

NOTA TÉCNICA Nº 6032/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº- 5000053-63.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 26/09/2025
- 1.4. Data da Resposta: 12/12/2025
- 1.5. Requerida: SAÚDE PÚBLICA

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 17/04/1995 - 30 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Matão/SP
- 2.4. Histórico da doença: Doença de Fabry — E75.2

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

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?
FABRAZYME 35mg 1mg/kg	Beta-agalsidase	1832603310014	SIM	Grupo 1A: medicamentos com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às secretarias de saúde dos estados e Distrito Federal, sendo delas a responsabilidade pela programação, armazenamento, distribuição e dispensação para tratamento das doenças contempladas no âmbito do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
FABRAZYME	BETA-AGALSIDASE	SANOFIMEDLEY FARMACÊUTICALTDA.	35 MG PÓ LIOF SOL INJ CT FA VD TRANS X 20 ML	R\$ 11.238,83	1mg/kg A cada 14 dias	R\$ 879.037,06
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 setembro de 2025

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

PORTARIA SECTICS/MS Nº 73, DE 28 DE DEZEMBRO DE 2023 Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, a beta-agalsidase para o tratamento da doença de Fabry clássica, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.  
REF.: 25000.052348/2023-16



O SECRETÁRIO DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA E INOVAÇÃO E DO COMPLEXO ECONÔMICO-INDUSTRIAL DA SAÚDE DO MINISTÉRIO DA SAÚDE, no uso das atribuições que lhe conferem a alínea "c" do inciso I do art. 32 do Decreto nº 11.798, de 28 de novembro de 2023, e tendo em vista o disposto nos arts. 20 e 23 do Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, resolve:

Art. 1º Incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, a betaagalsidase para o tratamento da doença de Fabry clássica, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

Art. 2º Conforme determina o art. 25 do Decreto nº 7.646, 21 de dezembro de 2011, as áreas técnicas terão o prazo máximo de 180 (cento e oitenta) dias para efetivar a oferta no SUS.

Art. 3º O relatório de recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec sobre essa tecnologia estará disponível no endereço eletrônico: <https://www.gov.br/conitec/pt-br>.

Art. 4º Esta Portaria entra em vigor na data de sua publicação.



## 5. Discussão

### 5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A doença de Fabry não tem cura. As opções de tratamento, além de terapia de suporte para as complicações (renais, cardíacas, neurológicas, gastrointestinais e outras), são a reposição da enzima alfa-galactosidase A (alfa-Gal A), e migalastat, um medicamento que corrige a produção de alfa-Gal A mutante.

A terapia de reposição enzimática atualmente pode ser feita com três formulações, a agalsidase alfa, agalsidase beta e pegunigalsidase alfa iwxj. Agalsidase alfa não está aprovada para uso nos Estados Unidos. Uma nova medicação migalastate foi aprovada para uso em pacientes com mutações específicas (que demonstraram maior benefício com a medicação) para doença. Foi aprovado em 2017 pelo FDA e pela Anvisa em 2019. O Migalastate é uma molécula chaperone que se liga à enzima o-galactosidase A, estabilizando as formas mutantes e facilitando a sua ação e assim reduzindo o acúmulo de metabólitos como GB3. É uma medicação via oral. Estudos demonstram maior eficácia em indivíduos com mutações específicas que são suscetíveis ao migalastate. A eficácia do tratamento com migalastate foi avaliada em dois estudos clínicos, um comparado com placebo e um comparado com pacientes recebendo reposição enzimática. Nestes estudos, em pacientes com mutações receptivas à medicação, o uso do migalastate mostrou redução na deposição de GB3 nas biópsias renais, manutenção de função renal, redução massa cardíaca e melhora sintomas gastrointestinais. Os estudos são recentes, ainda não apresentam indicações em guidelines publicados. Por ser uma medicação de uso oral, com maior facilidade posológica alguns experts como CADTH (Canadian Drug Expert Committee) já indicam seu uso em pacientes com mutações suscetíveis à medicação.

