



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1831/2025

Rio de Janeiro, 17 de dezembro de 2025.

Processo nº 5013175-27.2025.4.02.5102,
ajuizado por **L. S. S.**

De acordo com os documentos médicos apensados aos autos, a Autora, 73 anos, apresenta diagnósticos de **aplasia de medula óssea** (CID-10: D61.3) e **hemoglobinúria paroxística noturna** (CID-10: D59.5), tendo iniciado tratamento de primeira linha para doença hematológica com imunossupressão (corticóide + Cicloscoporina+ Eltrombopague). Apesar de ter apresentado elevação dos níveis de hemoglobina, observa-se LDH em ascensão, bem como quadro clínico de astenia e fraqueza com **piora progressiva**. Não é candidata a transplante de medula óssea.

Iniciou terapia específica para **hemoglobinúria paroxística noturna** com Eculizumabe e, embora tenha apresentado resposta parcial ao tratamento, mantém anemia, níveis elevados de LDH, haptoglobina consumida, mantendo fadiga incapacitante que impede a Demandante de realizar suas atividades da vida diária de forma autônoma.

Desse modo, é imperativo e urgente a troca de tratamento devido à falta de resposta e manutenção de hemólise. Foi prescrito à Autora o medicamento **Iptacopana 200mg** (Fabhalta®) **02 comprimidos ao dia**, de forma contínua sem descontinuação (Evento 1_ANEXO2_Páginas 1/6; Evento 1_ANEXO4_Páginas 4/6-8/9).

Posto isso, informa-se que o medicamento pleiteado **Iptacopana 200mg** (Fabhalta®) **apresenta indicação** prevista em bula¹ para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – **hemoglobinúria paroxística noturna**, não se tratando de uso *off-label*.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que **Iptacopana 200mg** (Fabhalta®) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Niterói e do Estado do Rio de Janeiro. **Não cabendo** seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

O medicamento **Iptacopana possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), e atualmente **encontra-se em análise** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC², para o tratamento para pacientes adultos com **hemoglobinúria paroxística noturna** (HPN) previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL.

Para o tratamento da **hemoglobinúria paroxística noturna** (HPN), o Ministério da Saúde instituiu, nos termos da Portaria Conjunta nº 18, de 20 de novembro de 2019³, o Protocolo

¹ Bula do medicamento Iptacopana (Fabhalta®) por Novartis Biociências S.A.. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=100681187>>. Acesso em: 17 dez. 2025.

² BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 17 dez. 2025.

³ BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Portaria Conjunta nº 18, de 20 de novembro de 2019. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt_hpn.pdf>. Acesso em: 17 dez. 2025.

GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) específico para essa condição. O referido PCDT preconiza o uso do medicamento Eculizumabe como terapia medicamentosa para a **HPN**, ressaltando-se que tal fármaco **já foi previamente utilizado pela Autora**. Dessa forma, **entende-se esgotada a opção terapêutica prevista no protocolo vigente**.

Acrescenta-se ainda que a **hemoglobinúria paroxística noturna** é uma doença rara, com incidência anual estimada de 1,3 novos casos por um milhão de indivíduos³. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁴ tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras⁵. Tal PCDT³ foi descrito acima no presente parecer.

O medicamento **Iptacopana 200mg** (Fabhalta[®]) **detém registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Ademais, a **Iptacopana** foi registrada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 27 de janeiro de 2025. Por ser um medicamento novo e embora a pesquisa tenha mostrado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos¹. Nesse sentido, é importante que a Autora seja reavaliada pelo médico assistente periodicamente, a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

Quanto à imprescindibilidade do tratamento, de acordo com o médico assistente, é imperativo e urgente a troca de tratamento devido à falta de resposta e manutenção de hemólise.

No que concerne ao valor do fármaco pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)⁶.

De acordo com publicação da CMED⁷, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

⁴ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 17 dez. 2025.

⁵ CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 17 dez. 2025.

⁶ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 17 dez. 2025.

⁷ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/pdf_conformidade_gov_20241105_195640284.pdf>. Acesso em: 17 dez. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Iptacopana 200mg** (Fabhalta[®]), embalagem com 56 comprimidos, possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 104.395,42, alíquota ICMS 0%⁸.

Considerando o esquema terapêutico prescrito, o custo anual corresponde a R\$ 1.461.535,88.

É o parecer.

À 7ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

⁸ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em: <<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 17 dez. 2025.