

Ofício nº 274/2025

São Paulo, 10 de novembro de 2025.

Ao

Ministério da Saúde

Comissão Nacional de incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde

Assunto: Contribuição – Consulta Pública nº 88/2025 – Iptacopana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL

Prezados(as),

A ABRALE (Associação Brasileira de Câncer do Sangue), entidade sem fins lucrativos, com representação em todo território nacional, inscrita no CNPJ/MF sob o nº. 05.404.321/0001-75, sediada na Rua Dr. Fernandes Coelho, 64, 13º andar, Pinheiros, CEP 05423-040, São Paulo – SP, telefone (11) 3149-5190, instituída com a finalidade de informar e oferecer suporte aos pacientes de doenças onco-hematológica, vem, por meio deste, apresentar contribuição técnica referente à Consulta Pública nº 88/2025, que avalia a proposta de incorporação do Iptacopana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL, conforme proposta submetida à Consulta Pública com recomendação preliminar favorável.

1. Introdução

A entidade reconhece a relevância da presente consulta pública, que representa mais um passo no esforço de ampliar as alternativas terapêuticas disponíveis no Sistema Único de Saúde (SUS) para pacientes com doenças hematológicas crônicas e raras. No contexto da defesa do acesso equitativo a tratamentos eficazes e inovadores, a Abrale apresenta, a seguir,

um panorama técnico sobre a Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN)¹, para ilustrar a importância da incorporação de novas tecnologias que impactam diretamente a qualidade de vida dos pacientes.

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença hematológica rara, caracterizada por anemia hemolítica crônica causada pela destruição dos glóbulos vermelhos. A condição está frequentemente associada a infecções recorrentes e a outras doenças da medula óssea, como anemia aplásica e síndromes mielodisplásicas.

A HPN decorre de uma mutação no gene PIG-A, que impede a fixação das proteínas CD55 e CD59 à superfície das células sanguíneas, tornando as hemácias vulneráveis à ação do sistema complemento. Essa falha leva à destruição dos glóbulos vermelhos e aumenta significativamente o risco de trombooses, especialmente nas veias hepáticas e abdominais, principal causa de morte entre os pacientes com a doença. Os sintomas incluem fadiga intensa, dispneia, cefaleia, dor abdominal, disfagia e urina escura pela manhã — um sinal clássico da hemólise.

Trata-se de uma condição de difícil diagnóstico, em razão da variabilidade clínica e da baixa prevalência. Estima-se uma incidência de 1 a 5 casos por milhão de habitantes nos Estados Unidos e 1,3 casos por milhão no Brasil, com maior frequência entre 30 e 50 anos de idade. O diagnóstico é confirmado por citometria de fluxo, que identifica a ausência das proteínas CD55 e CD59, e o tratamento inclui anticoagulantes, suplementação de ferro e ácido fólico, transfusões e o uso de inibidores do complemento, como o eculizumabe. O transplante de medula óssea permanece uma alternativa curativa restrita a casos selecionados.

Apesar do tratamento individualizado, a qualidade de vida das pessoas com HPN permanece gravemente comprometida pelos sintomas e pela alta carga de cuidado. Com o intuito de compreender melhor esse cenário, a Abrale realizou um estudo transversal,

¹ ABRALE (Associação Brasileira de Câncer do Sangue). Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico. São Paulo, 17 out 2024. Disponível em: <https://abrale.org.br/noticias/panorama-da-hpn-no-brasil-relato-dos-pacientes-e-perfil-sociodemografico/>

descritivo e quanti-qualitativo, que analisou dados secundários do DATASUS e realizou um grupo focal com pacientes diagnosticados com HPN em diferentes estados do país.

Os resultados revelaram 14.659 procedimentos ambulatoriais realizados no período, referentes a 464 pacientes estimados, com uma média de 32 procedimentos por paciente. O custo total foi de R\$ 57 milhões, com média de R\$ 11.319,12 por paciente, valor que se elevou após a introdução do eculizumabe em 2023. Também foram registradas 444 internações no período, correspondendo a 256 pacientes estimados, com média de duas internações por paciente e tempo médio de internação de sete dias. Entre os internados, 5% precisaram de UTI e 4% evoluíram para óbito, totalizando R\$ 670 mil em gastos hospitalares.

Do ponto de vista sociodemográfico, São Paulo concentrou o maior número de procedimentos (25,7%) e internações (22,7%), seguido por Paraná e Rio Grande do Sul. Cerca de metade dos pacientes precisou se deslocar para outro município para tratamento. A maioria é autodeclarada branca (55,4%), seguida por parda (34,7%) e preta (5,5%); 53% são mulheres, e a faixa etária predominante é a de 30 a 39 anos (24%), o que demonstra o impacto da doença em pessoas em plena fase produtiva.

