NOTA TÉCNICA Nº 5395-A-2023 - NAT-JUS/SP

1. IDENTIFICAÇÃO DO SOLICITANTE

1.1. Solicitante: [redacted]

1.2. Processo nº 5007228-04.2023.4.03.6114

1.3. Data da Resposta: 14/10/2026

1.4. Requerida: **SAÚDE SUPLEMENTAR**

2. PACIENTE

2.1. Data de Nascimento/Idade: 07/02/2020 – 6 anos

2.2. Sexo: Masculino

2.3. Cidade/UF: São Bernardo do Campo/SP

2.4. Histórico da doença: Outras deficiências imunitárias combinadas – CID D81.8

3. QUESITOS

Solicito **Reanálise** do processo em questão relativo à solicitação de Nota Técnica Complementar (NT nº 5395/23). Seguem documentos atualizados para subsidiar a confecção da Nota Técnica Complementar. Deixo, abaixo, trecho da Decisão/Relatório da 6ª Turma do TRF3 que fundamento o pedido:

"Ocorre que, analisando detidamente os autos, verifica-se que a bula registrada na ANVISA não contempla a patologia que acomete a parte autora e expressamente contraindica a medicação para menores de 13 anos e o autor, atualmente, possui 5 anos de idade.

No entanto, as duas análises técnicas realizadas nos autos nada consignam acerca dessa expressa contraindicação e do uso, aparentemente, uso "off label". Além do mais, consta dos autos que o requerente tem recebido o medicamento (ID 317170838) ao menos desde agosto de 2024.

Nesse contexto, considerado que a bula registrada na ANVISA expressamente contraindica o medicamento para menores de 13 anos, e que tal circunstância não foi analisada nas provas técnicas, de rigor a retirada de pauta para que seja determinada a juntada de documentação e relatório médicos atualizados e, então, elaborada nova Nota Técnica específica para o caso concreto, considerando as especificidades elencadas".

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?
RAPAMUNE	SIROLIMO	1211004530016	NÃO	-	NÃO

Medicamento	Marca Comercial de menor preço	Laboratório	Apresentação	Preço vigente Tabela CMED - PMVG
RAPAMUNE	RAPAMUNE	PFIZER BRASIL LTDA	1 MG DRG CT BL AL PLAS TRANS X 60	**R$ 1.829,03**

4.2. RECOMENDAÇÕES DA CONITEC:

( ) RECOMENDADO
( ) NÃO RECOMENDADO
(X) NÃO AVALIADO

Não foi identificada recomendação específica da CONITEC para incorporação do sirolimo no tratamento da síndrome da PI3K delta ativada.

5. DISCUSSÃO

5.1. EVIDÊNCIAS SOBRE A EFICÁCIA E SEGURANÇA DA TECNOLOGIA:

A síndrome da PI3K delta ativada (APDS) é um erro inato da imunidade, de herança autossômica dominante, decorrente de alterações genéticas que resultam em hiperativação da via de sinalização PI3K. A APDS tipo 1 é causada por mutações de ganho de função no gene PIK3CD, enquanto a APDS tipo 2 está associada a alterações no gene PIK3R1. A ativação persistente dessa via compromete a diferenciação e a função dos linfócitos B e T, resultando em imunodeficiência combinada, infecções recorrentes, linfoproliferação não neoplásica, citopenias imunomediadas, manifestações gastrointestinais e maior risco de neoplasias hematológicas.

A doença apresenta importante heterogeneidade clínica. Alguns pacientes desenvolvem manifestações relativamente controláveis, enquanto outros apresentam comprometimento multissistêmico grave desde os primeiros meses de vida. O diagnóstico molecular permite estabelecer a etiologia da desregulação imunológica e fundamentar estratégias terapêuticas direcionadas às vias intracelulares envolvidas.

