

NOTA TÉCNICA Nº 8181-A/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5008640-18.2024.4.03.6119
1.3. Data da Solicitação: 24/06/2025
1.4. Data da Resposta: 24/08/2025
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 22/08/2018 – 06 anos
2.2. Sexo: Feminino
2.3. Cidade/UF: Brasília/DF
2.4. Histórico da doença: Neuroblastoma – CID C74.9

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

"Pelo presente, solicito esclarecimentos complementares ao NATJUS/SP, que elaborou a Nota Técnica 8181/2024, desfavorável à parte autora, devendo esclarecer a divergência em relação ao parecer apresentado pelo NATJUS nacional que desaconselha a concessão do medicamento no caso concreto".

Manifestação acerca do preenchimento dos requisitos estipulados no item 2 das teses fixadas no Tema nº 06 do E. STF. Quais sejam:

(a) Negativa do fornecimento do medicamento na via administrativa;

Ausência de documentos anexos que comprovem negativa por via administrativa.

(b) Impossibilidade de substituição por outro medicamento constante nas listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas;

Ausência de respaldo científico para a combinação de medicamentos conforme descrito a seguir.

(c) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise;

O neuroblastoma é um tumor que deriva de células de gânglios simpáticos em fase primitiva. Sua formação e apresentação clínica são extremamente diversificadas, podendo cursar com tumor de regressão espontânea, lesão que amadureça e forme ganglioneuroma

benigno ou mesmo doença metastática com progressão para óbito. O prognóstico é influenciado por estadiamento do tumor, idade do paciente ao diagnóstico, classificação de risco patológico, citogenética e genética molecular.

Crianças acima de 1 anos de idade com tumores de baixo risco necessitam, em geral, de ressecção cirúrgica isolada. Crianças com doença de risco intermediário têm indicação de quimioterapia com ou sem abordagem cirúrgica, e a radioterapia é raramente indicada. Ao passo que crianças com doença de alto risco recebem quimioterapia de indução, ressecção cirúrgica, transplante de medula óssea, radioterapia no sítio do tumor primário e terapia de manutenção com imunoterapia.

A imunoterapia utilizada para manutenção é composta por anticorpos monoclonais antiGD2, sendo GD2 um disialogangliosídeo, antígeno expresso nos neuroblastomas.

O naxitamabe se liga aos glicolípídeo disialogangliosídeo (GD2), o qual é fortemente expresso no neuroblastoma, de modo a desencadear lise celular mediada por toxicidade celular e complemento. Já o sargramostim é um fator de crescimento estimulador de colônia, causando proliferação, diferenciação e atividade funcional de neutrófilos, eosinófilos, monócitos e macrófagos.

A combinação de Naxitamabe com fatores de crescimento estimuladores de colônias possui pouco respaldo científico em casos de refratariedade terapêutica, alicerçado em estudos de séries de casos, sem grupo controle com placebo ou terapia padrão.

(d) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado;

Paciente do sexo feminino, 6 anos de idade, com neuroblastoma avançado. Já submetida aos seguintes tratamentos:

- quimioterapia convencional - protocolo alemão;
- transplante de medula óssea;
- radioterapia abdominal;
- quimioterapia com temozolomida e irinotecano;

Diante de progressão de doença, solicitado Naxitamabe e Sargramostim.



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?
NAXITAMAB 40 mg - 8 frascos por ciclo, fazer 55mg IV em 3h nos dias 2, 4, 8 e 10	NAXITAMABE	1221401240011	NÃO	Medicamento Qarziba (Dinituximabe) incorporado ao SUS	NÃO
SARGRAMOSTRIM 250mcg - 5 frascos por ciclo, fazer 250mcg SC nos dias 6,7, 8, 9 e 10	SARGRAMOSTRIM	Sem registro na ANVISA	NÃO	Medicamento Qarziba (Dinituximabe) incorporado ao SUS	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
NAXITAMAB 40 mg	DANYELZA	ADIUM S.A.	4 MG/ML SOL DIL INFUS IV CT FA VD TRANS X 10 ML	R\$42.319,58	64 FRASCOS	R\$ 2.708.453,12
SARGRAMOSTRIM 250mcg	SEM INFORMAÇÃO NA TABELA CMED/ANVISA					
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.