Os depoimentos colhidos no grupo focal evidenciam diagnóstico tardio e impactos significativos na vida profissional e emocional.

Paciente 4: *“Eu fazia o tratamento à tarde e perdia o dia inteiro. O deslocamento era demorado, e isso afetava o trabalho.”*

Paciente 1: *“Em geral, vou de ônibus, uns 30–35 minutos dependendo do trânsito.”*

Paciente 3: *“Muitos saem na noite anterior para chegar de manhã ao hospital e passam o dia todo lá. Isso torna impossível conciliar com o*

trabalho.”

Apesar das dificuldades, muitos expressaram esperança em novas terapias e avanços tecnológicos que reduzam a necessidade de infusões frequentes e tragam mais autonomia:

Paciente 5: *“Tomara que surjam novas medicações para parar de infundir a cada 15 dias.”*

Paciente 6: *“Acredito muito nas terapias genéticas. Espero que um dia haja cura.”*

Esses achados reforçam o alto impacto clínico, social e econômico da HPN, evidenciando a necessidade de ampliar o acesso a tratamentos eficazes, menos invasivos e que reduzam as hospitalizações e o ônus assistencial.

Nesse contexto, a análise da incorporação do iptacopana surge como um passo relevante na busca por alternativas terapêuticas mais eficazes e convenientes para pacientes com HPN. Trata-se de um medicamento oral que atua de forma direcionada no controle da hemólise, oferecendo uma opção potencialmente capaz de reduzir a dependência de infusões intravenosas e a carga assistencial associada ao tratamento atual. A avaliação dessa tecnologia representa, portanto, não apenas uma oportunidade de avanço clínico, mas também uma estratégia para promover maior autonomia ao paciente e racionalizar o uso de recursos no sistema de saúde.

2. Da jornada e perspectiva do paciente

A perspectiva do paciente deve ser considerada elemento essencial nas decisões de incorporação de tecnologias em saúde. A inclusão de dados de vida real e relatos de experiência amplia a compreensão sobre o valor terapêutico das tecnologias, evidenciando

dimensões que frequentemente não são captadas em ensaios clínicos, como impacto social, funcional e emocional.

Nesse sentido, durante a 145ª Reunião da Conitec, realizada em 1º de outubro de 2025², a paciente Regina Furuta, diagnosticada com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) desde 2015, compartilhou sua trajetória de tratamento e os efeitos transformadores da transição para o uso do iptacopana, corroborando os achados do estudo Panorama da HPN no Brasil, conduzido pela Abrale.

Ao narrar sua trajetória, relatou ter sido diagnosticada aos 39 anos, após episódios recorrentes de urina escura, fadiga e dores abdominais:

“O primeiro sinal de alerta foi a urina escura, semelhante à cor de refrigerante de cola ou chá-mate. Entre 2013 e 2014, isso ocorria uma ou duas vezes por ano, mas depois passou a ser mais frequente. Procurei um nefrologista, achando que era algo renal, mas os exames estavam normais. Foi o hematologista, após a citometria de fluxo, quem confirmou o diagnóstico de HPN.”

Após o diagnóstico, Regina iniciou tratamento com anticoagulantes, ácido fólico, ferro e vitamina B12. Em 2017, precisou recorrer à judicialização para iniciar o tratamento específico disponível à época. No entanto, enfrentou longos períodos de desabastecimento:

“O tratamento foi contínuo, exceto nos períodos de falta da medicação, principalmente em 2024, quando cheguei a ficar cerca de seis meses sem tratamento. Nesses períodos, os exames se agravavam e os sintomas retornavam, com fadiga intensa, urina escura e hemólises recorrentes.”

Mesmo em tratamento, a fadiga persistia e limitava severamente sua vida cotidiana:

² CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. **145ª Reunião da Conitec – Comitê de Medicamentos (tarde), 1º de outubro de 2025.** Apreciação inicial da iptacopana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidor de C5 e com hemoglobina <10 g/dL. Disponível em: https://youtu.be/Wq4ZMOvNOqg?si=cVFzjOj3_nAvJ5gl

“Chegou um momento em que eu não conseguia subir um lance de escadas. Sempre pratiquei atividades físicas, como corrida e musculação, mas precisei parar. A fadiga era tão grande que um ‘dia bom’ era aquele em que eu conseguia apenas trabalhar e me concentrar, sem sentir aquela névoa mental.”

