

NOTA TÉCNICA Nº 6359/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000017-22.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 15/08/2025
- 1.4. Data da Resposta: 23/10/2025
- 1.5. Requerida: SAÚDE PÚBLICA

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 29/04/2020- 5 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística – E84

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?
IVACAFITOR 37,5mg + EXACAFITOR 50mg + TEZACAFITOR 25mg	IVACAFITOR; TEZACAFITOR; ELEXACAFITOR	1382300050010	Sim, mediante protocolo, pelo componente especializado	Terapia de reposição de enzimas pancreáticas (pancreatina - CEAF); Suplementos alimentares; Fluidificantes de secreções pulmonares (alfadornase - CEAF); Antibióticos orais ou inalatórios (tobramicina, colistimetato de sódio - CEAF); Ivacaftor (CEAF mediante protocolo); Fisioterapia respiratória; Imunização preconizada para a idade; Transplante pulmonar	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
IVACAFITOR + EXACAFITOR + TEZACAFITOR	TRIKAFTA	VERTEX FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.	(50 + 25 + 37,5) MG COM REV + 75 MG COM REV CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 56 + 28	R\$ 84.440,97	2 comp laranja manhã e 1 azul noite	R\$ 1.097.732,61
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 1.097.732,61		
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 de 2025

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

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

O medicamento elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor está contemplado no PCDT sobre fibrose cística. Todos os critérios de inclusão a seguir devem ser contemplados:

- Idade igual ou maior do que 6 anos de idade;
- Pelo menos, uma mutação F508del no gene CFTR.

A revisão da literatura realizada para elaboração do PCDT identificou que o medicamento foi estudado em ensaios clínicos que recrutaram crianças a partir de 6 anos de idade. Portanto, houve recomendação favorável para crianças acima de 6 anos de idade com fibrose cística com mutação F508del no gene CFTR.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

O PCDT afirma o seguinte sobre análises orçamentárias e de eficácia.

O impacto orçamentário apresentado pelo demandante considerou a população com FC com > 6 anos projetados a partir dos dados do Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC) de 2019 e considerou que 920 pacientes seriam elegíveis para o uso de ELX/TEZ/IVA no primeiro ano, totalizando 1.224 pacientes ao final de 5 anos. O estudo estimou um impacto orçamentário incremental variando de R\$ 354- 431 milhões por ano e de 1,99 bilhões em 5 anos, em relação ao cenário de referência com o tratamento padrão ou ivacaftor, sob o pressuposto de um compartilhamento de mercado de 54% até 74% em 5 anos, sobre a prevalência da população alvo no Brasil.

O medicamento foi incluído para crianças a partir dos 6 anos de idade provavelmente porque foi esta a população que foi especificamente estudada em ensaios clínicos de fase III e por uma previsão orçamentária com uma devida análise de custo-efetividade.

A Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health (CADTH) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. A Haute Autorité de Santé (HAS) foi favorável ao uso do medicamento a partir dos 6 anos de idade e depois atualizaram a recomendação para a partir dos 2 anos de idade. O National Institute for Health and Care Excellence (NICE) foi favorável ao uso a partir dos 2 anos de idade.

A droga se mostra segura na população pediátrica, sendo possível identificar que crianças a partir de dois anos teriam segurança caso recebessem o medicamento. Há publicação que corrobora isso. Ao mesmo tempo, não haveria motivo para que o medicamento funcionasse somente a partir de uma determinada idade.

6. Conclusão

6.1. Parecer

- (x) Favorável
() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

O medicamento é eficaz para a condição em questão e seguro na população pediátrica. Outros locais já sugerem seu uso a partir dos 2 anos de idade.

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

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf

Goralski JL, Hoppe JE, Mall MA, et al. Phase 3 Open-Label Clinical Trial of Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor in Children Aged 2-5 Years with Cystic Fibrosis and at Least One F508del Allele. Am J Respir Crit Care Med. 2023;208(1):59-67. doi:10.1164/rccm.202301-0084OC

https://www.has-sante.fr/jcms/p_3460538/fr/kaftrio-ivacaftor-/-tezacaftor-/-elexacafto-en-association-avec-kalydeco-mucoviscidose-2-ans-6-ans

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230906Relatorio844elexacaftor_tezacaftor_ivacaftor.pdf
<https://www.cda-amc.ca/elexacaftortezaftorivacaftor-and-ivacaftor-1>
<https://www.nice.org.uk/guidance/ta988/resources/ivacaftortezaftorelexacaftor-tezaftorivacaftor-and-lumacaftorivacaftor-for-treating-cystic-fibrosis-pdf-82615917119173>

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, 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.