Segundo o PCDT da CONITEC de 2021: “O tratamento específico, direcionado à causa primária da DF baseia-se na terapia de reposição enzimática (TRE) com a enzima recombinante da oGAL-A. Atualmente, duas formas de enzimas recombinantes estão disponíveis comercialmente com registro na Anvisa: alfa-agalsidase e beta-agalsidase. Apesar de estudos indicarem que as enzimas recombinantes atuam nos órgãos e sistemas mais afetados pela DF, seus efeitos sobre desfechos clinicamente relevantes, como redução da dor, melhora da disfunção cardíaca e renal, melhora da qualidade de vida e redução ou interrupção da progressão da doença são limitados, não tendo sido recomendadas pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias em Saúde (Conitec). A não recomendação considerou a paucidade de evidências científicas que indiquem que esta intervenção interrompa a progressão da doença ou resulte em melhora de desfechos clínicos relevantes, como a melhora da qualidade de vida, melhora das disfunções renal e cardíaca e redução da dor, entre outras; a ausência de dados de longo



prazo (superior a seis meses); e o elevado impacto orçamentário que a incorporação representaria para o SUS.”

Em 2021, a CONITEC não recomendou a incorporação de migalastate para tratamento de doença de Fabry no SUS.

Em 2023 a CONITEC emitiu novo Relatório, onde recomenda a incorporação da alfa-galactosidase para a Doença de Fabry, bem como beta-galactosidase:

“Após apreciação das contribuições recebidas na Consulta Pública, os membros do Comitê de Medicamentos da Conitec, na 125ª Reunião Ordinária, realizada no dia 07 de dezembro de 2023, deliberaram, por unanimidade, recomendar a incorporação no SUS da beta-galactosidase para o tratamento da doença de Fabry clássica. Para essa recomendação os membros do Comitê de Medicamentos consideraram que não foi verificada diferença na eficácia da beta-galactosidase quando comparada com a terapia atualmente disponível no SUS, a escolha na prescrição da beta-galactosidase em pacientes com perfil clássico da doença devido o benefício do uso da molécula da beta-galactosidase, a possibilidade de desabastecimento de uma das enzimas e a redução de preço em cerca de 10% da empresa fabricante da tecnologia, 85 considerando a economia gerada. Além disso, considerando-se que as idades mínimas aprovadas em bula para uso de beta-galactosidase e alfa-galactosidase são distintas apesar de muito próximas, o Comitê deliberou que a recomendação não seja condicionada à idade e que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas considere que ambos os medicamentos podem ser utilizados pela mesma população, no que tange à idade, e respeitando-se os demais critérios de uso. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 862/2023.”

“RECOMENDAÇÃO FINAL DA CONITEC PORTARIA SECTICS/MS Nº 26, DE 18 DE MAIO DE 2023 Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, a alfa-galactosidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Ref.: 25000.092442/2022-19, 0033641858. O SECRETÁRIO DE CIENCIA, TECNOLOGIA, INOVAÇÃO E COMPLEXO DA SAÚDE DO MINISTÉRIO DA SAÚDE, no uso de suas atribuições legais, e nos termos dos arts. 20 e 23 do Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, resolve: Art. 1º Incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, a alfa-galactosidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Art. 2º Conforme determina o art. 25 do Decreto nº 7.646/2011, as áreas técnicas terão o prazo máximo de 180 (cento e oitenta) dias para efetivar a oferta no SUS. Art. 3º O relatório de recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde Conitec sobre essa

tecnologia estará disponível no endereço eletrônico: <https://www.gov.br/conitec/pt-br>.  
Art. 4º Esta Portaria entra em vigor na data de sua publicação.”

#### 5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Reduzir o acúmulo de gorduras nas células e retardando danos renais, cardíacos e neurológicos.

### **6. Conclusão**

#### 6.1. Parecer

( X ) Favorável

( ) Desfavorável

#### 6.2. Conclusão Justificada

A medicação já foi aprovada pela CONITEC conforme a portaria SECTICS/MS Nº 26, DE 18 DE MAIO DE 2023 e a PORTARIA SECTICS/MS Nº 73, DE 28 DE DEZEMBRO DE 2023.

Segundo a PORTARIA SECTICS/MS Nº 73, DE 28 DE DEZEMBRO DE 2023:

“Art. 2º Conforme determina o art. 25 do Decreto nº 7.646, 21 de dezembro de 2011, as áreas técnicas terão o prazo máximo de 180 (cento e oitenta) dias para efetivar a oferta no SUS.”

Considerando que o prazo de 180 dias já foi esgotado, este NAT-Jus manifesta-se favorável à demanda solicitada.