O paciente em análise apresenta fenótipo grave de início neonatal, caracterizado por infecção disseminada após vacinação BCG, citopenias importantes, infecções recorrentes, viremia por EBV, linfadenomegalias, hepatoesplenomegalia e comprometimento gastrointestinal, com necessidade de múltiplas internações. A confirmação de mutação de ganho de função em PIK3CD estabelece o diagnóstico de APDS1 e demonstra a relação entre as manifestações clínicas e a alteração molecular identificada.

A ativação constitutiva da via PI3K/AKT/mTOR promove proliferação e sobrevivência anormais de populações linfocitárias. O sirolimo inibe mTORC1, componente intracelular situado a jusante da ativação de PI3Kδ, reduzindo a proliferação linfocitária patológica. Embora não corrija a mutação genética nem restaure integralmente a função imunológica, o medicamento pode controlar manifestações decorrentes da ativação excessiva dessa via, especialmente linfadenomegalias e esplenomegalia.

O principal estudo observacional inicial sobre a utilização de rapamicina em APDS foi publicado por Maccari e colaboradores, em 2018, a partir do registro da European Society for Immunodeficiencies (ESID). A coorte incluiu pacientes com APDS1 e APDS2 e avaliou manifestações clínicas, evolução da doença e resposta às intervenções terapêuticas. Entre os pacientes tratados com rapamicina, a linfoproliferação apresentou as melhores taxas de resposta: 8 de 25 pacientes avaliáveis alcançaram remissão completa, 11 apresentaram remissão parcial e 6 não obtiveram remissão, correspondendo a resposta completa ou parcial em 76% dos avaliáveis.

Os resultados demonstraram que o benefício do sirolimo não é uniforme para todas as manifestações da APDS. O controle da inflamação intestinal e das citopenias foi menos consistente, indicando que o medicamento não deve ser considerado tratamento capaz de

corrigir integralmente a imunodeficiência. Ainda assim, o efeito sobre a linfoproliferação constitui benefício clinicamente relevante, pois a esplenomegalia e a linfadenopatia persistentes podem causar sintomas, complicações hematológicas e comprometimento de órgãos.

O estudo incluiu pacientes pediátricos e descreveu a necessidade de múltiplas linhas de imunossupressão ainda na infância em parcela dos indivíduos com APDS. Portanto, existem dados de utilização de rapamicina em pacientes com idade inferior a 13 anos no contexto dessa doença, embora não provenientes de ensaios randomizados especificamente desenhados para demonstrar segurança nessa faixa etária.

A segurança do sirolimo exige atenção especial. No registro ESID, alguns pacientes interromperam o tratamento por efeitos adversos, incluindo cefaleia importante, anorexia e toxicidade renal. Também foram relatadas interrupções temporárias por úlceras orais, alterações hepáticas e renais. Esses achados reforçam que a resposta terapêutica deve ser acompanhada de vigilância sistemática de toxicidade.

Revisões posteriores sobre o tratamento da APDS confirmaram o papel do sirolimo como opção de controle da linfoproliferação não neoplásica, especialmente antes da disponibilidade de terapias direcionadas à própria PI3Kδ. Entretanto, ressaltaram que a imunossupressão não corrige completamente a predisposição a infecções e que os efeitos em longo prazo, incluindo o impacto sobre o risco de malignidade, permanecem incertos.

Dados mais recentes do registro ESID, publicados em 2026, ampliaram a experiência com rapamicina e leniolisibe em pacientes com APDS. Nessa análise retrospectiva, foram incluídos 95 pacientes tratados com uma ou ambas as tecnologias, dos quais 81 receberam rapamicina. A linfoproliferação foi a principal indicação do tratamento com rapamicina, e respostas completas ou parciais foram observadas em aproximadamente 67% dos pacientes tratados. Eventos adversos que motivaram interrupção ocorreram no grupo da rapamicina.

Essa análise reforça a existência de atividade clínica do medicamento em pacientes com APDS, mas mantém limitações inerentes ao desenho retrospectivo, à heterogeneidade da população e à ausência de comparação randomizada. Os dados não permitem afirmar que o sirolimo aumenta a sobrevida ou previne transformação maligna.

