

NOTA TÉCNICA Nº 5868/2024 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5020265-09.2024.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 12/09/2024
- 1.4. Data da Resposta: 17/09/2024

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 15/01/1962 - 62 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Jaú/SP
- 2.4. Histórico da doença: Degeneração macular relacionada a idade bilateral associada a atrofia geográfica macular – CID10 H35.3

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO
SYFOVRE 15MG
- 4.2. Princípio Ativo: Pegcetacoplan
- 4.3. Registro na ANVISA: não
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
- 4.5. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não
- 4.6. Recomendações da CONITEC: não avaliado

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

O medicamento pegcetacoplane possui registro na ANVISA para administração por via subcutânea para tratamento de pacientes com o diagnóstico de hemoglobinúria paroxística noturna.

A doença que acomete este paciente é outra, trata-se de degeneração macular relacionada à idade (DMRI), uma doença que acomete a visão de idosos e provoca perda visual.

Existem pesquisas clínicas e publicações com reanálises dos dados originais sobre o uso de pegcetacoplane no tratamento da DMRI. No entanto, essas publicações utilizam o medicamento com aplicação intravítrea, ou seja, aplicação direta no globo ocular.

Como a via de administração e a indicação diferem significativamente daquela para qual a ANVISA aprovou o uso no território nacional, deve-se considerar que realmente não há

aprovação que permita o seu uso de forma embasada e segura no território nacional. Não foi possível para este parecerista identificar se nos estudos foi utilizado o mesmo produto farmacológico ou se outra formulação foi desenvolvida para aplicação intravítrea.

Neste sentido, este parecer encara o medicamento em questão como um medicamento sem registro apropriado junto à ANVISA.

O fornecimento, pelo Estado, de medicamentos sem registro na ANVISA, de acordo com o entendimento do STF, só pode ocorrer em casos excepcionais. O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais e a ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial.

É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:

- (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras);
- (ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e
- (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Não se aplica.

5.3. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

Medicação solicitada não tem registro na ANVISA para o uso proposto.

As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

() SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

(x) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=160900001>

<https://www.migalhas.com.br/quentes/302836/stf--estado-so-deve-fornecer-medicamentos-sem-registro-na-anvisa-em-casos-excepcionais>

Nittala MG, Metlapally R, Ip M, et al. Association of Pegcetacoplan With Progression of Incomplete Retinal Pigment Epithelium and Outer Retinal Atrophy in Age-Related Macular Degeneration: A Post Hoc Analysis of the FILLY Randomized Clinical Trial. *JAMA Ophthalmol.* 2022;140(3):243-249. doi:10.1001/jamaophthalmol.2021.6067

Fu DJ, Bagga P, Naik G, et al. Pegcetacoplan Treatment and Consensus Features of Geographic Atrophy Over 24 Months. *JAMA Ophthalmol.* 2024;142(6):548-558. doi:10.1001/jamaophthalmol.2024.1269

Steinle NC, Pearce I, Monés J, et al. Impact of Baseline Characteristics on Geographic Atrophy Progression in the FILLY Trial Evaluating the Complement C3 Inhibitor Pegcetacoplan. *Am J Ophthalmol.* 2021;227:116-124. doi:10.1016/j.ajo.2021.02.031

Wykoff CC, Rosenfeld PJ, Waheed NK, et al. Characterizing New-Onset Exudation in the Randomized Phase 2 FILLY Trial of Complement Inhibitor Pegcetacoplan for Geographic Atrophy. *Ophthalmology.* 2021;128(9):1325-1336. doi:10.1016/j.ophtha.2021.02.025

Fu DJ, Ginton S, Lipkova V, et al. Deep-learning automated quantification of longitudinal OCT scans demonstrates reduced RPE loss rate, preservation of intact macular area and predictive value of isolated photoreceptor degeneration in geographic atrophy patients receiving C3 inhibition treatment. *Br J Ophthalmol.* 2024;108(4):536-545. Published 2024 Mar 20. doi:10.1136/bjo-2022-322672

Garg A, Nanji K, Tai F, et al. The effect of complement C3 or C5 inhibition on geographic atrophy secondary to age-related macular degeneration: A living systematic review and meta-analysis. *Surv Ophthalmol.* 2024;69(3):349-361. doi:10.1016/j.survophthal.2023.11.008

Vangsted A, Thinggaard BS, Nissen AHK, et al. Prevalence of geographic atrophy in Nordic countries and number of patients potentially eligible for intravitreal complement inhibitor treatment: A systematic review with meta-analyses and forecasting study. *Acta Ophthalmol.* 2023;101(8):857-868. doi:10.1111/aos.15768

Heier JS, Lad EM, Holz FG, et al. Pegcetacoplan for the treatment of geographic atrophy secondary to age-related macular degeneration (OAKS and DERBY): two multicentre, randomised, double-masked, sham-controlled, phase 3 trials. *Lancet*. 2023;402(10411):1434-1448. doi:10.1016/S0140-6736(23)01520-9

Liao DS, Grossi FV, El Mehdi D, et al. Complement C3 Inhibitor Pegcetacoplan for Geographic Atrophy Secondary to Age-Related Macular Degeneration: A Randomized Phase 2 Trial. *Ophthalmology*. 2020;127(2):186-195. doi:10.1016/j.ophtha.2019.07.011

5.6. Outras Informações – conceitos:

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde

prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem

abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

Considerações NAT-Jus/SP: A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

Equipe NAT-Jus/SP