O impacto da doença e do tratamento infusional refletiu-se também em sua vida profissional:

“O tratamento era infusional e hospitalar, ocupando meio período ou mais do dia, inviabilizando o trabalho em horário comercial. Fui demitida em fevereiro de 2024, em parte devido à frequência de faltas e uso do plano de saúde.”

A transição para o tratamento oral com iptacopana, em outubro de 2024, marcou uma mudança significativa:

“Em uma semana, percebi melhora: o cansaço reduziu, a urina ficou clara, o sono regularizou, e voltei a correr e a praticar exercícios regularmente. Hoje, meus exames estão normais e estáveis. Consigo subir 14 andares de escada sem parar e pedalar até 30 km.”

Regina enfatizou também os ganhos sociais e práticos da terapia oral:

“A mudança do tratamento infusional para o oral representou uma transformação. Além da melhora clínica, me trouxe autonomia e praticidade, reduzindo deslocamentos e o tempo no ambiente hospitalar. Conheço pacientes que viajam mais de 300 km até o centro de tratamento e muitas vezes chegam lá e não encontram a medicação disponível.”

Ela acrescentou que, após a melhora com o novo tratamento, perdeu o benefício do INSS, pois seus exames voltaram à normalidade — um indicador indireto da restauração da capacidade funcional e laboral.

“Com o tratamento oral, há ganhos em qualidade de vida, adesão, redução de custos indiretos e preservação da vida laboral. No meu caso, a melhora foi tamanha que perdi o benefício do INSS, pois os exames voltaram à normalidade.”

Durante a reunião, a representante do Conselho Nacional de Saúde, Priscila Torres, parabenizou Regina pela clareza e sensibilidade do relato, destacando o “limbo socioeconômico” em que vivem muitos pacientes crônicos e com doenças raras, que embora não incapacitados, enfrentam grandes barreiras para manter um emprego e acesso contínuo ao tratamento.

Ao final, Regina reforçou que a inovação terapêutica transformou sua vida e poderia ter evitado parte das perdas profissionais e emocionais que enfrentou:

“Acredito que, se tivesse tido acesso ao tratamento inovador mais cedo, teria conseguido manter meu trabalho. Não fui afastada por incapacidade, mas sim desligada, e hoje percebo que a fadiga e a perda cognitiva foram determinantes para isso.”

O depoimento de Regina sintetiza a experiência de muitos pacientes com HPN, traduzindo em vivência concreta os achados do estudo da Abrale, que apontam para o alto impacto clínico, social e econômico da doença. Sua jornada ilustra como o acesso precoce a terapias inovadoras pode preservar a funcionalidade e reduzir desigualdades.

3. Da priorização de tecnologias - Portaria GM/MS nº 8.477 de 20 de outubro de 2025

É importante destacar a necessidade de alinhamento da presente avaliação com a Portaria GM/MS nº 8.477, de 20 de outubro de 2025, que institui o Componente da

Assistência Farmacêutica em Oncologia (AF-ONCO)³, instrumento essencial para garantir coerência com as diretrizes nacionais de financiamento, aquisição e dispensação de medicamentos oncológicos no SUS, bem como para orientar a priorização de tecnologias de alto impacto clínico e social.

Embora a portaria esteja em fase inicial de operacionalização e pactuação na Comissão Intergestores Tripartite (CIT), o caso da iptacopana se enquadra plenamente nos critérios técnicos e científicos de priorização definidos nos arts. 5º e 6º da norma, considerando a gravidade da condição clínica, as lacunas terapêuticas existentes, o potencial de ganho em qualidade de vida e a viabilidade logística de sua incorporação no sistema público.

I – Gravidade da condição clínica e carga da doença

A hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma doença rara, grave e potencialmente fatal, associada a anemia hemolítica, trombose e falência medular. A persistência de anemia em pacientes tratados com inibidores de C5 reflete uma necessidade médica não atendida, com impacto direto na morbimortalidade, na qualidade de vida e na capacidade funcional dos pacientes — grande parte em idade economicamente ativa.

II – Lacunas terapêuticas e ausência de alternativas no SUS

Atualmente, o SUS dispõe apenas de inibidores de C5 (eculizumabe e ravulizumabe) para o tratamento da HPN. Entretanto, parcela expressiva dos pacientes apresenta anemia persistente por hemólise extravascular, sem resposta clínica adequada, o que reforça a necessidade de terapias que atuem em níveis mais precoces da cascata do complemento. A iptacopana, inibidor do fator B, representa a primeira terapia oral capaz de bloquear o complemento de forma proximal, abordando justamente essa lacuna terapêutica.

