

NOTA TÉCNICA Nº 8433/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5005012-63.2024.4.03.6105
1.3. Data da Solicitação: 17/10/2025
1.4. Data da Resposta: 15/12/2025
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- [REDACTED]
2.1. Data de Nascimento/Idade: 08/09/1986 - 39 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: Campinas/SP
2.4. Histórico da doença: Cardiomiopatia hipertrófica - I42.2

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?
MAVACANTENO 5mg 1cp/dia, VO, com reavaliação da dose após 30 dias do início do tratamento.	Mavacanteno	1018004130020	NÃO	Propranolol	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
MAVACANTENO	CAMZYOS	BRISTOL-MYERS SQUIBB FARMACÊUTICA LTDA	5 MG CAP DURA CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 28	R\$ 6170,74	5mg 1cp/dia	
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: NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Paciente de 39 anos com diagnóstico de cardiomiopatia hipertrófica assimétrica. O ecocardiograma encaminhado revela septo 26 mm e parede posterior de 12 mm, com velocidade de pico de 6,1 m/s na via de saída de ventrículo esquerdo (VSVE) com gradiente de pico de 150 mmHg e médio de 81 mmHg. Com implante de cardiodesfibrilador implantável (CDI) para profilaxia primária de morte súbita em fevereiro de 2024.

A cardiomiopatia hipertrófica (CMH) é uma doença geneticamente determinada que comumente resulta na obstrução do trato de saída do ventrículo esquerdo (TSVE), o que pode causar desconforto no peito, dispnéia, fadiga e síncope. Para pacientes com CMH obstrutiva e sintomas graves que afetam a qualidade de vida, apesar da monoterapia inicial com um betabloqueador ou bloqueador dos canais de cálcio não di-hidropiridínico, as opções de tratamento incluem terapia de redução septal (ou seja, ablação septal alcoólica, miectomia cirúrgica) ou terapia médica adicional com agentes inotrópicos negativos mais potentes (ou seja, terapia combinada com disopiramida, terapia combinada com inibidor da miosina)

Os inibidores da miosina (**mavacamten** e aficamten) atuam inibindo a enzima miosina ATPase cardíaca, o que limita a formação de pontes cruzadas miosina-actina e diminui a contratilidade miocárdica. Em pacientes com CMH obstrutiva, a menor contratilidade atenua a velocidade de ejeção sistólica inicial, o que diminui ou elimina o contato entre a valva mitral e o septo ventricular. Os inibidores da miosina podem melhorar a função diastólica. O efeito final é a redução do gradiente da VSVE e da carga de sintomas.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

A eficácia e a segurança do mavacamten foram estabelecidas em ensaios clínicos que incluíram pacientes resistentes à monoterapia com betabloqueador ou bloqueador dos canais de cálcio; não há estudos que comparem o efeito do mavacamten com outras terapias médicas ou terapia de redução septal. Os ensaios clínicos com mavacamten e aficamten demonstraram que, em média, os pacientes que tomaram qualquer um dos agentes apresentaram melhora na capacidade funcional, medida pelo pico de VO2máx, melhora na carga de sintomas pela classe NYHA e pelo Questionário de Cardiomiopatia de Kansas City, e redução no gradiente do VE em comparação ao grupo de pacientes que recebeu placebo.

Em um estudo com pacientes com CMH e gradiente de VSVE ≥ 50 mmHg, a indicação para mavacamten apresentou maior probabilidade de melhorar a classe NYHA em pelo menos 1 nível (59 versus 15% no grupo placebo) e de melhorar o gradiente de VSVE com Valsalva (diferença na diferença -70 mmHg; IC 95% -90 a -51).

Em outro estudo com 112 pacientes com CMH obstrutiva que receberam tratamento máximo com terapia medicamentosa e que foram encaminhados para terapia de redução septal, os pacientes foram aleatoriamente designados para receber terapia com mavacamten ou placebo por 16 semanas antes da terapia de redução septal. Após 16 semanas, os pacientes no grupo mavacamten apresentaram menor probabilidade de atender aos critérios para terapia de redução septal ou de terem sido submetidos à terapia de redução septal em comparação com aqueles que receberam placebo (77 versus 18% no grupo mavacamten; diferença de 59%, IC 95% 44-74%). Mais pacientes tratados com mavacamten apresentaram melhora dos sintomas de classe NYHA ≥ 1 (63 versus 21%) e menor gradiente de VE com Valsalva em 16 semanas (28 versus 78 mmHg). Notavelmente, dois pacientes em cada grupo foram submetidos à terapia de redução septal. As limitações deste estudo incluem o período de acompanhamento relativamente curto e o uso de desfechos substitutos.