A questão da contraindicação etária exige análise específica. A bula profissional brasileira do Rapamune contraindica sua utilização em menores de 13 anos. Essa restrição deve ser reconhecida expressamente e permanece aplicável do ponto de vista regulatório, independentemente das publicações sobre uso pediátrico em doenças raras.

Por outro lado, a APDS1 constitui condição genética distinta das indicações registradas do sirolimo, com mecanismo fisiopatológico diretamente relacionado à hiperativação de mTOR. Os estudos observacionais específicos da APDS incluem pacientes pediátricos e demonstram respostas clinicamente relevantes da linfoproliferação. Assim,

há evidência de plausibilidade biológica e benefício potencial nessa população, mas não evidência suficiente para afirmar que a contraindicação etária da bula deixou de ser pertinente ou que a segurança esteja definitivamente estabelecida.

No caso concreto, a análise é particularmente relevante porque não se trata de iniciar uma terapia sem experiência prévia no paciente. Conforme a documentação judicial, o sirolimo vem sendo fornecido pelo menos desde agosto de 2024, e o relatório médico de março de 2026 descreve melhora clínica sustentada após sua introdução.

A médica assistente informa redução significativa da linfoproliferação, regressão da esplenomegalia e estabilização hematológica, além de ausência de novas internações e de episódios infecciosos graves. Essas observações são compatíveis com o principal benefício demonstrado na literatura, isto é, o controle da proliferação linfocitária não neoplásica.

A resposta clínica individual, quando sustentada ao longo do tempo, constitui informação relevante para avaliação do benefício-risco da continuidade terapêutica, especialmente em doenças raras e diante de evidências predominantemente observacionais. Entretanto, deve-se reconhecer que o relatório apresenta avaliação descritiva, sem medidas seriadas de esplenomegalia, hemogramas comparativos ou outros parâmetros objetivos que permitam quantificar a resposta.

Da mesma forma, a redução das infecções não pode ser atribuída exclusivamente ao sirolimo, pois o paciente também utiliza azitromicina profilática e recebe acompanhamento especializado. O sirolimo não é tratamento comprovadamente capaz de corrigir a suscetibilidade infecciosa da APDS e, por sua ação imunossupressora, pode aumentar o risco de determinadas infecções.

Outro aspecto importante é que a documentação não descreve os níveis séricos de sirolimo, a evolução da função renal e hepática, o perfil lipídico ou outros parâmetros de segurança. A ausência de relato de eventos adversos graves não equivale à comprovação de ausência de toxicidade. Portanto, a continuidade do tratamento deve estar vinculada a acompanhamento especializado e monitorização laboratorial periódica.

A dose de 0,15 mg/kg/dia consta do relatório de 2023, mas não há confirmação de que corresponda à dose atual. Em criança com crescimento ponderal e tratamento prolongado, a dose deve ser individualizada conforme resposta, tolerabilidade, interações medicamentosas e concentrações sanguíneas, quando indicadas.

Quanto às alternativas terapêuticas, o tratamento da APDS pode incluir imunoglobulina, profilaxia antimicrobiana, manejo das complicações infecciosas, imunomodulação, inibidores específicos de PI3Kδ e, em situações selecionadas, transplante de células-tronco hematopoéticas. Essas abordagens possuem objetivos e perfis de risco distintos.

O leniolisibe, inibidor seletivo de PI3K, apresenta evidência clínica específica para APDS, incluindo estudo randomizado que demonstrou redução de linfadenopatia e

melhora de parâmetros imunológicos. Sua existência deve ser reconhecida na discussão terapêutica atual. Entretanto, não foi apresentada documentação que comprove sua disponibilidade efetiva, elegibilidade regulatória e possibilidade de substituição imediata no contexto assistencial brasileiro deste paciente. Também não existem dados suficientes para afirmar que uma troca de tratamento em criança clinicamente estável produziria benefício superior.

O transplante de células-tronco hematopoéticas pode ser considerado em determinadas apresentações graves de APDS, mas envolve riscos significativos e não constitui substituto simples e universal do tratamento farmacológico em paciente atualmente estabilizado.

