# Nota Técnica 516408

Data de conclusão: 20/05/2026 20:57:53

## Paciente

**Idade:** 48 anos

**Sexo:** Feminino

**Cidade:** Canoas/RS

## Dados do Advogado do Autor

**Nome do Advogado:** -

**Número OAB:** -

**Autor está representado por:** -

## Dados do Processo

**Esfera/Órgão:** Justiça Federal

**Vara/Serventia:** 2° Núcleo de Justiça 4.0 - RS

## Tecnologia 516408

**CID:** I27.0 - Hipertensão pulmonar primária

**Diagnóstico:** hipertensão pulmonar primária

**Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s):** laudo médico

## Descrição da Tecnologia

**Tipo da Tecnologia:** Produto

**Registro na ANVISA?** Sim

**Situação do registro:** Válido

**Descrição:** sotatersepte

**O produto está inserido no SUS?** Não

## Outras Tecnologias Disponíveis

**Tecnologia:** sotatersepte

**Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar:** exercício físico e reabilitação, suporte psicológico, restrição de sódio, terapia de suporte (anticoagulante oral, diuréticos, oxigenoterapia, digitálicos e outros medicamentos com efeitos cardiovasculares) e tratamento medicamentoso específico com sildenafila, ambrisentana, bosentana, iloprosta e selexipague.

## Custo da Tecnologia

**Tecnologia:** sotatersepte

**Custo da tecnologia:** -

**Fonte do custo da tecnologia:** -

## Evidências e resultados esperados

**Tecnologia:** sotatersepte

**Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:** Sotatercepte é um inibidor de sinalização da activina aprovado para o tratamento de adultos com hipertensão arterial pulmonar (HAP, Grupo 1 da OMS), associado a outras terapias com o objetivo de aumentar a capacidade de exercício e retardar a progressão da doença. (4)
Parte das evidências que suportam o uso de sotatercepte para HP são provenientes do estudo clínico fase III (STELLAR), multicêntrico, randomizado, duplo cego, controlado por placebo, que incluiu pacientes com hipertensão arterial pulmonar (idiopática, hereditária, droga induzida, doença associada ao tecido conectivo), com classificação funcional II ou III pela OMS. Os pacientes elegíveis foram estratificados conforme a classe funcional (II ou III) e terapia padrão (monoterapia ou terapia dupla versus terapia tripla). A segurança e a eficácia foram avaliadas na inclusão e a cada 3 semanas subsequentes, durante 24 semanas. O desfecho primário foi a mudança do baseline na semana 24 no teste de caminhada de 6 minutos. Os pacientes foram randomizados na proporção de 1:1 para receber sotatercepte (n=163 pacientes) ou placebo (160 pacientes). A população do estudo era relativamente jovem (idade média [±DP], 47,9 ± 14,8 anos), com um tempo médio desde o diagnóstico de 8,8 anos. No total, 198 dos 323 pacientes randomizados (61,3%) estavam recebendo terapia tripla e 129 (39,9%) estavam recebendo a terapia de infusão de prostaciclina na inclusão. A alteração média observada em relação ao valor basal na semana 24 na distância percorrida no teste de caminhada de 6 minutos foi de 40,1 min ( [IC] de 95%, 29,9 a 50,2) no grupo sotatercepte e de -1,4 min (IC de 95%, -13,2 a 10,3) no grupo placebo. O risco de morte ou piora nos eventos clínicos não fatais, avaliados no final do estudo foram 84% menores com o sotatercepe se comparado ao placebo. O perfil de eventos adversos que foram observados com o sotatercepte foram consistentes com os estudos prévios como o aumento nos níveis de hemoglobina (5).
O estudo PULSAR, multicêntrico, randomizado, duplo-cego, de fase II, incluiu um período de tratamento controlado por placebo de 24 semanas, seguido por um período de extensão com o medicamento ativo de 18 meses. Neste artigo, foram descritos os resultados do período de 24 semanas.Os pacientes elegíveis apresentavam HAP confirmada (grupo I da classificação atualizada da Organização Mundial da Saúde [OMS] para hipertensão pulmonar). Os pacientes

