Nota Técnica 523665

Data de conclusão: 25/06/2026 11:49:59

Paciente

Idade: 3 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Chapada/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 523665

CID: D59.3 - Síndrome hemolítico-urêmica

Diagnóstico: síndrome hemolítico-urêmica

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

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: ECULIZUMABE

Via de administração: EV

Posologia: eculizumabe 300 mg/30 mL 6 ampolas no primeiro mês. Aplicar 2 ampolas, EV, uma vez por semana, aplicar 1 ampola, EV, uma vez por semana. A partir da quarta semana, aplicar 1 ampola, EV, uma vez por semana a cada duas semanas

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: ECULIZUMABE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Estão disponíveis no SUS medidas de suporte clínico como internação em leito de terapia intensiva, terapia de substituição renal e transfusão de hemocomponentes.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: ECULIZUMABE

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: ECULIZUMABE

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: ECULIZUMABE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O eculizumabe é um anticorpo monoclonal direcionado ao componente C5 do sistema complemento. Ao bloquear a clivagem de C5 em C5a e C5b, mecanismo pelo qual atua como um inibidor terminal da via do complemento, este impede a formação do complexo C5b-9 na superfície das células endoteliais. Dessa forma, reduz a ativação inflamatória mediada pelo complemento e previne que o organismo ataque e destrua células sanguíneas vulneráveis (8).
Não encontramos ensaios clínicos avaliando o uso de eculizumabe para tratamento de SHU-P. A evidência científica disponível sobre o tema consiste apenas de relatos de casos e pequenas séries de casos observacionais, sem estudos clínicos controlados.
A maior série de casos publicada sobre o tema incluiu apenas 7 pacientes pediátricos, dos quais 4 receberam eculizumabe (iniciado nos dias 1-3 da doença) (9). Todos os pacientes apresentavam pneumonia por Streptococcus pneumoniae. Os pacientes que receberam eculizumabe apresentaram duração de diálise mediana de 20 dias contra 28,5 dias no grupo sem eculizumabe; duração de ventilação mecânica mediana de 30 dias contra 38,5 dias no grupo sem eculizumabe; e resolução da trombocitopenia mediana de 10 dias contra 8 dias no grupo sem eculizumabe. Apesar do grupo eculizumabe ter apresentado desfechos numéricos discretamente melhores, os autores concluíram que o eculizumabe não parece melhorar significativamente o curso da SHU-P quando comparado com relatos prévios da literatura.

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Total
Eculizumabe	10 MG/ML SOL14 DIL INFUS CT 1 FA VD INC X 30 ML		R$ 23.772.99	R$ 332.821,86

* 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 eculizumabe é comercializado pela Aleixon Farmacêutica Brasil sob o nome comercial Soliris? e está disponível na concentração de 10 mg/mL em frasco de 30 mL. Em consulta à tabela da CMED no site da ANVISA em maio de 2026, foi elaborada a tabela acima estimando o custo para um período de 3 meses de tratamento.
Não foram encontrados estudos de custo efetividade acerca do uso de eculizumabe em pacientes com SHU-P no contexto brasileiro ou internacional.

No ano de 2019 a CONITEC publicou avaliação acerca do uso do eculizumabe para pacientes com SHU atípica - ou hereditária (6). Neste documento, o parecer do comitê foi desfavorável devido às frágeis evidências científicas disponíveis. Existem incertezas sobre a eficácia e efetividade do eculizumabe neste cenário clínico e seu uso foi associado a uma alta frequência de reações adversas graves. Além disso, o diagnóstico da SHUa é incerto, e um dos principais exames necessários para o diagnóstico diferencial da doença não está disponível no SUS. A incorporação do eculizumabe para a SHU atípica apresenta, ainda, um elevado impacto orçamentário, que não se justifica frente às incertezas mencionadas.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Indeterminado. Não há ensaio clínico sobre o tema. Relatos de casos questionam eventual benefício do eculizumabe para tratamento para SHU-P.