Entre aqueles tratados com mavacamten após a fase randomizada inicial do estudo, incluindo pacientes no grupo placebo, houve redução adicional na fração de ejeção de ventrículo esquerdo (FEVE) em pacientes submetidos ou que preencheram os critérios para terapia de redução septal. Após 56 semanas de acompanhamento, 11% dos pacientes tratados com mavacamten apresentaram disfunção sistólica do VE significativa e uma morte foi associada à disfunção sistólica do VE induzida por mavacamten.

No estudo EXPLORER-HCM, com 251 pacientes com CMH obstrutiva (FEVE $> 55\%$ e gradiente VE ≥ 50 mmHg) e sintomas de IC classe II ou III da NYHA, apesar da monoterapia com betabloqueador ou bloqueador dos canais de cálcio, os pacientes foram aleatoriamente designados para receber mavacamten ou placebo por 30 semanas. Após 30 semanas de observação, cinco pacientes descontinuaram a terapia designada (três no grupo mavacamten e dois no grupo placebo). A melhora no consumo de oxigênio medida pelo teste de exercício cardiopulmonar foi maior no grupo mavacamten do que no grupo placebo (1,4 versus -0,1 mL/kg/min), e a fração de pacientes com melhora tanto no consumo de oxigênio $\geq 3,0$ mL/kg/min quanto na classe NYHA ≥ 1 foi maior no grupo mavacamten (20 versus 8%; diferença de 12,5%, IC de 95% 4-21%). Os efeitos adversos, incluindo fibrilação atrial, síncope, morte súbita e insuficiência cardíaca, foram semelhantes entre os dois grupos. Ao final do estudo, a FEVE foi 4% menor no grupo mavacamten.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Não há estudos de longo prazo e avaliando o impacto na sobrevida. Não há, até o presente momento, evidência de que a medicação reduza a mortalidade de paciente com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva. Não há estudos comparativos entre os medicamentos β -bloqueadores ou bloqueadores dos canais de cálcio com o medicamento mavacanteno ou mesmo com os procedimentos cirúrgicos disponíveis na rede pública- os resultados são redução no gradiente VSVE e na carga de sintomas, com alto custo da medicação. Há substitutos terapêuticos no SUS.

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

Zampieri M, Argirò A, Marchi A, et al. Mavacamten, a Novel Therapeutic Strategy for Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. Curr Cardiol Rep 2021; 23:79.

Cremer PC, Geske JB, Owens A, et al. Myosin Inhibition and Left Ventricular Diastolic Function in Patients With Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy Referred for Septal Reduction Therapy: Insights From the VALOR-HCM Study. Circ Cardiovasc Imaging 2022; 15:e014986.

Olivotto I, Oreziak A, Barriales-Villa R, et al. Mavacamten for treatment of symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy (EXPLORER-HCM): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. Lancet 2020; 396:759.

Desai MY, Owens A, Geske JB, et al. Myosin Inhibition in Patients With Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy Referred for Septal Reduction Therapy. J Am Coll Cardiol 2022; 80:95.

Maron MS, Masri A, Nassif ME, et al. Aficamten for Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy. N Engl J Med 2024; 390:1849.

Tian Z, Li L, Li X, et al. Effect of Mavacamten on Chinese Patients With Symptomatic Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: The EXPLORER-CN Randomized Clinical Trial. JAMA Cardiol 2023; 8:957.

Desai MY, Owens A, Wolski K, et al. Mavacamten in Patients With Hypertrophic Cardiomyopathy Referred for Septal Reduction: Week 56 Results From the VALOR-HCM Randomized Clinical Trial. JAMA Cardiol 2023; 8:968.

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, norteadora 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.