

NOTA TÉCNICA Nº 5276-A/2025 - NAT-JUS/SP

1. IDENTIFICAÇÃO DO SOLICITANTE

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001474-74.2025.4.03.6126
- 1.3. Data da Resposta: 10/08/2026
- 1.4. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. PACIENTE

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 02/11/1961 – 63 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Neoplasia maligna da pele – CID C44.9

3. QUESITOS:

"Em virtude da apresentação de novas informações do progresso terapêutico lavrada pelo médico assistente (ID 471484359) e das impugnações acerca da existência de outras opções terapêuticas, retornem os autos ao Natjus para que retifique ou ratifique a Nota Técnica n. 5276/2025 apresentada."



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?
LIBTAYO	Cemiplimabe	1221401300014	NÃO	Cirurgia, radioterapia, quimioterapia	NÃO

Medicamento	Marca Comercial de menor preço	Laboratório	Apresentação	Preço vigente Tabela CMED - PMVG
LIBTAYO	LIBTAYO	ADIUM S.A.	50 MG/ML SOL DIL INFUS CT FA VD TRANS X 7 ML	R\$ 29.296,50

4.2. RECOMENDAÇÕES DA CONITEC:

- () RECOMENDADO
() NÃO RECOMENDADO
(x) NÃO AVALIADO

5. DISCUSSÃO

5.1. EVIDÊNCIAS SOBRE A EFICÁCIA E SEGURANÇA DA TECNOLOGIA:

A maioria dos carcinomas basocelulares é tratada com cirurgia, como cirurgia micrográfica de Mohs, curetagem, radioterapia e quimioterapia, incluindo quimioterapia à base de cisplatina e terapias tópicas, como 5-FU e imiquimode. Inibidores sônicos de hedgehog, independentemente da assinatura molecular, podem ser utilizados como tratamento. O vismodegib foi o primeiro inibidor da via hedgehog sonora aprovado pela Food and Drug Administration dos EUA em 2012 para o tratamento de BCC.

Um estudo randomizado, duplo-cego, controlado por placebo em pacientes com a síndrome do nevo basocelular em três centros clínicos de setembro de 2009 a janeiro de 2011, incluiu 41 pacientes. O desfecho primário foi a redução na incidência de novos carcinomas basocelulares elegíveis para ressecção cirúrgica (cirurgicamente elegíveis) com vismodegib versus placebo após 3 meses; os desfechos secundários incluíram a redução no tamanho dos carcinomas basocelulares existentes. Em 41 pacientes acompanhados por uma média de 8 meses (intervalo, 1 a 15) após a inscrição, a taxa por paciente de novos carcinomas basocelulares elegíveis cirurgicamente foi menor com vismodegib do que com placebo (2 vs. 29 casos por grupo por ano, $P < 0,001$), assim como o tamanho (alteração percentual da linha de base na soma do maior diâmetro) dos carcinomas basocelulares clinicamente significativos existentes (-65% vs. -11%, $P = 0,003$). Em alguns pacientes, todos os carcinomas basocelulares regrediram clinicamente. Nenhum tumor progrediu durante o tratamento com vismodegib. No geral, 54% dos pacientes (14 de 26) recebendo vismodegib descontinuaram o tratamento medicamentoso devido a eventos adversos. Em 1 mês, o uso de vismodegib reduziu a expressão do gene-alvo hedgehog pelo carcinoma basocelular em 90% ($P < 0,001$) e diminuiu a proliferação de células tumorais, mas a apoptose não foi afetada. Nenhum carcinoma basocelular residual foi detectável em 83% das amostras de biópsia retiradas de locais de carcinomas basocelulares regredidos clinicamente. (1) No contexto da Sd de Gorlin, a medicação também desmontou eficácia em ensaio clínico placebo controlado, com redução do tamanho da lesão e redução no número de novas neoplasias. (2) No cenário de neoadjuvância, a medicação também se mostrou eficaz em lesões extensas em pacientes. (3,4)

Os estudos demonstram não haver quimioterapia sistêmica eficaz para esses pacientes e revisão recente sobre o assunto, demonstra o benefício da medicação vismodegibe em pacientes com câncer basocelular avançado, recorrente e Sd Gorlin, ressaltando alguns pontos sobre os quais falta melhor esclarecimento na literatura: endpoints clínicos que possam ajudar a determinar a duração ideal do tratamento (tratamento vitalício/contínuo versus tratamento até a melhor resposta), regimes posológicos alternativos, como os investigados no estudo MIKIE que podem melhorar a tolerabilidade e a exposição à dose, aumentando potencialmente o valor terapêutico do

medicamento. A tolerabilidade aprimorada do medicamento é particularmente importante em situações que requerem tratamento de longo prazo, por exemplo, pacientes com síndrome do nevo basocelular que desenvolvem repetidamente múltiplos CBCs ao longo de décadas. (5)

