

NOTA TÉCNICA Nº 7880/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000008-60.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 25/09/2025
- 1.4. Data da Resposta: 03/12/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 23/10/2014 – 10 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença:
Outros distúrbios especificados do metabolismo de carboidratos – CID E74.8

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?
OXLUMO - 94,5mg/0,5mL	LUMASIRANA	1936100030010	NÃO	-	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
OXLUMO	OXLUMO	SPECIALTY PHARMA GOIAS LTDA	189 MG/ML SOL INJ SC CT FA VD TRANS X 0,5 ML	R\$ 331.419,72	94,5mg/0,5 mL	R\$ 1.988.518,32
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 1.988,518,32		
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. Medicamento : Aplicar via subcutânea 1 frasco (0,5mL), conforme programação mensal abaixo: 1ºmês - 1 frasco(0,5mL) ;2ºmês - 1 frasco(0,5mL) ;3ºmês - 1 frasco(0,5mL) ;4ºmês - 1 frasco(0,5mL) ;5ºmês - sem infusão ;6ºmês - sem infusão ;7ºmês - 1 frasco(0,5mL) ;8ºmês - sem infusão ;9ºmês - sem infusão ;10ºmês - 1 frasco(0,5mL) ;11ºmês - sem infusão ;12ºmês - sem infusão

4.3. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência NOVEMBRO/ 2025

4.4. Recomendações da CONITEC: () RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A Hiperoxalúria Primária tipo 1 (HP1) é uma doença hereditária e ultrarrara, caracterizada pela presença de mutações genéticas que provocam deficiência na atividade da enzima hepática alanina-glioxilato aminotransferase e geram produção excessiva de oxalato de cálcio no fígado, uma substância composta pela combinação de cálcio e oxalato. Essa superprodução impacta negativamente na concentração de cálcio na urina e na sua eliminação pelos rins.

As principais manifestações da HP1 são formação de pedra e acúmulo de cálcio nos rins, doença renal crônica e falência renal, envolvendo presença de sangue na urina, ardência ao urinar, dor, infecção do trato urinário ou passagem de cálculos. Esses sintomas podem ser acompanhados de oxalose sistêmica, que consiste no acúmulo de oxalato de cálcio em diferentes órgãos, a exemplo dos olhos, dos ossos, do coração e dos tecidos moles. Nesse caso, podem ocorrer comprometimento dos nervos, hipotireoidismo, lesões na pele e em outras partes do corpo causadas por vasculite, além de alterações dos batimentos e inflamação do músculo cardíaco quando há acúmulo de cristais no coração. Em crianças, os sintomas podem incluir doença renal com acúmulo de cálcio nos rins ligeiramente sintomática até a falência renal em estágio terminal de início muito precoce, combinada com oxalose sistêmica.

Lumasirana sódica

Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Outros produtos para o trato alimentar e metabolismo

Nomes comerciais

Oxlumo®

Indicações

O medicamento lumasirana sódica é indicado para o tratamento da hiperoxalúria primária tipo 1 (HP1) para reduzir os níveis de oxalato urinário e plasmático em pacientes pediátricos e adultos.

Informações sobre o medicamento

O medicamento lumasirana sódica não pertence ao elenco da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME (2024), que contempla os medicamentos e insumos disponíveis no SUS. Também não se encontra na lista de medicamentos padronizados do

Ministério da Saúde, não existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

Recomendação desfavorável da CONITEC

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 1016, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 63, de 21 de agosto de 2025, com a decisão final de não incorporar a lumasirana para o tratamento da hiperoxalúria, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Considerou-se aspectos relevantes, como o impacto orçamentário elevado, mesmo diante da proposta de acordo de compartilhamento de risco apresentada pela empresa demandante durante a consulta pública e reiterada durante a reunião com o Comitê. Os membros reconheceram a eficácia da lumasirana na redução dos níveis de oxalato plasmático e urinário, evidenciada como um efeito clínico relevante. No entanto, enfatizaram a questão do custo de oportunidade e os desafios relacionados ao financiamento público no contexto do sistema de saúde brasileiro.

O medicamento está em avaliação pela CONITEC. Ele obteve recomendação desfavorável com coleta de contribuições da opinião pública, mas aguarda o parecer final do órgão.

O medicamento lmasirana interfere no RNA e reduz níveis de oxalato na urina e no sangue. Ensaios clínicos de fase III demonstraram benefício em crianças e adultos. Ainda que não haja dados no seguimento de longo prazo, o desfecho substituto (redução de oxalato no sangue e na urina) pode ser fortemente relacionado com manifestações da doença.

Não há tratamento específico para a doença disponibilizado pelo SUS.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Reduzir os níveis de oxalato urinário e plasmático

6. Conclusão

6.1. Parecer

- (x) Favorável
() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

O parecer é favorável ao uso do medicamento considerando os pontos expostos acima e a pendência de uma decisão final da 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

(x) NÃO

7. Referências bibliográficas

Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). **Relatório para sociedade nº 537 – Lumasirana HP1** [Internet]. Brasília (DF): CONITEC; 2025 [citado 2025 Dec 3]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2025/sociedade/relatorio-para-sociedade-no-537-lumasirana-hp1>

Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). **Relatório preliminar – Lumasirana sódica HP1 CP 28** [Internet]. Brasília (DF): CONITEC; 2025 [citado 2025 Dec 3]. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2025/relatorio-preliminar-lumasirana-sodica-hp1-cp-28>

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

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.