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

Conclusão

Tecnologia: ECULIZUMABE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Trata-se de pleito por eculizumabe para tratamento de paciente pediátrico com infecção respiratória grave por Streptococcus pneumoniae evoluindo com lesão renal aguda grave e sinais de hemólise por microangiopatia trombótica, cuja equipe médica realizou diagnóstico clínico de síndrome hemolítico urêmica associada a infecção. Cabe destacar que trata-se de cenário clínico extremamente raro e com limitações severas acerca de exames disponíveis para comprovação diagnóstica o que dificulta a realização de ensaios clínicos e produção de evidência científica robusta acerca do tema.
Não obstante, as evidências de eficácia avaliando o eculizumabe no tratamento na SHU-P são extremamente frágeis, provenientes de relatos de casos, nos quais não há parâmetro de comparação. De fato, uma pequena série de casos com apenas 7 pacientes demonstra potencial de redução de tempo de duração de diálise e ventilação mecânica, porém as severas limitações metodológicas deste estudo não permitem concluir que o tratamento com eculizumabe é superior às medidas de suporte clínico. Assim, entendemos que trata-se de tecnologia experimental para o tratamento de SHU-P e que não há benefício clínico consolidado na literatura médica.
Em conjunto, em seu relatório de 2019 acerca do uso de eculizumabe para tratamento de SHU atípica, a CONITEC foi desfavorável à incorporação do medicamento na rede pública devido a fragilidade das evidências científicas e perfil de custo-efetividade desfavorável. Nesse sentido, embora não haja parecer específico para SHU-P, entendemos que estas limitações tornam-se ainda mais acentuadas no cenário de SHU associada a infecção.
Por fim, compreende-se o desejo da parte autora e da equipe assistente de buscar tratamento para uma doença que traz prejuízos graves à qualidade de vida, inclusive com potencial de óbito decorrente de suas complicações. No entanto, frente ausência de evidências científicas que comprovem a eficácia da terapia pleiteada para SHU-P; à estimativa de perfil de custo-efetividade desfavorável; à ausência de avaliação de agências internacionais sobre o tema; ao alto impacto orçamentário mesmo em decisão isolada; e ao parecer desfavorável da CONITEC da incorporação de eculizumabe em cenário clínico semelhante, 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. Ministério da Saúde. Síndrome hemolítica urêmica. Disponível em: https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/saude-de-a-a-z/s/shu#:~:text=A%20s%C3%ADndrome%20hemol%C3%ADtico%2Dur%C3%AAmica%20(SHU,plaquetas)%20e%20les%C3%A3o%20renal%20aguda

2. Patrick Niaudet, MDOlivia Gillion Boyer, MD, PhD (2024).Complement-mediated hemolytic uremic syndrome in children.UpToDate. [citado em 24 de dezembro de 2025]. Disponível em: Complement-mediated hemolytic uremic syndrome in children - UpToDate.

3. Hildenwall H, Georgieva V, Luthander J, Ladfors SW, Sartz L, Chromek M. Pneumococcal Hemolytic Uremic Syndrome in Children in Sweden. JAMA Netw Open. 2025;8(4):e255721.

4. Brandt J, Wong C, Mihm S, Roberts J, Smith J, Brewer E, Thiagarajan R, Warady B. Invasive pneumococcal disease and hemolytic uremic syndrome. Pediatrics. 2002 Aug;110(2 Pt 1):371-6.

5. Thompson GL, Kavanagh D. Diagnosis and treatment of thrombotic microangiopathy. Int J Lab Hematol. 2022;44(S1):101-113.

6. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Eculizumabe para tratamento da Síndrome Hemolítica Urêmica Atípica [Internet]. 2019 nov. Report No.: 483. Disponível em: gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2019/relatorio_eculizumabe_shua.pdf

7. Ministério da Saúde. PROTOCOLO CLÍNICO E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS DA HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA [Internet]. 2020. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt__hpn.pdf

8. Eculizumab (including biosimilars): Drug information - UpToDate [Internet]. uptodate.com/contents/eculizumab-including-biosimilars-drug-information

9. Konopásek P, Zieg J. Eculizumab use in patients with pneumococcal-associated hemolytic uremic syndrome and kidney outcomes. Pediatr Nephrol. 2023 Dec;38(12):4209-4215.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: A parte autora apresenta laudo médico informando o diagnóstico de síndrome hemolítico-urêmica (CID10: D59.3), com diagnóstico em maio de 2021. É descrito quadro de infecção respiratória aguda grave com necessidade de ventilação mecânica e documentada infecção por Streptococcus pneumoniae (Evento 1, EXMMED21, Página 58). Em conjunto, é descrito quadro compatível com microangiopatia trombótica, caracterizado por anemia, plaquetopenia, evidência de hemólise e lesão renal grave com necessidade de terapia de substituição renal. Nesse contexto, a equipe médica assistente realizou o diagnóstico clínico de síndrome hemolítico-urêmica associada a infecção (ou síndrome hemolítico-urêmica pneumocócica). Nesse cenário, pleiteia o uso de eculizumabe como forma de controle da doença.

A síndrome hemolítico-urêmica (SHU) é uma doença grave que se manifesta por meio de uma tríade de sinais e sintomas: anemia hemolítica microangiopática (ruptura dos glóbulos vermelhos na pequena circulação), trombocitopenia (redução das plaquetas) e lesão renal aguda (1). Sua ocorrência é mais frequente em menores de 5 anos de idade e acima dos 65 anos. A SHU é ainda subclassificada com base em considerações fisiopatológicas e fatores desencadeantes. As causas hereditárias de SHU/microangiopatia trombótica são mutações do gene do complemento, erros inatos do metabolismo da cobalamina e mutações do gene DGKE. Por sua vez, as causas adquiridas de SHU descritas são infecções (toxina Shiga, Streptococcus pneumoniae e infecção viral por HIV) (2). A causa mais frequente da doença são as infecções por bactérias produtoras da toxina Shiga, principalmente a Escherichia coli.

Já o subtipo específico conhecido como síndrome hemolítico-urêmica pneumocócica (SHU-P) é uma complicação rara mas grave da infecção invasiva pela bactéria Streptococcus pneumoniae, representando menos de 5% de todos os casos de SHU (3). A fisiopatologia envolve a produção de enzima bacteriana que interage com glicoproteínas nas membranas de células endoteliais, plaquetas e eritrócitos, expondo o antígeno T críptico, que é reconhecido por anticorpos do hospedeiro, resultando em agregação plaquetária e lesão endotelial.

Epidemiologicamente, a SHU-P afeta predominantemente crianças pequenas (mediana de idade 12-22 meses), com pico entre 6 meses e 4 anos (4). A introdução das vacinas conjugadas pneumocócicas, reduziu significativamente a incidência desta doença. Entretanto, as as complicações de pacientes com SHU-P são graves: 75% dos pacientes requerem diálise, com duração prolongada de hospitalização, trombocitopenia severa e prolongada, e necessidade de múltiplas transfusões de hemocomponentes, com taxa de mortalidade que pode chegar a 10%. Ainda, aproximadamente um terço dos sobreviventes evolui para doença renal terminal (4).

O tratamento da SHU-P é principalmente de suporte clínico, incluindo diálise, transfusões de hemocomponentes, e controle da infecção pneumocócica subjacente. A plasmaférese é controversa devido à preocupação de que a infusão de plasma contendo mais anticorpos anti-T IgM possa piorar a doença, embora alguns relatos sugiram benefício com uso de componentes sanguíneos lavados ou reduzidos em plasma (5). O uso de eculizumabe tem sido relatado em alguns casos, mas seu valor permanece incerto.