receberam terapia padrão para HAP por pelo menos 90 dias antes da inclusão no estudo e continuaram recebendo o tratamento durante o seu curso. O tratamento consistia em monoterapia, terapia dupla ou terapia tripla com combinações de antagonistas do receptor de endotelina, inibidores da fosfodiesterase-5, estimuladores da guanilato ciclase solúvel, análogos da prostaciclina ou agonistas do receptor de prostaciclina. As características basais foram semelhantes entre os três grupos. A diferença média dos mínimos quadrados entre o grupo sotatercepte 0,3 mg e o grupo placebo na alteração da resistência vascular pulmonar da linha de base até a semana 24 foi mensurada por dyn·s·cm?? (dynas vezes segundo por centímetro à quinta potência) é uma unidade comumente utilizada para medir a resistência vascular, tanto sistêmica (RVS) quanto pulmonar (RVP). O resultado foi de de ?145,8 dyn·s·cm?? ([IC] de 95%, ?241,0 a ?50,6; P=0,003). A diferença média dos mínimos quadrados entre o grupo sotatercepte 0,7 mg e o grupo placebo foi de ?239,5 dyn·s·cm?5 (IC de 95%, ?329,3 a ?149,7; P<0,001). Após 24 semanas, a diferença média dos mínimos quadrados entre o grupo sotatercepte 0,3 mg e o grupo placebo na alteração em relação ao valor basal na distância percorrida no teste de caminhada de 6 minutos foi de 29,4 m (IC 95%, 3,8 a 55,0). A diferença média dos mínimos quadrados entre o grupo sotatercepte 0,7 mg e o grupo placebo foi de 21,4 m (IC 95%, ?2,8 a 45,7). O sotatercepte também foi associado a uma diminuição nos níveis de pró-peptídeo natriurético tipo B N-terminal. Trombocitopenia e aumento do nível de hemoglobina foram os eventos adversos hematológicos mais comuns. Um paciente do grupo sotatercepte 0,7 mg faleceu devido a parada cardíaca. (6)

Uma revisão sistemática publicada em 2025 avaliou como desfecho primário todas as causas de mortalidade e como desfechos secundários, a melhoria no teste de caminhada, na classe funcional da OMS, padrão hemodinâmico e eventos adversos sérios. Os resultados da metanálise dos 03 estudos clínicos selecionados (incluindo o primeiro estudo supramencionado), que totalizaram 601 pacientes pacientes, mostraram que não houve diferença significativa na redução da mortalidade (RR 0.49; 95 % IC 0.16 to 1.46; p = 0.11). Sotatercepte foi associado a uma melhora significativa no teste de caminhada (37.99 min; 95 % CI 6.47 to 69.52; p = 0.04) e na classe funcional da OMS (RR 2.04; 95 % CI 1.79 to 2.31). Os eventos adversos descritos foram similares (RR 0.79; 95 % CI 0.51 to 1.23; p = 0.15) (7).

Também em 2025 foi publicado o estudo ZENITH (8), um ensaio clínico de fase 3, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, projetado para avaliar a eficácia e segurança de sotatercepte como terapia adicional em pacientes adultos com HP de alto risco de mortalidade, todos em terapia máxima tolerada de base (dupla ou tripla).

O desfecho primário composto incluiu morte por qualquer causa, transplante pulmonar ou hospitalização prolongada por piora da HAP. O estudo foi interrompido precocemente após análise interina devido à redução estatisticamente significativa e clinicamente relevante no risco dos eventos compostos com sotatercepte, incluindo menores incidências de morte, transplante e hospitalização por piora da doença (taxas de eventos primários foram de 17,4% para quem utilizou sotatercepte contra 54,7% com placebo). As principais limitações deste estudo são: pequeno número de pacientes arrolados, curto prazo de análise de desfechos, limitando a avaliação de segurança a médio e longo prazo e, finalmente, a restrição do estudo a pacientes com alto risco, restringindo as conclusões do estudo a esta população.

Outro estudo publicado em 2025 foi o estudo HYPERION (9), ensaio clínico fase 3, multicêntrico, randomizado e duplo-cego, que avaliou a eficácia e segurança do sotatercepte como terapia adjuvante em adultos diagnosticados com HAP há menos de 1 ano e classe funcional II ou III. O estudo também foi interrompido precocemente pela magnitude de desfechos (taxa de eventos de 10,6% para quem utilizou sotatercepte contra 36,9% com placebo) como piora clínica (deterioração no teste de caminhada e hospitalizações), enquanto desfechos como morte foram semelhantes.

| Item | Descrição | Quantidade | Valor Unitário* | Valor Anual |
|---|---|---|---|---|
| SOTATERCEPT 45 mg | 45MG PÓ LIOF1 SOL INJ SC CT FA VD TRANS | | R$ 39.807,33 | R$ 39.807,33 |
| SOTATERCEPT 60 mg | 60MG PÓ LIOF17 SOL INJ SC CT FA VD TRANS | | R$ 53.076,42 | R$ 902.299,14 |
| VALOR ANUAL TOTAL | | | | R$ 942.106,47 |

*Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Rio Grande do Sul (ICMS 17%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, PMVG = PF*(1-CAP). O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.
O sotatercepte é produzido pela empresa MERCK SHARP & DOHME FARMACÊUTICA e comercializado com o nome Winrevair® na forma de pó liofilizado para administração injetável para administração subcutânea (3). Com base em consulta à tabela da CMED no site da ANVISA em abril de 2026 e na prescrição médica anexada ao processo (Evento 1, OUT9), foi elaborada a tabela acima com o custo do medicamento para um ano de tratamento.
Não foram encontrados estudos de custo efetividade para a realidade brasileira, tampouco existe avaliação da CONITEC para o medicamento em questão.
O National Institute of Health Care and Excellence (NICE) britânico, no relatório de recomendação preliminar, descreve que o sotatercepte não deve ser usado para pacientes com HAP classe funcional II ou III da OMS para melhorar a capacidade de exercício. A relação de custo-efetividade do sotatercepte é incerta, devido às incertezas no modelo econômico que incluem: efeitos em longo prazo do tratamento com sotatercepte na comparação com selexipague, como e quando o tratamento com sotatercepte ou selexipague é iniciado, como os tratamentos subsequentes serão iniciados quando a HAP piorar. (10)

O Canadian Drug Expert Committee (CDEC) da Canadian Drugs Agency (CDA) recomenda que o sotatercepte seja reembolsado em combinação com a terapia padrão para HAP, para o tratamento de adultos com HAP do Grupo 1 da OMS e classe funcional II ou III somente se as condições listadas tais como: se o paciente estiver em uso da terapia padrão por pelo menos 3 meses, apenas em pacientes com diagnóstico confirmado de HAP do Grupo 1 da OMS com base em procedimento diagnóstico aprovado pelas diretrizes incluindo cateterismo cardíaco direito (11).

**Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:** evidência de qualidade moderada de redução de mortalidade, de necessidade de transplante pulmonar e de hospitalizações por piora da HAP.

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

## Conclusão

**Tecnologia:** sotatersepte

**Conclusão Justificada:** Não favorável

**Conclusão:** Embora as evidências disponíveis, ainda limitadas, indiquem resultados clínicos promissores com o uso de sotatercepte, até o momento não há demonstração consistente de benefício em redução de mortalidade. Ademais, o custo extremamente elevado do medicamento representa um desafio significativo para o sistema de saúde.
Assim, apesar do potencial terapêutico, o alto custo coloca em dúvida a viabilidade de sua adoção ampla no contexto do sistema público de saúde. Agências de avaliação de tecnologia de países com melhor nível sócio econômico que o brasileiro, como o NICE do sistema de saúde britânico, avaliam a atual custo-efetividade do sotatercepte como incerta.
O impacto orçamentário da concessão do tratamento se mostra elevado, mesmo em decisões individuais, o que agrava o risco de comprometimento das já limitadas verbas públicas, que possuem destinações específicas e pouca margem para remanejo. A adoção de tecnologias de alto custo sem respaldo robusto e sem avaliação criteriosa pode acarretar desequilíbrios orçamentários que afetam negativamente a assistência prestada a toda a população usuária do SUS.
Embora seja compreensível o esforço em buscar o melhor tratamento possível para a autora, o perfil de custo-efetividade incerto e os riscos sistêmicos envolvidos na incorporação isolada de uma tecnologia de alto custo sem a devida avaliação por instâncias competentes como a Conitec, entendemos que se impõe o presente parecer desfavorável.

**Há evidências científicas?** Sim

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

**Referências bibliográficas:** 1. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde; Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde. Portaria Conjunta nº 10, de 18 de julho de 2023. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hipertensão Pulmonar [Internet]. Brasília (DF): Ministério da Saúde; 2023. Disponível em: https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/portaria-conjunta-n-10-de-18-de-julho-de-2023-496044771.
2. Humbert M, Kovacs G, Hoeper MM, Badagliacca R, Berger RMF, Brida M, et al. 2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension. European Heart Journal. 2022 Aug 26;43(38).
3. Hopkins W, Rubin LJ. Treatment and prognosis of pulmonary arterial hypertension in adults (Group 1). In: Post TW, editor. UpToDate [Internet]. Waltham (MA): UpToDate. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/treatment-and-prognosis-of-pulmonary-arterial-hypertension-in-adults-group-1
4. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Winrevair – sotatercept [bula de medicamento na Internet]. Brasília: Anvisa; 2025. Disponível em: https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/bulas
5. Hoeper MM, Badesch DB, Ghofrani HA, Gibbs JSR, Gomberg-Maitland M, McLaughlin VV, et al. Phase 3 Trial of Sotatercept for Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension. New England Journal of Medicine. 2023 Mar 6;388(16).
6. Humbert M, McLaughlin V, Gibbs JSR, Gomberg-Maitland M, Hoeper MM, Preston IR, et al.