TRIBUNAL DE JUSTIÇA DE SÃO PAULO
■ SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS
SGP 5 – Diretoria da Saúde

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência 08/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: Não há manifestação da CONITEC sobre o uso das medicações solicitadas.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Neuroblastomas são tumores raros, originários de células nervosas indiferenciadas da crista neural que dão origem à parte medular da adrenal e a todos os gânglios e plexos simpáticos. Os neuroblastomas propriamente ditos correspondem a 97% de todos os tumores de origem neuroblástica e apresentam um espectro de diferenciação bastante amplo, com evolução clínica, variando de regressão espontânea a comportamento extremamente agressivo. São os tumores sólidos extracranianos mais frequentes na infância.

O sítio primário mais comum na infância é a adrenal (40%), mas podem ter apresentação primária abdominal (25%), torácica (15%), cervical e outras. Os locais mais frequentes de metástases são: linfonodos, medula óssea, osso cortical, dura-máter, órbitas (com apresentação clínica conhecida como “olhos de guaxinim”), fígado e pele. Tumores de alto risco, como o caso em questão, apresentam prognóstico bastante limitado, com sobrevida inferior a 20%.

Apesar da intensificação maciça da terapia citotóxica para esse grupo, com inclusão de quimioterapia ablativa com transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH), não foi observado incremento proporcional na sobrevida (atualmente inferior a 40% em cinco anos) e, ainda, foi acrescentada acentuada toxicidade aguda e tardia a esses pacientes.

O tratamento-padrão atualmente aplicado a esse grupo de pacientes consiste em três etapas: (1) indução (quimioterapia e cirurgia); (2) consolidação: quimioterapia em altas doses com resgate de TCTH e radioterapia; (3) pós-consolidação: imunoterapia e uso de isotretinoína – terapia disponível no SUS.

Sargramostin

O sargramostin é um fator de crescimento hematopoiético que estimula a proliferação e diferenciação das células progenitoras hematopoiéticas, sendo o único produzido pela tecnologia do DNA recombinante (rhu GMCSF). A medicação não está registrada na Anvisa.

Segundo bula do medicamento aprovado pela FDA, possui as seguintes indicações:

- Leucemia mieloide aguda (após quimioterapia de indução);
- Transplante alogênico de medula óssea (reconstituição mieloide);
- Transplante alogênico ou autólogo de medula óssea (tratamento de recuperação retardada de neutrófilos ou falha do enxerto);
- Mobilização e coleta de células progenitoras de sangue periférico autólogo;
- Transplante autólogo de células progenitoras de sangue periférico e medula óssea;

- Síndrome de lesão por radiação hematopoiética (aguda).

Portanto, a indicação do medicamento no tratamento de neuroblastoma de alto risco é off-label. Por se tratar de um medicamento que estimula o crescimento de células tipo granulócitos-macrófagos, potencialmente amplifica o efeito das outras drogas no tratamento do neuroblastoma.

Gilman et al, em estudo fase I, avaliou a dose máxima tolerável (MTD) e toxicidade de um anti-GD2 administrado em combinação com interleucina-2 (IL-2) após quimioterapia de alta dose (HDC)/resgate de células-tronco (SCR). Os pacientes receberam um medicamento anti-GD20 por 4 dias em intervalos de 28 dias. Os pacientes receberam IL-2 durante o segundo e quarto cursos do anti-GD2 e fator estimulador de colônias de granulócitos e macrófagos (GM-CSF) durante o primeiro, terceiro e quinto cursos. Os autores concluíram que o uso do anti-GD2 em combinação com IL-2 foi tolerável no início do período pós-HDC/SCR.

Outro estudo publicado por YU et al conduziram um estudo para determinar se a adição de um anti-GD2, GM-CSF e interleucina-2 à terapia padrão com isotretinoína após terapia multimodal intensiva melhoraria os resultados em neuroblastoma de alto risco. Pacientes com neuroblastoma de alto risco que responderam à terapia de indução e transplante de células-tronco foram randomizados, na proporção de 1:1, para receber terapia padrão (seis ciclos de isotretinoína) ou imunoterapia (seis ciclos de isotretinoína e cinco ciclos concomitantes de anti-GD2 em combinação com GM-CSF e interleucina-2 alternados). A sobrevida livre de eventos e a sobrevida global foram comparadas entre o grupo de imunoterapia e o grupo de terapia padrão, com base na intenção de tratar. A duração mediana do seguimento foi de 2,1 anos. A imunoterapia foi superior à terapia padrão em relação às taxas de sobrevida livre de eventos ($66\pm 5\%$ vs. $46\pm 5\%$ em 2 anos, $P=0,01$) e sobrevida global ($86\pm 4\%$ vs. $75\pm 5\%$ em 2 anos, $P=0,02$ sem ajuste para análises intermediárias).

