

Nota Técnica 566831

Data de conclusão: 30/08/2026 13:05:33

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 12/09/1977

Idade: 48 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Osasco/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001339-43.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 566831

CID: N00.3 - Síndrome nefrítica aguda - glomerulonefrite proliferativa mesangial difusa

Diagnóstico: Glomerulonefrite membranoproliferativa

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): LAUDO MÉDICO
BIÓPSIA RENAL
EXAMES LABORATORIAIS

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: EMPAVELI | PEGCETACOPLANA

Princípio Ativo: PEGCETACOPLANA

Via de administração: SUBCUTÂNEA

Posologia: 1.080 MG 2X/SEMANA

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Não

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: PEGCETACOPLANA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Prednisona
Metilprednisolona
Micofenolato de sódio

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: PEGCETACOPLANA

Laboratório: PINT PHARMA

Marca Comercial: EMPAVELI

Apresentação: 54 mg/ml sol x 20 ml

Preço de Fábrica: 20.262,34

Preço Máximo de Venda ao Governo: 13.196,88

Preço Máximo ao Consumidor: 22.540,61

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: PEGCETACOPLANA

Dose Diária Recomendada: 1080 mg 15/15 dias

Preço Máximo de Venda ao Governo: 26.393,76

Preço Máximo ao Consumidor: 45.081,22

Fonte do custo da tecnologia: TABELA CMED / CUSTO ANUAL AO GOVERNO: 158.362,56
(06 meses de tratamento)

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: PEGCETACOPLANA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: Os rins são compostos por milhares de néfrons, sua unidade funcional. Um néfron é composto pelo glomérulo, espécie de filtro do sangue que inicia a formação da urina, e túbulos, segmentos onde a urina inicialmente formada vai sendo aprimorada de acordo com as necessidades individuais.

A glomerulonefrite membranoproliferativa (GNMP) representa um padrão histopatológico de lesão glomerular. Este padrão patológico decorre de uma resposta imune inadvertida que gera proliferação de células e dano à membrana basal deste filtro. O resultado é a presença de substâncias na urina de forma inadvertida como proteína e hemácias, além da perda da função de forma progressiva, caso não seja contida.

O diagnóstico desta lesão é realizado exclusivamente através da biópsia renal evidenciando achados compatíveis na avaliação morfológica. Diante de um padrão de GNMP, deve-se investigar qual a sua etiologia. Podemos estar em dois cenários principais distintos:

- GNMP secundária: quando a GNMP se desenvolve em um cenário de doença ou condição sistêmica. Pode ser decorrente dos depósitos de imunocomplexos, como no Lúpus eritematoso sistêmico, em infecções bacterianas/virais e nas doenças hematológicas (mieloma múltiplo, Gamopatia monoclonal de significado renal).
- GNMP primária: uma doença rara e exclusiva ao rim, com mecanismo fisiopatológico ainda pouco conhecido.

A distinção entre esses cenários é fundamental, uma vez que o tratamento das GNMP secundárias destina-se à causa de base, como tratar a doença autoimune, tratar a doença hematológica ou a infecção. Por sua vez, o tratamento da GNMP primária envolve nefroproteção com medicações que reduzem a proteinúria e imunossupressão, eventualmente. Até recentemente, não havia evidência robusta que suportasse tratamento imunossupressor específico para os casos de GNMP primária, assim como havia carência de evidência quanto à melhor medicação a ser utilizada.

De acordo com a diretriz internacional *Kidney Disease Improving Global Outcomes (KDIGO) – Clinical Practice Guideline for the Management of Glomerular Disease*, publicada em 2021, a indicação e a escolha da terapia imunossupressora deve levar em consideração a intensidade da proteinúria, a presença de disfunção renal e presença de hematúria.

Para pacientes com função renal preservada e proteína na urina < 3.5 g em 24 horas, recomenda-se apenas tratamento nefroprotetor. Nos casos com função renal preservada mas com síndrome nefrótica, indica-se um ciclo de tratamento com corticoide. Nos casos que se apresentam com perda de função renal e sedimento urinário ativo (presença de hemácias e proteína na urina), indica-se tratamento com corticoide: prednisona 1 mg/kg/dia por 12 a 16 semanas. A estabilização da função renal e melhora ≥ 30% da proteinúria são consideradas

respostas adequadas. Pacientes que não estabilizam função renal ou persistem proteinúricos são considerados refratários. Nestes casos, indica-se o início de micofenolato de mofetila associado a dose baixa de corticoide por 06 a 12 meses. Caso não haja resposta adequada, deve-se considerar outra medicação imunossupressora como a ciclofosfamida ou o rituximabe. O uso do micofenolato de mofetila neste cenário, baseia-se em séries de casos e estudos retrospectivos observacionais.

O Pegcetacoplane (Empaveli) é um inibidor do sistema complemento aprovado pela ANVISA para o tratamento da Hemoglobínúria paroxística noturna e, recentemente, aprovado pela FDA para pacientes adultos e pediátricos com 12 anos ou mais portadores de glomerulopatia C3 (C3G) ou glomerulonefrite membranoproliferativa por imunocomplexos primária (GNMP), com o objetivo de reduzir a proteinúria e preservar a função renal.