Sotatercept for the Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension. New England Journal of Medicine. 2021 Apr 1;384(13):1204–15.
7. Abdulelah M, Chidubem Ezenna, Ancy Jenil-Franco, Jamouss KT, Krishna MM, Joseph M, et al. Clinical outcomes and safety of sotatercept in pulmonary arterial hypertension: A systematic review and meta-analysis of randomized controlled trials. Vascular Pharmacology. 2025 Jul 2;160:107520–0.
8. Humbert M, McLaughlin VV, Badesch DB, et al. Sotatercept in Patients with Pulmonary Arterial Hypertension at High Risk for Death. N Engl J Med. 2025 May 29;392(20):1987-2000. doi: 10.1056/NEJMoa2415160. Epub 2025 Mar 31.
9. McLaughlin VV, Hoeper MM, Badesch DB, et al. Sotatercept for pulmonary arterial hypertension within the first year after diagnosis. N Engl J Med. Publicado online em 30 de setembro de 2025. doi:10.1056/NEJMoa2508170.
10. NICE (National Institute for Health and Care Excellence). Sotatercept for treating pulmonary arterial hypertension - Draft guidance consultation. Disponível.https://www.nice.org.uk/guidance/gid-ta11103/documents/draft-guidance
11. Canada´s Drugs Agengy. Sotatercept in combination with standard pulmonary arterial hypertension (PAH) therapy, for the treatment of adults with World Health Organization Group 1 PAH and Functional Class II or III. Disponível: https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2024/SR0828REC-Winrevair.pdf

**NatJus Responsável:** RS - Rio Grande do Sul

**Instituição Responsável:** TelessaúdeRS

**Nota técnica elaborada com apoio de tutoria?** Não

**Outras Informações:** Segundo laudo médico, trata-se de paciente, de 47 anos de idade, em acompanhamento no ambulatório de Pneumologia do Hospital de Clínicas de Porto Alegre, em razão de Hipertensão Arterial Pulmonar (HAP) idiopática grave, com diagnóstico estabelecido desde 2004. Foi submetida a cateterismo cardíaco direito em setembro de 2025, cujos achados evidenciaram pressão arterial pulmonar média de 54 mmHg, pressão de oclusão de 10 mmHg e resistência vascular pulmonar de 6,7 unidades Wood. No momento, a paciente é classificada como classe funcional III segundo os critérios da Organização Mundial da Saúde (OMS). Atualmente, a paciente encontra-se em uso de terapia medicamentosa tripla otimizada, composta por sildenafila, selexipague e bosentana. Adicionalmente, foi submetida a procedimento de atriosseptostomia em dezembro de 2024, com a finalidade de reduzir a pressão e a sobrecarga das câmaras cardíacas direitas, bem como aliviar sintomas graves previamente apresentados, como síncope, angina e dispneia refratária. Apesar das intervenções terapêuticas instituídas, a paciente permanece classificada como classe funcional III da OMS, apresentando sintomas persistentes e progressivos, caracterizados principalmente por dispneia acentuada e limitação ao esforço. Observa-se, ainda, a ocorrência de episódios recentes de agravamento clínico, os quais resultaram em hospitalizações (Evento 1, OUT6).
Também foram anexados aos autos alguns exames complementares, incluindo uma tomografia computadorizada onde laudo descreve presença de achados compatíveis com a informação clínica de hipertensão pulmonar grave. Ecocardiograma traz em suas conclusões hipertensão pulmonar primária grave, leve aumento do átrio esquerdo, insuficiência tricúspide moderada, dilatação de cavidades direitas com retificação do septo interatrial e septo interatrial com septoplastia por balão com "shunt" residual e fluxo bidirecional. Por fim, no eletrocardiograma em repouso observa-se bloqueio de ramo direito completo e sobrecarga de ventrículo direito (Evento 1, OUT9).