A suspensão do sirolimo merece análise cuidadosa. Como o medicamento atua no controle da sinalização proliferativa anormal, a interrupção pode permitir reaparecimento das manifestações previamente controladas. Essa possibilidade é biologicamente plausível e descrita na experiência clínica com APDS, embora não seja possível quantificar o risco individual ou afirmar que a suspensão necessariamente causaria complicações graves imediatas.

Portanto, a literatura científica demonstra benefício potencial do sirolimo no controle da linfoproliferação associada à APDS, inclusive em pacientes pediátricos. A evidência é predominantemente observacional, e não há comprovação robusta de benefício sobre mortalidade ou prevenção de neoplasias. A contraindicação para menores de 13 anos permanece expressamente descrita na bula brasileira e constitui limitação regulatória importante.

No caso específico, entretanto, existe doença genética grave confirmada, manifestações clínicas compatíveis com a indicação estudada, histórico de complicações significativas e relato de resposta sustentada durante o uso prolongado do medicamento. Esses elementos sustentam uma avaliação individualizada favorável à continuidade, desde que acompanhada de monitorização especializada e reavaliação periódica do benefício-risco.

5.2. BENEFÍCIO/EFEITO/RESULTADO ESPERADO DA TECNOLOGIA:

O benefício esperado do sirolimo é o controle da linfoproliferação não neoplásica associada à APDS1, com redução de esplenomegalia e linfadenomegalias, estabilização de manifestações hematológicas relacionadas à desregulação imunológica e possível redução das complicações decorrentes da proliferação linfocitária.

No registro ESID de 2018, aproximadamente 76% dos pacientes avaliáveis apresentaram resposta completa ou parcial da linfoproliferação. Na análise retrospectiva publicada em 2026, a resposta completa ou parcial foi observada em aproximadamente 67% dos pacientes tratados com rapamicina.

No caso concreto, a médica assistente relata regressão da esplenomegalia, redução da linfoproliferação e estabilização hematológica, indicando benefício clínico individual compatível com os resultados observados na literatura.

Não há evidência suficiente para afirmar que o sirolimo previna linfoma, elimine o risco infeccioso ou modifique definitivamente a história natural da doença.

6. CONCLUSÃO

6.1. PARECER

(X) Favorável

( ) Desfavorável

6.2. JUSTIFICATIVA:

Trata-se de paciente pediátrico de 6 anos, com APDS tipo 1 confirmada por mutação de ganho de função em PIK3CD, apresentando histórico de imunodeficiência grave desde o período neonatal, infecções recorrentes, citopenias e linfoproliferação importante, com múltiplas internações.

A Nota Técnica nº 5395/2023 foi favorável ao sirolimo, mas não discutiu expressamente a contraindicação etária e a utilização fora da indicação aprovada. A presente reanálise reconhece essas limitações regulatórias e incorpora as evidências clínicas disponíveis, incluindo a experiência pediátrica publicada em pacientes com APDS.

A bula brasileira do Rapamune contraindica o medicamento para menores de 13 anos, sendo essa restrição relevante e não afastada pela literatura. Entretanto, os estudos específicos de APDS demonstram atividade clínica do sirolimo sobre a linfoproliferação, manifestação predominante no caso apresentado.

O paciente recebe o medicamento pelo menos desde agosto de 2024, com relato médico atualizado de melhora da linfoproliferação, regressão da esplenomegalia, estabilização hematológica e ausência de novas internações. Esses achados constituem evidência clínica individual de benefício, embora ainda não acompanhada de documentação laboratorial seriada suficiente para quantificação objetiva.

A suspensão de tratamento aparentemente eficaz em paciente com doença genética grave e histórico de complicações significativas pode resultar em perda do controle da linfoproliferação. Por outro lado, a continuidade não é isenta de riscos, especialmente diante da contraindicação etária, imunossupressão e possibilidade de toxicidade hematológica, renal, hepática e metabólica.