Para C3G ou GNMP, adultos recebem 1.080 mg por via subcutânea duas vezes por semana; a dose pediátrica é calculada com base no peso. A administração é subcutânea.

Dados de eficácia: 60% dos pacientes alcançaram redução $\geq 50\%$ na relação proteína/creatinina urinária (UPCR) da linha de base até a semana 26, contra 5% no grupo placebo, e 68% apresentaram TFGe estável (redução $\leq 15\%$) versus 59% com placebo.

Nos primeiros 6 meses de tratamento, a pegcetacoplane reduziu a perda de função renal em comparação ao placebo (diferença média de mínimos quadrados na TFGe de 6,31 mL/min/1,73m², IC 95% 0,50–12,12). A eficácia em pacientes pediátricos com 12 anos ou mais foi semelhante à observada em adultos.

Esses dados são corroborados pelo ensaio clínico randomizado que envolveu 124 pacientes com GNMP e C3G que receberam a medicação por 06 meses, o VALIANT trial (NCT05067127), e demonstrou redução relativa de 68,1% na proteinúria com pegcetacoplane versus placebo (variação média geométrica na UPCR de -67,2% vs. +2,9%), com número significativamente maior de pacientes atingindo o desfecho renal composto (TFGe estável associada a redução $\geq 50\%$ na UPCR: 49% vs. 3%). Os eventos adversos não foram mais frequentes do que com placebo, não ocorreram infecções graves por bactérias encapsuladas, e não houve rejeição ou perda de enxerto entre os pacientes transplantados. Uma análise de subgrupo confirmou benefício semelhante em adolescentes (12–17 anos), com redução relativa de 75% na proteinúria e TFGe estável.

Dados do mundo real do registro CompCure (25 pacientes pediátricos e adultos, em sua maioria resistentes à imunossupressão convencional) mostraram redução de 81% na UPCR em seis meses, com 12% alcançando remissão completa e 64% remissão parcial, melhora da TFGe e ausência de eventos adversos graves ao longo de 222 pacientes-mês de exposição. Dados anteriores de fase 2 em C3G também mostraram redução sustentada da proteinúria (50,9% na análise por intenção de tratar, 65,4% por protocolo), com perfil de segurança favorável.

Em contraste, outros inibidores do complemento mostraram benefício mais limitado ou inconsistente em C3G/GNMP: eculizumabe (inibidor de C5) apresentou benefício clínico limitado, avacopana (inibidor de C5a) não mostrou benefício conclusivo, e danicopana (inibidor do fator D) não atingiu os principais desfechos de eficácia, enquanto iptacopana (inibidor do fator B, também aprovado pela FDA para C3G) produziu reduções menores na proteinúria (35–37%) sem alteração significativa na TFGe.

A duração ótima do tratamento com pegcetacoplane ainda é incerta. Se após 03 meses de tratamento houver remissão de proteinúria e melhora da função renal, recomenda-se manter a medicação por pelo menos 6 a 12 meses.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Melhora de função renal.
Redução da proteína na urina.
Preservação da função renal a longo prazo.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: PEGCETACOPLANA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: CONSIDERANDO o diagnóstico de glomerulonefrite membranoproliferativa, conforme resultado de biópsia renal anexados aos autos;
CONSIDERANDO o diagnóstico de doença primária, diante de investigação de causas secundárias negativa, com resultados anexados aos autos;
CONSIDERANDO a ausência de evidência na literatura de outra medicação disponível com benefício em controlar a doença glomerular em questão;
CONSIDERANDO a evidência recente na literatura que mostra benefício do uso da medicação em questão para o cenário clínico do caso concreto;
CONSIDERANDO a ausência de registro na Anvisa do Pegcetacoplane para a doença em questão, a glomerulonefrite membranoproliferativa;
CONSIDERANDO que o registro na Anvisa é uma condição indispensável para a concessão judicial, conforme entendimento consolidado no Tema 500 do STF;
CONCLUI este parecer como DESFAVORÁVEL. Apesar da indicação clínica ser respaldada por literatura internacional e não haver alternativa terapêutica disponível, o medicamento Pegcetacoplane não possui registro na Anvisa para o tratamento da glomerulonefrite membranoproliferativa, tampouco há comprovação de pedido de registro em andamento. Assim, sua concessão judicial encontra-se juridicamente limitada pelas diretrizes do Tema 500 do STF.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas: 1. Fakhouri F, Bombardieri AS, Ariceta G, et al. Trial of Pegcetacoplan in [C3 Glomerulopathy](#) and Immune-Complex MPGN. N Engl J Med. 2025. (Estudo VALIANT, NCT05067127)
2. Bassanese G, Weingarten AM, Mancuso MC, et al. Real-World Outcomes of Pegcetacoplan Treatment in C3 Glomerulopathy and Immune-Complex Membranoproliferative Glomerulonephritis. Kidney Int. 2026. (Registro do mundo real CompCure)
3. Bula (rótulo) da FDA para pegcetacoplane (Empaveli), incluindo dados do estudo APL2-C3G-310 de fase 2 em C3G.
4. Fervenza FC, Sthi S, Glassock RJ. Membranoproliferative glomerulonephritis: Classification,

clinical features and diagnosis. Aug 12, 2024. UpToDate.

