotherapeutics, v. 23, n. 4, p. 297-309, 2023. DOI: 10.1080/14737175.2023.2195550.

WHELESS, J.; WEATHERSPOON, S. *Use of Stiripentol in Dravet Syndrome: A Guide for Clinicians*. **Pediatric Neurology**, v. 162, p. 76-86, 2025. DOI: 10.1016/j.pediatrneurol.2024.10.015.

CHIRON, C.; DULAC, O. *The Pharmacologic Treatment of Dravet Syndrome*. **Epilepsia**, v. 52, supl. 2, p. 72-75, 2011. DOI: 10.1111/j.1528-1167.2011.03007.x.

BUCK, M. L.; GOODKIN, H. P. *Stiripentol: A Novel Antiseizure Medication for the Management of Dravet Syndrome*. **The Annals of Pharmacotherapy**, v. 53, n. 11, p. 1136-1144, 2019. DOI: 10.1177/1060028019856008.

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.

PROTÓCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravamento à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três

entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

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