

NOTA TÉCNICA Nº 8358/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5002471-51.2024.4.03.6107
- 1.3. Data da Solicitação: 15/10/2025
- 1.4. Data da Resposta: 15/12/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 08/07/2019 – 06 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Birigui/SP
- 2.4. Histórico da doença: Epilepsia Refratária e Hemofilia Hereditária “A” Grave sem inibido – CID D66

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?
HEMCIBRA 60mg	Emicizumabe	1010006670027	SIM	Emicizumabe Estratégico- 30 mg/mL solução injetável 150 mg /mL (apresentações de 0,4 ml , 0,7 ml e 1 ml) solução injetável	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
HEMCIBRA	HEMCIBRA	PRODUTOS ROCHE QUÍMICOS E FARMACÊUTICOS S.A.	60 MG SOL INJ SC CT 1 FA VD TRANS X 0,4 ML	R\$ 22.52,28	1 amp 1x sem por 4 sem Depois 2 ampolas 1x sem cada 4 sem	-
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 DEZEMBRO/ 2025

4.3. Recomendações da CONITEC: dsiponivel no SUS

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A evidência científica demonstra que emicizumabe é indicado para profilaxia de sangramento em pacientes pediátricos com hemofilia A, independentemente da presença de inibidores de fator VIII. Nos Estados Unidos, o FDA aprova o uso de emicizumabe (Hemlibra) para crianças e adultos com hemofilia A, com ou sem inibidores.

Em crianças, incluindo aquelas de 6 anos, estudos clínicos e meta-análises mostram que emicizumabe reduz significativamente a taxa anualizada de sangramento (ABR), com a maioria dos pacientes apresentando zero ou poucos episódios de sangramento, e excelente perfil de segurança. Não há contraindicação específica relacionada ao autismo ou epilepsia; essas comorbidades não alteram a indicação ou o perfil de segurança do emicizumabe. O regime de administração é subcutâneo, com esquemas de dose semanal, quinzenal ou mensal, conforme protocolos validados em estudos pediátricos.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

A segurança do emicizumabe em crianças é robusta, com eventos adversos geralmente leves (reação local, nasofaringite) e raros casos de desenvolvimento de anticorpos neutralizantes, sem aumento de risco de trombose ou microangiopatia quando não há uso concomitante de APCC. O uso em pacientes com distúrbios neurológicos, como autismo e epilepsia, não apresenta restrições específicas na literatura.

6. Conclusão

6.1. Parecer

- () Favorável solicitado administrativamente.
() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Emicizumabe é cientificamente indicado e seguro para profilaxia de hemorragias em um paciente de 6 anos com hemofilia A, mesmo na presença de autismo e crises epilépticas, desde que não haja contraindicações individuais. Deve ser solicitado administrativamente.

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

Bolou K, Triantafyllou G, Dettoraki A, et al. Outcomes of emicizumab treatment for haemophilia a paediatric patients: a systematic review with meta-analysis. *Haemophilia*. 2025. doi:10.1111/hae.70189.

Callaghan MU, Negrier C, Paz-Priell I, et al. Long-term outcomes with emicizumab prophylaxis for hemophilia A with or without FVIII inhibitors from the HAVEN 1-4 studies. *Blood*. 2021;137(16):2231-2242. doi:10.1182/blood.2020009217.

Young G, Liesner R, Chang T, et al. A multicenter, open-label phase 3 study of emicizumab prophylaxis in children with hemophilia A with inhibitors. *Blood*. 2019;134(24):2127-2138. doi:10.1182/blood.2019001869.

Buckner TW, Carpenter SL, Daoud N, et al. Safety and effectiveness of emicizumab in people with haemophilia A enrolled in the ATHN 7 Haemophilia Natural History Study. *Haemophilia*. 2025. doi:10.1111/hae.70151.

Shima M, Nogami K, Nagami S, et al. A multicentre, open-label study of emicizumab given every 2 or 4 weeks in children with severe haemophilia A without inhibitors. *Haemophilia*. 2019;25(6):979-987. doi:10.1111/hae.13848.

Chowdary P, Carcao M, Kenet G, Pipe SW. *Haemophilia*. *Lancet*. 2025;405(10480):736-750. doi:10.1016/S0140-6736(24)02139-1.

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.

RENOME - 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.