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

### **7. Referências bibliográficas**

Developments in the treatment of Fabry disease, J Inherit Metab Dis. 2020 Sep;43(5):908-921. doi: 10.1002/jimd.12228.

Ministério da Saúde (Brasil). Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC). (2018). Alfa-agalsidase e beta-agalsidase como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry: relatório de recomendação. 60.

Biegstraaten, M., Arngrimsson, R., Barbey, F., Boks, L., Cecchi, F., Deegan, P. B., ... Hollak, C. E. (2015). Recommendations for initiation and cessation of enzyme replacement therapy in patients with Fabry disease: The European Fabry Working Group consensus document. Orphanet Journal of Rare Diseases, 10(1). <https://doi.org/10.1186/s13023-015-0253-6>

<https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/pcdt/arquivos/2021/portal-portaria-coniunta-no-20-diretrizes-doenca-de-fabry.pdf>

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatorios/2023/20230522-relatorio-803-alfagalsidase-doenca-de-fabry-1.pdf>

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatorios/2023/20231229-relatorio-865-beta-galactosidase.pdf>  
<http://antigo-conitec.saude.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2021/20210423-Relatorio-Migalastat-e-Fabry-CP-30.pdf>

Germain DP. Fabry disease. Orphanet J Rare Dis 2010; 5:30.

Branton MH, Schiffmann R, Sabnis SG, et al. Natural history of Fabry renal disease: influence of alpha-galactosidase A activity and genetic mutations on clinical course. Medicine (Baltimore) 2002; 81:122.

Hoffmann B, Schwarz M, Mehta A, et al. Gastrointestinal symptoms in 342 patients with Fabry disease: prevalence and response to enzyme replacement therapy. Clin Gastroenterol Hepatol 2007; 5:1447.

Eng CM, Fletcher J, Wilcox WR, et al. Fabry disease: baseline medical characteristics of a cohort of 1765 males and females in the Fabry Registry. J Inher Metab Dis 2007; 30:184.

Waldek S, Patel MR, Banikazemi M, et al. Life expectancy and cause of death in males and females with Fabry disease: findings from the Fabry Registry. Genet Med 2009; 11:790.

[El Dib R, Gomaa H, Carvalho RP, et al. Enzyme replacement therapy for Anderson-Fabry disease. Cochrane Database Syst Rev 2016; 7:CD006663.](#)

[Germain DP, Elliott PM, Falissard B, et al. The effect of enzyme replacement therapy on clinical outcomes in male patients with Fabry disease: A systematic literature review by a European panel of experts. Mol Genet Metab Rep 2019; 19:100454.](#)

[Germain DP, Charrow J, Desnick RJ, et al. Ten-year outcome of enzyme replacement therapy with agalsidase beta in patients with Fabry disease. J Med Genet 2015; 52:353.](#)

Wanner, C., Arad, M., Baron, R., Burlina, A., Elliott, P. M., Feldt-Rasmussen, U., ... Hilz, M. J. (2018). European expert consensus statement on therapeutic goals in Fabry disease. *Molecular Genetics and Metabolism*, 124(3), 189—203. [https://doi.org/10.1016/j.y\\_gme.2018.06.004](https://doi.org/10.1016/j.y_gme.2018.06.004)

Germain, D. P., Elliott, P. M., Falissard, B., Fomin, V. V., Hilz, M. J., Jovanovic, A., ... Spada, M. (2019). The effect of enzyme replacement therapy on clinical outcomes in male patients with Fabry disease: A systematic literature review by a European panel of experts. *Molecular Genetics and Metabolism Reports*, 19(January), 100454. [https://doi.org/10.1016/j.y\\_rmr.2019.100454](https://doi.org/10.1016/j.y_rmr.2019.100454)

Schiffmann, R., Hughes, D. A., Linthorst, G. E., Ortiz, A., Svarstad, E., Warnock, D. G., ... Wanner, C. (2017). Screening, diagnosis, and management of patients with Fabry disease: conclusions from a “Kidney Disease: Improving Global Outcomes” (KDIGO) Controversies Conference. *Kidney International*, 91(2), 284—293. <https://doi.org/10.1016/j.kint.2016.10.004>

#### 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://bvsmis.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao\\_nacional\\_medicamentos\\_2024.pdf](https://bvsmis.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.

**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.

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