Dessa forma, a avaliação individualizada do benefício-risco sustenta parecer FAVORÁVEL à manutenção do sirolimo, com as seguintes condições assistenciais: acompanhamento regular por especialista em imunologia clínica pediátrica, avaliação periódica de hemograma, função renal e hepática, perfil lipídico, investigação de

infecções e monitorização da exposição ao sirolimo conforme protocolo assistencial, além de reavaliação da dose e da necessidade de continuidade conforme resposta e tolerabilidade.

Recomenda-se que a equipe assistente documente objetivamente a evolução da esplenomegalia, linfadenomegalias, citopenias, infecções e eventuais eventos adversos, permitindo reavaliação periódica da pertinência do tratamento.

Resposta específica aos pontos levantados pelo magistrado:

a) A indicação consta da bula da ANVISA?
Não. O uso de sirolimo para APDS1 é fora da indicação aprovada.

b) Existe contraindicação etária?
Sim. A bula brasileira de Rapamune® contraindica expressamente sua utilização em menores de 13 anos. O paciente, com 6 anos, encontra-se nessa faixa etária.

c) Existem evidências científicas de uso em crianças com APDS?
Sim. Registros e séries observacionais incluem pacientes pediátricos e demonstram respostas relevantes da linfoproliferação. Entretanto, não eliminam a contraindicação regulatória nem estabelecem segurança definitiva nessa idade.

d) O paciente apresenta benefício com o tratamento?
Segundo o relatório médico atualizado, sim. Foram descritas redução da linfoproliferação, regressão da esplenomegalia, estabilização hematológica e ausência de novas internações. Esses resultados são clinicamente relevantes, mas carecem de documentação objetiva seriada para quantificação.

e) A continuidade do medicamento é tecnicamente justificável?
Sim, em caráter excepcional, diante da gravidade da doença, da resposta clínica individual descrita e da evidência observacional específica para APDS, desde que mantida avaliação especializada e monitorização rigorosa de segurança.

f) A contraindicação da bula foi afastada?
Não. A contraindicação permanece válida como informação regulatória. O parecer favorável representa avaliação técnico-científica individualizada do benefício-risco, não alteração da bula nem declaração de segurança irrestrita.

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. Maccari ME, Abolhassani H, Aghamohammadi A, et al. Disease Evolution and Response to Rapamycin in Activated Phosphoinositide 3-Kinase δ Syndrome: The European Society for Immunodeficiencies-Activated Phosphoinositide 3-Kinase δ Syndrome Registry. Front Immunol. 2018;9:543. DOI: 10.3389/fimmu.2018.00543. PMID: 29599784.

2. Coulter TI, Chandra A, Bacon CM, et al. Clinical spectrum and features of activated phosphoinositide 3-kinase δ syndrome: A large patient cohort study. J Allergy Clin Immunol. 2017;139(2):597–606.e4.

3. Nunes-Santos CJ, Uzel G, Rosenzweig SD. The Treatment of Activated PI3Kδ Syndrome. Front Immunol. 2018;9:2043. DOI: 10.3389/fimmu.2018.02043.

4. Rao VK, Webster S, Dalm VASH, et al. Effective treatment of activated PI3Kδ syndrome with the PI3Kδ inhibitor leniolisib. Blood. 2017;130(21):2307–2316.

5. Rao VK, et al. Leniolisib for Activated PI3Kδ Syndrome: Results From a Randomized, Placebo-Controlled Phase 3 Trial. Blood. 2023.

6. Leniolisib and rapamycin in Activated PI3-Kinase-δ-syndrome: a retrospective ESID registry-based analysis. Publicação indexada no PubMed em 2026. PMID: 42805311.

7. Pfizer Brasil. Rapamune® (sirolimo). Bula do profissional de saúde, versão de 19/09/2025. Seção 4 – Contraindicações.

8. Relatório médico de 20/07/2023. Centro Universitário Saúde ABC – FMABC.

9. Nota Técnica nº 5395/2023 – NAT-JUS/SP, emitida em 28/11/2023.

10. Relatório médico atualizado de 04/03/2026, emitido pela médica assistente.

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, 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.

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.