Nota Técnica 562004

Data de conclusão: 02/09/2026 14:10:03

Paciente

Idade: 38 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Contagem/MG

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: LUIZ AUGUSTO DA SILVA VINHAL

Número OAB: MG151548

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: SECPU

Tecnologia 562004

CID: D59.5 - Hemoglobinúria paroxística noturna [Marchiafava-Micheli]

Diagnóstico: hemoglobinúria paroxística noturna

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: VO

Posologia: ECULIZUMAB (Soliris) 900 mg, a cada 14 dias

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

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

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: ECULIZUMABE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Não há.

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 (11).

A evidência científica acerca da eficácia e segurança do uso de eculizumabe para tratamento de pacientes com HPN é vasta. Há diversos ensaios clínicos, revisões sistemáticas e estudos observacionais sobre o tema. Ademais, por ser considerado o tratamento padrão para a doença desde meados dos anos 2000, há diversos ensaios clínicos que utilizaram o eculizumabe como tratamento comparador para avaliação de novas tecnologias.

Nesse sentido, destacamos o estudo pivotal de eculizumabe para HPN, conhecido como estudo TRIUMPH, publicado em 2006 (12). Este foi um ensaio clínico de fase 3, randomizado, duplo-cego, controlado por placebo, multicêntrico (34 centros na Europa, Austrália, Canadá e EUA), que avaliou o uso do eculizumabe em pacientes com HPN dependentes de transfusão. Foram randomizados 87 pacientes (43 no grupo eculizumabe e 44 no grupo placebo), com idade mediana de 41 anos. Os critérios de inclusão exigiam HPN clássica com hemólise significativa e pelo menos uma transfusão de hemácias nos 24 meses anteriores ao início do acompanhamento. O estudo teve dois desfechos primários: estabilização da hemoglobina e número de unidades de concentrado de hemácias transfundidas durante esse período.

Como resultado, a independência transfusional foi atingida em 51% dos pacientes no grupo eculizumabe contra nenhum no grupo placebo (RR 46,02; IC95% 2,88–735,53; P = 0,007). Em relação a desfechos secundários, o grupo eculizumabe apresentou redução da hemólise (medida pela LDH), estabilização de hemoglobina e melhora significativa da fadiga (medida pelo escore clínico FACIT-Fatigue) e da qualidade de vida. Ainda, um episódio de trombose ocorreu durante o estudo, no grupo placebo. Os eventos adversos mais frequentes (cefaleia, nasofaringite, infecção de vias aéreas superiores, dor lombar e náusea) não diferiram significativamente entre os grupos, evidenciando um perfil de segurança adequado do eculizumabe.

Custo:
Item: ECULIZUMABE
Descrição: 10 MG/ML SOL DIL INFUS CT FA VD TRANS X 30 ML
Quantidade: 78
Valor unitário: R$ 24.062,90
Valor total: R$ 1.876.906,20

* Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) em Minas Gerais (ICMS 18%). 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 agosto de 2026, foi elaborada a tabela acima estimando o custo para um ano de tratamento.

A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), do Ministério da Saúde, realizou avaliação sobre o tema no ano de 2018 (8). A razão de custo-efetividade incremental estimada foi de R$22.468,00 por quinzena livre de transfusão, o que extrapolou os precedentes históricos considerados como adequados para a realidade brasileira. Não obstante, a comissão recomendou, por unanimidade, a incorporação do eculizumabe para tratamento restrito de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna hemolítica com alta atividade da doença, desde que cumpridos os critérios do PCDT estabelecido pelo Ministério da Saúde.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Controle da hemólise em pacientes com HPN, representando melhora dos parâmetros laboratoriais, qualidade de vida e fadiga. Ainda, 51% de chance de atingir independência transfusional.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: ECULIZUMABE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: As evidências científicas disponíveis acerca do uso de eculizumabe em pacientes com HPN são sólidas, provenientes de estudos clínicos de boa qualidade metodológica. Nesses estudos, o eculizumabe apresentou melhora nos parâmetros de hemólise e, consequentemente, proporcionou redução da necessidade de transfusões de sangue, melhora nos escores clínicos de fadiga e melhora na qualidade de vida. Assim, este medicamento é considerado o tratamento padrão de primeira linha de pacientes com HPN sintomática segundo diretrizes nacionais e internacionais sobre o tema.

Nesse sentido, o eculizumabe foi avaliado pela CONITEC e incorporado no sistema público brasileiro, sendo disponibilizado para indivíduos com os critérios estabelecidos em PCDT do Ministério da Saúde, conforme detalhado no item 5.6 deste parecer técnico. No caso em tela, há exame confirmatório estabelecendo o adequado diagnóstico de HPN e há descrição de anemia grave, com níveis de hemoglobina inferiores a 6 mg/dL e necessidade de transfusões de sangue. Portanto, entendemos que a parte autora preenche os critérios necessários estabelecidos pelo Ministério da Saúde para utilização do tratamento com eculizumabe.