Naxitamabe

O naxitamabe é um anticorpo monoclonal humanizado da classe IgG1 que atua de forma específica contra o antígeno GD2, altamente expresso na superfície de células de neuroblastoma e outros tumores neuroectodérmicos. Ao se ligar ao GD2, o naxitamabe promove a destruição das células tumorais por meio de mecanismos de citotoxicidade celular dependente de anticorpo (ADCC) e citotoxicidade mediada por complemento (CDC). Seu uso em combinação com o fator estimulador de colônias de granulócitos e macrófagos (sargramostim) potencializa a resposta imune antitumoral, favorecendo a ação dos macrófagos e células NK. Essa ação direcionada confere ao naxitamabe um perfil

terapêutico especialmente relevante no tratamento do neuroblastoma de alto risco refratário ou recidivado, com expressão persistente do antígeno GD2.

O naxitamabe, em combinação com sargramostim, foi aprovado recentemente pela ANVISA para tratamento de pacientes pediátricos de 1 ano de idade ou mais e pacientes adultos que apresentam neuroblastoma de alto risco recidivado ou refratário nos ossos ou na medula óssea que apresentaram resposta parcial, resposta mínima ou doença estável à terapia anterior. Os estudos que embasam o seu uso são estudos abertos, de braço único, não randomizados que avaliaram o medicamento em combinação com sargramostim e avaliaram os desfechos de taxa de resposta global e duração da resposta.

O estudo de registro do medicamento (Estudo 201 - NCT03363373) está em andamento e até o momento foram publicados apenas resultados preliminares em forma de resumo. Um resumo de setembro de 2022 apresentou os dados de eficácia de 52 pacientes e de segurança de 74 pacientes. A taxa de resposta global foi de 50,0% (26/52; intervalo de confiança [IC] 95% 36 a 64), com uma taxa de resposta completa de 38,5% (IC 95% 25 a 53). A taxa de controle da doença, que incluiu resposta completa, parcial, resposta menor e doença estável, foi de 78,8% (41/52; IC 95% 65 a 89). A maior parte dos eventos adversos foram relacionados à infusão, incluindo hipotensão e dor. Eventos adversos graves emergentes do tratamento ocorreram em 44,6% (33/74); 6,8% (5/74) dos pacientes descontinuaram o naxitamabe devido a eventos adversos emergentes do tratamento. Não foram registradas mortes relacionadas ao naxitamabe.

O Reino Unido, por meio do NICE, assim como o Canadá, por meio da CADTH, não avaliaram o uso de Naxitamabe + GM-CSF para o tratamento de neuroblastoma recidivado ou refratário.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Aumento de sobrevida livre de eventos e de sobrevida global com obtenção de melhores taxas de resposta completa ou parcial ao tratamento em pacientes com neuroblastoma recidivados ou refratários.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada:

A indicação do medicamento Sargramostin no tratamento de neuroblastoma é off-label.

Os medicamentos não possuem respaldo científico para utilização em neuroblastoma refratário conforme descrito em resposta anterior. Os estudos que embasam o seu uso são estudos abertos, de braço único, não randomizados que avaliaram o medicamento em combinação com sargramostim e avaliaram os desfechos de taxa de resposta global e duração da resposta.

Não notada divergência de parecer nacional que desaconselha concessão do medicamento, dado que parecer anterior foi negativo.

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

1- Diretrizes Oncológicas – Tumores Pediátricos – disponível em https://diretrizesoncológicas.com.br/wpcontent/uploads/2018/10/Diretrizes-oncol%C3%B3gicas-2_Parte34.pdf

2- Schwab M, Shimada H, Joshi V, Brodeur GM. Neuroblastic tumours of adrenal gland and sympathetic nervous system. In: Kleihues P, Cavenee WK, editors. Pathology and genetics of tumours of the nervous system. Lyon: IARC Press; 2000. p. 153.

3- Shimada H, Ambros IM, Dehner LP, Hata J, Joshi VV, Roald B, et al. The International Neuroblastoma Pathology Classification (the Shimada system). Cancer. 1999;86(2):364-72.