Um estudo de fase 2, aberto, multicêntrico, de braço único, incluiu 84 pacientes (com idade ≥ 18 anos e status de desempenho do Eastern Cooperative Oncology Group de 0 ou 1) com diagnóstico histologicamente confirmado de carcinoma basocelular metastático (grupo 1) ou carcinoma basocelular localmente avançado (grupo 2) que haviam progredido ou eram intolerantes à terapia HHI anterior. Os pacientes receberam 350 mg de cemiplimabe por via intravenosa a cada 3 semanas por até 93 semanas ou até progressão ou toxicidade inaceitável. A duração mediana do acompanhamento foi de 15 meses (IQR 8-18). Uma resposta objetiva por revisão central independente foi observada em 26 (31%; IC 95% 21–42) de 84 pacientes, incluindo duas respostas parciais que surgiram em avaliações tumorais antes do corte de dados e foram confirmadas por avaliações tumorais feitas após o corte de dados. A melhor resposta geral foi de cinco (6%) pacientes com resposta completa e 21 (25%) com resposta parcial. (8)

5.2. BENEFÍCIO/EFEITO/RESULTADO ESPERADO DA TECNOLOGIA:

Melhora do quadro clínico.

6. CONCLUSÃO

6.1. PARECER

(x) Favorável

() Desfavorável

6.2. JUSTIFICATIVA:

A medicação pleiteada demonstrou benefício em pacientes incluídos em ensaios clínicos de fase II, após falha ou intolerância a inibidores da via hedgehog (vismodegibe, por exemplo). O novo relatório especificou a toxicidade apresentada à terapia com vismodegibe.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

(x) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

() NÃO

7. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS:

1. Tang JY, Mackay-Wiggan JM, Aszterbaum M, Yauch RL, Lindgren J, Chang K, Coppola C, Chanana AM, Marji J, Bickers DR, Epstein EH Jr. Inhibiting the hedgehog pathway in patients with the basal-cell nevus syndrome. *N Engl J Med*. 2012 Jun 7;366(23):2180-8.
2. Tang JY, Ally MS, Chanana AM, et al. Inhibition of the hedgehog pathway in patients with basal-cell nevus syndrome: final results from the multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 2 trial. *Lancet Oncol*. 2016;17(12):1720–1731.
3. Chang AL, Atwood SX, Tartar DM, Oro AE. Surgical excision after neoadjuvant therapy with vismodegib for a locally advanced basal cell carcinoma and resistant basal carcinomas in Gorlin syndrome. *JAMA Dermatol*. 2013;149(5):639–641.
4. Mortier L, Bertrand N, Basset-Seguin N, et al. Vismodegib in neoadjuvant treatment of locally advanced basal cell carcinoma: First results of a multicenter, open-label, phase 2 trial (VISMONEO study) *J Clin Oncol*. 2018;36(15 Suppl):9509.
5. Koelblinger P, Lang R. New developments in the treatment of basal cell carcinoma: update on current and emerging treatment options with a focus on vismodegib. *Onco Targets Ther*. 2018 Nov 23;11:8327-8340.
6. Wladis EJ, Aakalu VK, Vagefi MR, Tao JP, McCulley TJ, Freitag SK, Foster JA, Kim SJ. Oral Hedgehog Inhibitor, Vismodegib, for Locally Advanced Periorbital and Orbital Basal Cell Carcinoma: A Report by the American Academy of Ophthalmology. *Ophthalmology*. 2024 Nov;131(11):1339-1344.
7. Barker CA, Dufault S, Arron ST, Ho AL, Algazi AP, Dunn LA, Humphries AA, Hultman C, Lian M, Knott PD, Yom SS. Phase II, Single-Arm Trial of Induction and Concurrent Vismodegib With Curative-Intent Radiation Therapy for Locally Advanced, Unresectable Basal Cell Carcinoma. *J Clin Oncol*. 2024 Jul 1;42(19):2327-2335.
8. Cemiplimab in locally advanced basal cell carcinoma after hedgehog inhibitor therapy: an open-label, multi-centre, single-arm, phase 2 trial. Stratigos, Alexander J et al. *The Lancet Oncology*, Volume 22, Issue 6, 848 – 857
9. Lewis KD, Peris K, Sekulic A, Stratigos AJ, Dunn L, Eroglu Z, Chang ALS, Migden MR, Yoo SY, Mohan K, Coates E, Okoye E, Bowler T, Baurain JF, Bechter O, Hauschild A, Butler MO, Hernandez-Aya L, Licitra L, Neves RI, Ruiz ES, Seebach F, Lowy I, Goncalves P, Fury MG. Final analysis of phase II results with cemiplimab in metastatic basal cell carcinoma after hedgehog pathway inhibitors. *Ann Oncol*. 2024 Feb;35(2):221-228.

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.

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.