Deste modo, reiteramos que o medicamento pleiteado encontra-se disponível no âmbito do SUS, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), devendo a parte autora buscar a via administrativa junto à Secretaria Municipal de Saúde. Nesse sentido, não identificamos junto aos autos a justificativa de negativa do fornecimento do medicamento pleiteado pela via administrativa. Por fim, caso configurada negligência ou omissão do ente público responsável em fornecer o eculizumabe de forma continuada, nos posicionamos de maneira favorável ao fornecimento da mesma por via jurisdicional.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Godby RC, Shah S. Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. Mayo Clin Proc. 2025 Oct 30:S0025-6196(25)00419-7.

2. Hill A, DeZern AE, Kinoshita T, Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Nat Rev Dis Primers. 2017 May 18;3:17028.

3. Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood. 2014 Oct 30;124(18):2804-11.

4. Devalet B, Mullier F, Chatelain B, Dogné JM, Chatelain C. Pathophysiology, diagnosis, and treatment of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a review. Eur J Haematol. 2015 Sep;95(3):190-8.

5. Ussowicz M, Przystupski D, Mensah-Glanowska P, Piekarska A. Current status and perspectives of hematopoietic cell transplantation in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Front Immunol. 2025 Jan 7;15:1521484.

6. Brodsky RA. How I treat paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood. 2021 Mar 11;137(10):1304-1309.

7. Peixoto VP, Prudêncio C, Vieira M. Exploring treatment strategies for paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: an overview of registered clinical trials. Curr Med Res Opin. 2024 May 16:1-11.

8. BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Eculizumabe para o tratamento da hemoglobinúria paroxística noturna. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2018. (Relatório de Recomendação, n. 413). Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2018/relatorio_eculizumabe_hpn.pdf

9. BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Exclusão do eculizumabe para tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2021. (Relatório de Recomendação, n. 659). Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-

br/midias/relatorios/2021/20210909_relatorio_eculizumabe_hpn_659_2020_final.pdf

10. BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Brasília, DF: Ministério da Saúde, 2019. (Relatório de Recomendação, Consulta Pública nº 34/2019). Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2019/relatorio_pcdt_hpn_cp34_2019.pdf

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

12. Hillmen P, Young NS, Schubert J, Brodsky RA, Socié G, Muus P, Röth A, Szer J, Elebute MO, Nakamura R, Browne P, Risitano AM, Hill A, Schrezenmeier H, Fu CL, Maciejewski J, Rollins SA, Mojcik CF, Rother RP, Luzzatto L. The complement inhibitor eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. N Engl J Med. 2006 Sep 21;355(12):1233-43.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: NAT-Jus Doenças Raras - HCPA/TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: A parte autora apresenta laudos médicos informando o diagnóstico de hemoglobinúria paroxística noturna desde 2009 (Evento 3, VOL1 e Evento 80, LAUDO4). Apresenta exame de imunofenotipagem por citometria de fluxo comprobatório da doença (Evento 80, EXMMED3). Ao diagnóstico, apresentava sinais de hemólise ativa, com anemia sintomática e, portanto, iniciou tratamento com eculizumabe no ano de 2010. É descrito bom controle da doença com o tratamento vigente. Nesse contexto, pleiteia a continuidade do tratamento com eculizumabe por tempo indeterminado como forma de controle da doença.

A hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma doença hematológica rara, adquirida, caracterizada por hemólise intravascular, tromboses e, frequentemente, insuficiência medular. A prevalência estimada é de 1-2 casos por milhão de habitantes ao ano, com distribuição semelhante entre sexos e predominância em adultos jovens (1-3). A HPN resulta de uma mutação no gene PIGA em células-tronco hematopoiéticas na medula óssea, levando à deficiência da proteína GPI (3,4). Esta molécula tem como função a fixação de proteínas de membrana na superfície celular, especialmente aquelas denominadas CD55 e CD59. Na ausência destas proteínas de membrana, as células sanguíneas, e em especial as hemácias, tornam-se vulneráveis à destruição intravascular pelo chamado sistema complemento - conjunto de moléculas presentes no sangue que tem como objetivo a destruição de patógenos como bactérias. Como decorrência da hemólise intravascular, a apresentação clínica típica da HPN consiste em anemia hemolítica, hemoglobinúria (perda de hemoglobina na urina), fadiga, dor abdominal e risco elevado de trombose (1-3).

Por muitos anos, o tratamento da HPN se resumiu a medidas de suporte como transfusões de sangue e manejo de sintomas. O transplante de medula óssea também pode ser aventado para casos graves ou refratários, porém seu uso é restrito e com resultados controversos (5).

No entanto, o curso da doença foi revolucionado pelo surgimento dos inibidores das moléculas do sistema complemento. O eculizumabe e o ravulizumabe são anticorpos monoclonais anti-C5 que bloqueiam a ativação terminal do complemento, reduzindo a hemólise e risco de trombose, sendo geralmente escolhidos como medicamentos de primeira linha (6). Novos agentes como crovalimabe (anti-C5), pegcetacoplana (inibidor de C3), iptacopana (inibidor do fator B) e danicopana (inibidor do fator D) também podem ser utilizados no tratamento da doença, especialmente para casos com hemólise extravascular residual a despeito do uso de inibidores de C5 (7).