4- Mullassery D, Farrelly P, Losty PD. Does aggressive surgical resection improve survival in advanced stage 3 and 4 neuroblastoma? A systematic review and meta-analysis. Pediatr Hematol Oncol. 2014;31(8):703-16

5- Yu AL, Gilman AL, Ozkaynak MF, London WB, Kreissman SG, Chen HX, et al.; Children's Oncology Group. Anti-GD2 antibody with GM-CSF, interleukin-2, and isotretinoin for neuroblastoma. N Engl J Med. 2010;363(14):1324-34

6- Peinemann F, van Dalen EC, Enk H, Tytgat GA. Anti-GD2 antibodycontaning imunotherapy postconsolidation therapy for people with high risk neuroblastoma treated with autologous haematopoietic stem cell transplantation. Cochrane Database System Ver 2019 Apr 24;4(4):CD012442 doi: 10.1002/14651858

7- Rajen Mody, MS, MD1; Alice L. Yu, MD, PhD2,3; Arlene Naranjo, PhD4; Fan F. Zhang, MS5; Wendy B. London, PhD6; Barry L. Shulkin, MBA, MD. Irinotecan, Temozolomide, and Dinutuximab With GM-CSF in Children With Refractory or Relapsed Neuroblastoma: A Report From the Children's Oncology Group. Pediatric Oncology - J Clin Oncol 38:2160-2169. © 2020. <https://doi.org/10.1200/JCO.20.00203>

8- Fabio Morandi, Federica Sabatini, Marina Podestà, and Irma Aioldi. Immunotherapeutic Strategies for Neuroblastoma: Present, Past and Future. Vaccines (Basel). 2021 Jan; 9(1): 43. Published online 2021 Jan 13. doi: 10.3390/vaccines9010043

9- Ladenstein R, Pötschger U, Valteau-Couanet D, Luksch R, Castel V, Yaniv I, et al. Interleukin 2 with anti-GD2 antibody ch14.18/CHO (dinutuximab beta) in patients with highrisk neuroblastoma (HR-NBL1/SIOPEN): a multicentre, randomised, phase 3 trial. Lancet Oncol 2018;19:1617-29. [https://doi.org/10.1016/s1470-2045\(18\)30578-3](https://doi.org/10.1016/s1470-2045(18)30578-3)

10- Mody R, Yu AL, Naranjo A, Zhang FF, London WB, Shulkin BL, Parisi MT, Servaes SE, Diccianni MB, Hank JA, Felder M, Birstler J, Sondel PM, Asgharzadeh S, Glade-Bender J, Katzenstein H, Maris JM, Park JR, Bagatell R. Irinotecan, Temozolomide, and Dinutuximab With GM-CSF in Children With Refractory or Relapsed Neuroblastoma: A Report From the Children's Oncology Group. J Clin Oncol. 2020 Jul 1;38(19):2160-2169. doi: 10.1200/JCO.20.00203. Epub 2020 Apr 28. PMID: 32343642; PMCID: PMC7325366.

11- Mody R, Naranjo A, Van Ryn C, Yu AL, London WB, Shulkin BL, Parisi MT, Servaes SE, Diccianni MB, Sondel PM, Bender JG, Maris JM, Park JR, Bagatell R. Irinotecan-temozolomide with temsirolimus or dinutuximab in children with refractory or relapsed neuroblastoma (COG ANBL1221): an open-label, randomised, phase 2 trial. Lancet Oncol. 2017 Jul;18(7):946-957. doi: 10.1016/S1470-2045(17)30355-8. Epub 2017 May 23. PMID: 28549783; PMCID: PMC5527694.

12- Jaume Mora, Alicia Castañeda, Maite Gorostegui, Vicente SantaMaría, Moira Garraus, Juan Pablo Muñoz, Amalia Varo, Sara PerezJaume, Salvador Mañe. Naxitamab combined with granulocytemacrophage colony-stimulating factor as consolidation for high-risk neuroblastoma patients in complete remission. Pediatr Blood Cancer 2021 Oct;68(10):e29121. doi: 10.1002/pbc.29121. Epub 2021 May 22.

13- Shakeel Modak, Brian H. Kushner, Audrey Mauguén, Alicia Castañeda, Amalia Varo, Maite Gorostegui. Naxitamab-based chemoimmunotherapy for resistant high-risk neuroblastoma: Results of "HITS" phase II study. Meeting Abstract | 2022 ASCO Annual Meeting I. Disponível em: https://ascopubs.org/doi/abs/10.1200/JCO.2022.40.16_suppl.10028

14- Navin Pinto, Steven G. DuBois, Araz Marachelian, Scott J. Dieder, Agne Taraseviciute, Julia L. Glade Bender, Denice Tsao-Wei, Susan G. Groshen, Joel M. Reid, Daphne A. Haas-Kogan, C. Patrick Reynolds, Min H. Kang, Meredith S. Irwin, Margaret E. Macy, Judith G. Villablanca, Katherine K. Matthay, and Julie R. Park. Phase I study of vorinostat in combination with isotretinoin in patients with refractory/recurrent neuroblastoma: A new approaches to Neuroblastoma Therapy (NANT) trial. *Pediatr Blood Cancer*. 2018 Jul; 65(7): e27023. Published online 2018 Mar 30. doi: 10.1002/pbc.27023