Nesse contexto, pleiteia o fornecimento do medicamento sotatercepte.
A hipertensão pulmonar (HP) é um problema de saúde global, com prevalência de aproximadamente 1% na população mundial. Devido a presença de causas cardiovasculares e pulmonares, a prevalência é maior em pacientes com menos de 65 anos. Trata-se de uma síndrome clínica e hemodinâmica que resulta no aumento da resistência vascular na pequena circulação, elevando os níveis pressóricos na circulação pulmonar. Este aumento de resistência pode estar associado a várias condições médicas subjacentes ou a uma doença que afeta exclusivamente a circulação pulmonar. A definição de HP já foi bastante discutida e ajustada ao longo dos anos. A definição atual, elaborada por consenso no 6º Simpósio Mundial de HP, estabeleceu que a HP pode ser definida por pressão arterial pulmonar média (PAPm) acima de 20 mmHg combinada a outras medidas hemodinâmicas, como, por exemplo, pressão de oclusão capilar pulmonar (POCP) e resistência vascular pulmonar (RVP)7(1,2).
A classificação da HP em Classes Funcionais elaborada pela OMS inclui 04 categorias, a saber:

1. OMS Classe Funcional I : pacientes com HP sem consequente limitação da atividade física. A atividade física normal não causa dispneia ou fadiga excessivas, dor no peito ou pré-síncope.

2. OMS Classe Funcional II: pacientes com HP e leve limitação da atividade física. Sentem-se confortáveis ??em repouso. A atividade física comum causa dispneia ou fadiga indevidas, dor no peito ou pré-síncope.

3. OMS Classe Funcional III: pacientes com HP e limitação acentuada da atividade física. Sentem-se confortáveis ??em repouso. Atividades físicas menos intensas causam dispneia ou fadiga excessivas, dor no peito ou pré-síncope.

4. OMS Classe Funcional IV: pacientes com HP que não conseguem realizar nenhuma atividade física sem apresentar sintomas. Esses pacientes manifestam sinais de insuficiência cardíaca direita. Dispneia e/ou fadiga podem estar presentes mesmo em repouso. O desconforto aumenta com qualquer atividade física.

No entanto, a classificação mais atual da HP em adultos e crianças divide-se em cinco subgrupos, de acordo com mecanismos fisiopatológicos similares, apresentação clínica, características hemodinâmicas e abordagem terapêutica:

1. Grupo 1: Hipertensão arterial pulmonar (HAP);

2. Grupo 2: HP devido à doença cardíaca esquerda;

3. Grupo 3: HP devido à doença pulmonar ou hipóxia;

4. Grupo 4: HP devido à obstrução de artérias pulmonares;

5. Grupo 5: HP com mecanismos multifatoriais ou não claros. (1)

O grupo 1 (hipertensão arterial pulmonar) afeta principalmente jovens mulheres, geralmente associada a outras condições clínicas ou com características idiopáticas/hereditárias. É caracterizada por perda e remodelação obstrutiva do leito vascular pulmonar. A elevação crônica da resistência vascular pulmonar pode resultar em disfunção progressiva do ventrículo direito (VD) e insuficiência do VD. As principais estratégias terapêuticas incluem medicamentos bloqueadores dos canais de cálcio, drogas-alvo e transplante de pulmão (2)

O diagnóstico de HP é complexo e requer uma extensa avaliação clínica, laboratorial e radiológica. Uma avaliação cuidadosa da história médica, condição física, ecocardiograma e parâmetros hemodinâmicos é essencial para diagnosticar e caracterizar as diferentes formas de HP de forma eficaz. (1)

Uma vez confirmado o diagnóstico de HP, antes do início do tratamento específico o paciente deve ter sua gravidade avaliada. A estratificação de risco é validada para avaliar a taxa potencial de mortalidade em pacientes do grupo 1 da classificação e determina pacientes com baixo, intermediário e alto risco de morte.

Pacientes com HAP do grupo 1 devem praticar exercícios físicos conforme tolerado, receber as vacinas de rotina, ser aconselhados a não fumar (nem usar cigarros eletrônicos) e manter um índice de massa corporal normal. Quando indicado, também devem ser tratados com medidas de suporte, incluindo oxigênio, diuréticos e anticoagulantes.

Os pacientes devem ser tratados adicionalmente para quaisquer comorbidades associadas à HAP ou seu agravamento. Mulheres em idade fértil devem ser aconselhadas sobre os riscos da gravidez, incluindo morte, e os potenciais efeitos teratogênicos dos medicamentos; métodos contraceptivos podem ser prescritos conforme necessário (3).