5. Fervenza FC, Sthi S, Glassock RJ. Membranoproliferative glomerulonephritis: Treatment and prognosis. Mar 29, 2024. UpToDate.

6. Kidney Disease Improving Global Outcomes (KDIGO) – Clinical Practice Guideline for the Management of Glomerular Disease. 2021.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: Hospital Israelita Albert Einstein

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Considerando os quesitos levantados na exordial:

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Sim.

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

Não há PCDT específico disponível para a situação clínica em questão.

4. ☐Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

Aprovada para hemoglobinúria paroxística noturna.

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Não.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Sim.

7. ☐Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Sim. Descrito acima.

☐Os estudos disponíveis demonstram:

1. ☐Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS? Sim.

2. ☐Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Não avaliada sobrevida.

3. ☐Ganho de sobrevida livre de progressão? Sim.

4. ☐Melhora de qualidade de vida mensurável? Não avaliado diretamente.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

1. ☐Protocolos internacionais reconhecidos? Sim.

2. ☐Bula aprovada pela ANVISA? Não.

3. ☐Literatura científica de qualidade? Sim.

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Não há medicação disponível no SUS que tenha evidência clínica de benefício para a doença em questão.

FOI IDENTIFICADO NOS ANEXOS DECLARAÇÃO DE HIPOSSUFICIÊNCIA ECONÔMICA, DESCRITA COMO TAL - PÁGINA 36 DOS AUTOS.

FOI IDENTIFICADO NOS ANEXOS DOCUMENTAÇÃO COMPROBATÓRIA DE NEGATIVA ADMINISTRATIVA DE FORNECIMENTO DA TECNOLOGIA SOLICITADA POR ENTIDADE PÚBLICA VINCULADA AO SUS, DISPOSTA NA PÁGINA 37 DOS AUTOS.

NÃO FOI IDENTIFICADA SOLICITAÇÃO DE INCORPORAÇÃO PENDENTE DE ANÁLISE PELA CONITEC PARA A TECNOLOGIA SOLICITADA.

EM ATENÇÃO AO TEMA 6 DO STF E SEU 4º REQUISITO, CONSIDERA-SE QUE UMA TECNOLOGIA POSSUI EVIDÊNCIA CIENTÍFICA QUANDO ESTÁ EMBASADA EM: 1) ENSAIOS CLÍNICOS RANDOMIZADOS, 2) REVISÕES SISTEMÁTICAS OU 3) META-ANÁLISES. CASO NÃO ATENDA A ESSES CRITÉRIOS, SERÁ CONSIDERADA SEM EVIDÊNCIA CIENTÍFICA.

Complementação de Nota Técnica: DECISÃO

Converto o julgamento em diligência.

Verifico que a parte autora trouxe aos autos bula do medicamento requerido (id 601007948), contendo inclusão de nova indicação terapêutica para a sua condição clínica (glomerulonefrite membranoproliferativa).

Por sua vez, a referida indicação não foi considerada pelo NATJUS ao elaborar a nota técnica 560834 (id 600344512), cuja conclusão desfavorável considerou “(...) a ausência de registro na Anvisa do Pegcetacoplana para a doença em questão, a glomerulonefrite membranoproliferativa” (id 600344512 — Pág. 5).

Assim, dê-se vista à UNIÃO FEDERAL dos documentos apresentados pela parte autora com a manifestação de id 601007921, a fim de que se manifeste no prazo de 10 dias.

Solicite-se imediatamente complementação ao NATJUS, a fim de esclarecer a questão sobre a existência da nova indicação terapêutica do medicamento Pegcetacoplana para a doença em questão, a glomerulonefrite membranoproliferativa.

Intime-se.

Há mudança na conclusão? Sim

Qual a nova conclusão? Favorável

Resposta para a Complementação: CONSIDERANDO o diagnóstico de glomerulonefrite membranoproliferativa, conforme resultado de biópsia renal anexados aos autos;

CONSIDERANDO o diagnóstico de doença primária, diante de investigação de causas secundárias negativa, com resultados anexados aos autos;

CONSIDERANDO a ausência de evidência na literatura de outra medicação disponível com benefício em controlar a doença glomerular em questão;

CONSIDERANDO a evidência recente na literatura que mostra benefício do uso da medicação em questão para o cenário clínico do caso concreto;

CONSIDERANDO o registro em bula para tal indicação, conforme nova documentação anexada aos autos;

CONCLUI este parecer como FAVORÁVEL à liberação da medicação Pegcetacoplana na dose de 1080 mg a cada 15 dias, mantida por 03 meses. Caso haja resposta adequada ao tratamento inicial com tal medicação, avalia-se manutenção da dose por mais 06 a 12 meses. Diante da possibilidade de perda de função renal irreversível, define-se urgência conforme CFM.