

NOTA TÉCNICA Nº 6357/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001021-58.2025.4.03.6133
- 1.3. Data da Solicitação: 15/08/2025
- 1.4. Data da Resposta: 14/10/2025
- 1.5. Requerida: SAÚDE PÚBLICA

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 07/05/1997 - 28 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Campinas/SP
- 2.4. Histórico da doença: Ataxia de Friedreich – G11.1

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?
OMAVELOXOLONA 50 MG	OMAVELOXOLONA	1699300090016	NÃO	CUIDADOS MULTIDISCIPLINARES SEM INTENÇÃO CURATIVA	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
OMAVELOXOLON	SKYCLARYS	BIOGEN BRASIL PRODUTOS FARMACEUTICOS LTDA	50 MG CAP DURA CT FR PLAS PEAD OPC X 90	R\$ 116.972,89	3 CP/DIA	R\$ 1.403.674,68
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO					R\$ 1.403.674,68	
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 outubro/2025.

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

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A Ataxia de Friedreich (AF) é uma doença neurodegenerativa progressiva, de herança autossômica recessiva, que foi descrita pela primeira vez por Nicholaus Friedreich, em 1863. A mutação responsável por essa doença se encontra no cromossomo nove, onde ocorre uma expansão de trinucleotídios GAA. O gene afetado tem a função de codificar a proteína mitocondrial frataxina, que está envolvida no metabolismo do ferro e que causa danos progressivos ao sistema nervoso. Pode resultar em fraqueza muscular, dificuldades na fala ou doenças cardíacas. O primeiro sintoma é geralmente a ataxia (coordenação prejudicada) manifestada pela dificuldade em caminhar, que piora gradualmente e pode se espalhar para os braços e o tronco, sendo geralmente progressiva. Outros sintomas incluem perda de reflexos profundos (tendinosos), especialmente nos joelhos e tornozelos. Ela também pode causar dores no peito, falta de ar e palpitações cardíacas. Esses sintomas são o resultado de várias formas de doenças cardíacas que frequentemente acompanham a doença, como cardiomiopatia hipertrófica (aumento do coração), fibrose miocárdica (formação de excesso de tecido conjuntivo fibroso nos músculos do coração) e insuficiência cardíaca. A doença é uma condição clínica rara e estima-se que afeta cerca de 1 em cada 50.000 pessoas nos Estados Unidos. Homens e mulheres são afetados igualmente e os sintomas geralmente começam entre as idades de 5 a 15 anos. O diagnóstico é feito por meio de dados clínicos, mas recomenda-se a confirmação por intermédio do estudo genético, pois permite o aconselhamento genético das famílias afetadas.

Omaveloxona é atualmente o único tratamento aprovado para ataxia de Friedreich, sendo um ativador de NRF2 que atua na modulação do estresse oxidativo e na melhora da função mitocondrial (Pilotto, 2024; Lynch, 2024).

As evidências clínicas mais robustas derivam do estudo MOXIE, um ensaio randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, que demonstrou melhora estatisticamente significativa na progressão da doença, medida pela escala modificada de avaliação da ataxia de Friedreich (mFARS), após 48 semanas de tratamento com omaveloxona 150 mg/dia em pacientes de 16 a 40 anos (Lynch, 2021). O benefício foi mantido em análises de extensão aberta, sugerindo efeito sustentado na estabilização da função neurológica por até 144 semanas (Lynch, 2023).

A revisão sistemática mais recente reforça que, apesar dos resultados positivos, as limitações metodológicas dos estudos — como tamanho amostral reduzido, curta duração e dados ausentes — restringem a generalização dos achados, especialmente em pacientes com formas mais graves ou deformidades associadas (Umrao, 2024).

Considerando que não há tratamento definitivo da doença e que todo o tratamento oferecido no SUS até o momento é o de manejo multidisciplinar de suas complicações, a omaveloxona representa um avanço terapêutico significativo para a ataxia de Friedreich,

com evidências de benefício funcional sustentado e perfil de segurança aceitável, embora sejam necessários estudos adicionais para definir seu impacto em subgrupos específicos e em manifestações extraneurológicas da doença.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Estabilização dos danos neurológicos.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Existem evidências de benefício com o uso do medicamento, embora os estudos tenham limitações. Ressalta-se a inexistência de outras opções com a mesma função terapêutica e o altíssimo custo do tratamento, que se aproxima de R\$ 1.000.000,00 anuais.

A medicação ainda não foi avaliada pela CONITEC.

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

() NÃO

7. Referências bibliográficas

1. Lynch DR, Chin MP, Boesch S, Delatycki MB, Giunti P, Goldsberry A, Hoyle JC, Mariotti C, Mathews KD, Nachbauer W, O'Grady M, Perlman S, Subramony SH, Wilmot G, Zesiewicz T, Meyer CJ. Efficacy of Omaveloxolone in Friedreich's Ataxia: Delayed-Start Analysis of the MOXIE Extension. *Mov Disord.* 2023 Feb;38(2):313-320. doi: 10.1002/mds.29286. Epub 2022 Nov 29. PMID: 36444905.
2. Lynch DR, Chin MP, Delatycki MB, Subramony SH, Corti M, Hoyle JC, Boesch S, Nachbauer W, Mariotti C, Mathews KD, Giunti P, Wilmot G, Zesiewicz T, Perlman S, Goldsberry A, O'Grady M, Meyer CJ. Safety and Efficacy of Omaveloxolone in Friedreich Ataxia (MOXIE Study). *Ann Neurol.* 2021 Feb;89(2):212-225. doi: 10.1002/ana.25934. Epub 2020 Nov 5. Erratum in: *Ann Neurol.* 2023 Dec;94(6):1190. doi: 10.1002/ana.26808. PMID: 33068037; PMCID: PMC7894504.
3. Lynch DR, Perlman S, Schadt K. Omaveloxolone for the treatment of Friedreich ataxia: clinical trial results and practical considerations. *Expert Rev Neurother.* 2024

- Mar;24(3):251-258. doi: 10.1080/14737175.2024.2310617. Epub 2024 Jan 30. PMID: 38269532.
4. Pilotto F, Chellapandi DM, Puccio H. Omaveloxolone: a groundbreaking milestone as the first FDA-approved drug for Friedreich ataxia. *Trends Mol Med.* 2024 Feb;30(2):117-125. doi: 10.1016/j.molmed.2023.12.002. Epub 2024 Jan 24. PMID: 38272714.
 5. Umrao A, Pahuja M, Chatterjee NS. Safety and efficacy of omaveloxolone v/s placebo for the treatment of Friedreich's ataxia in patients aged more than 16 years: a systematic review. *Orphanet J Rare Dis.* 2024 Dec 30;19(1):495. doi: 10.1186/s13023-024-03474-6. PMID: 39736600; PMCID: PMC11684145

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://bvsms.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, norteada 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.