15- Steven G DuBois, M Meaghan Granger, Susan Groshen, Denice TsaoWe, Lingyun Ji , Anasheh Shamirian, Scarlett Czarnecki, Fariba Goodarzian , Rachel Berkovich, Hiroyuki Shimada , Judith G Villablanca, Kieuhoa T Vo, Navin Pinto, Yael P Mosse, John M Maris, Suzanne Shusterman, Susan L Cohn, Kelly C Goldsmith, Brian Weiss, Gregory A Yanik, Clare J Twist, Meredith S Irwin, Daphne A Haas-Kogan, Julie R Park, Araz Marachelian, Katherine K Matthay. Randomized Phase II Trial of MIBG Versus MIBG, Vincristine, and Irinotecan Versus MIBG and Vorinostat for Patients With Relapsed or Refractory Neuroblastoma: A Report From NANT Consortium. *J Clin Oncol* . 2021 Nov 1;39(31):3506-3514. doi: 10.1200/JCO.21.00703. Epub 2021 Jul 16.

16. Gilman AL, Ozkaynak MF, Matthay KK, et al. Phase I study of ch14.18 with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor and interleukin-2 in children with neuroblastoma after autologous bone marrow transplantation or stem-cell rescue: a report from the Children's Oncology Group. *J Clin Oncol*. 2009;27(1):85-91.

17. Yu AL, Gilman AL, Ozkaynak MF, et al. Anti-GD2 antibody with GM-CSF, interleukin-2, and isotretinoin for neuroblastoma. *N Engl J Med*. 2010;363(14):1324-1334. 18. Oken MM, Creech RH, Tormey DC, Horton J, Davis TE, McFadden ET, Carbone PP. Toxicity and response criteria of the Eastern Cooperative Oncology Group. *Am J Clin Oncol*. 1982 Dec;5(6):649-655. PMID: 7165009.

1. Mora J, Castañeda A, Gorostegui M, Santa-María V, Garraus M, Muñoz JP, Varo A, Perez-Jaume S, Mañe S. Naxitamab combined with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor as consolidation for high-risk neuroblastoma patients in complete remission. *Pediatr Blood Cancer*. 2021 Oct;68(10):e29121. doi: 10.1002/pbc.29121. Epub 2021 May 22. PMID: 34022112.
2. Mora J, Chan GC, Morgenstern DA, Nysom K, Bear MK, Tornøe K, Kushner BH. Outpatient administration of naxitamab in combination with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor in patients with refractory and/or relapsed high-risk neuroblastoma: Management of adverse events. *Cancer Rep (Hoboken)*. 2023 Jan;6(1):e1627. doi: 10.1002/cnr.2.1627. Epub 2022 May 17. PMID: 35579862; PMCID: PMC9875606.
3. Mora J, Castañeda A, Gorostegui M, Varo A, Perez-Jaume S, Simao M, Muñoz JP, Garraus M, Larrosa C, Salvador N, Lavarino C, Krauel L, Mañe S. Naxitamab Combined with Granulocyte-Macrophage Colony-Stimulating Factor as Consolidation for High-Risk Neuroblastoma Patients in First Complete Remission under Compassionate Use-Updated Outcome Report. *Cancers (Basel)*. 2023 Apr 28;15(9):2535. doi: 10.3390/cancers15092535. PMID: 37174002; PMCID: PMC10177429.
4. Yu AL, Gilman AL, Ozkaynak MF, London WB, Kreissman SG, Chen HX, Smith M, Anderson B, Villablanca JG, Matthay KK, Shimada H, Grupp SA, Seeger R, Reynolds CP, Buxton A, Reisfeld RA, Gillies SD, Cohn SL, Maris JM, Sondel PM; Children's Oncology Group. Anti-GD2 antibody with GM-CSF, interleukin-2, and isotretinoin for neuroblastoma. *N Engl J Med*. 2010 Sep 30;363(14):1324-34. doi: 10.1056/NEJMoa0911123. PMID: 20879881; PMCID: PMC3086629.

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.

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



TRIBUNAL DE JUSTIÇA DE SÃO PAULO
■ SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS
SGP 5 – Diretoria da Saúde

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.