III – Potencial de ganho em qualidade de vida e benefício clínico

³ Portaria GM/MS n.º 8.477, de 20 de outubro de 2025. Institui o Componente da Assistência Farmacêutica em Oncologia (AF-Onco), no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Diário Oficial da União, Seção 1, 22 out 2025, p. 117. Disponível em:

<https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/portaria-gm/ms-n-8.477-de-20-de-outubro-de-2025-664002839>

Os ensaios clínicos APPLY-PNH e APPOINT-PNH demonstraram que a iptacopana promove aumento sustentado da hemoglobina, redução da necessidade de transfusões, melhora da fadiga e independência transfusional em proporção significativa dos pacientes, mantendo perfil de segurança favorável. Esses ganhos se traduzem em melhor adesão, menor carga assistencial e redução de hospitalizações, alinhando-se aos objetivos do AF-ONCO de ampliar o acesso a terapias inovadoras que otimizem recursos públicos e melhorem os desfechos clínicos.

IV – Viabilidade logística e operacional

A iptacopana é um medicamento oral, de armazenamento simples e esquema terapêutico estável, características que favorecem sua incorporação ao SUS sem necessidade de estrutura adicional. A distribuição e o monitoramento podem ser realizados por meio dos mesmos canais de dispensação dos medicamentos onco-hematológicos já incorporados, garantindo rastreabilidade e aderência às diretrizes da AF-ONCO.

V – Sustentabilidade e impacto econômico

O tratamento oral, além de reduzir custos indiretos (como infusões hospitalares e internações), contribui para racionalizar recursos assistenciais e administrativos, em consonância com o princípio da eficiência orçamentária previsto na Portaria nº 8.477/2025. A substituição parcial de terapias infusionais por regimes orais mais efetivos e seguros é uma estratégia expressamente estimulada pela política, com potencial para reduzir o ônus financeiro e administrativo do SUS.

VI – Contribuição para a equidade e redução da judicialização

A ausência de opções eficazes para anemia persistente em pacientes com HPN tem levado à judicialização recorrente, marcada por desigualdade regional no acesso e descontinuidade de tratamento. A incorporação da iptacopana sob as diretrizes do AF-ONCO assegura tratamento isonômico, planejamento orçamentário e monitoramento pós-incorporação, reforçando o princípio da equidade e mitigando distorções judiciais.

Dessa forma, a iptacopana preenche todos os critérios de priorização definidos pela Portaria GM/MS nº 8.477/2025, configurando-se como uma tecnologia de alto valor terapêutico, social e econômico. Sua incorporação é coerente com as diretrizes nacionais de integralidade da assistência onco-hematológica e contribui diretamente para os objetivos da Política Nacional de Prevenção e Controle do Câncer (Lei nº 14.758/2023), fortalecendo a efetividade do AF-ONCO e promovendo acesso sustentável à inovação.

4. Parecer técnico da Sociedade de Especialidade

A Associação Brasileira de Câncer do Sangue (Abrale) endossa integralmente o parecer técnico emitido pela Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH), o qual apresenta sólida fundamentação científica e clínica favorável à incorporação da iptacopana no Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) previamente tratados com inibidores de C5 e com hemoglobina inferior a 10 g/dL.

A ABHH, sociedade médica que representa os profissionais das áreas de hematologia, hemoterapia e terapia celular no Brasil, elaborou este parecer com base nas evidências reunidas por seus Comitês de Falências Medulares⁴ e de Glóbulos Vermelhos e do Ferro⁵, que integram especialistas de referência nacional. A manifestação técnica reafirma a posição favorável da entidade à recomendação preliminar da CONITEC, reconhecendo a iptacopana como uma opção terapêutica inovadora, segura e eficaz para um grupo de pacientes com necessidade médica não atendida.

Segundo o parecer da ABHH, a anemia persistente em pacientes com HPN tratados com inibidores de C5 permanece como um desafio clínico relevante, frequentemente associada à hemólise extravascular mediada por C3b. Essa condição está relacionada à fadiga

⁴ Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH). Parecer do Comitê de Falências Medulares da ABHH – Consulta Pública nº 088/2025 (iptacopana para HPN). São Paulo: ABHH

⁵ Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH). Parecer do Comitê de Glóbulos Vermelhos e do Ferro da ABHH – Consulta Pública nº 088/2025 (iptacopana para HPN). São Paulo: ABHH

intensa, fraqueza, dispneia, necessidade transfusional recorrente e impacto expressivo na qualidade de vida.

Enquanto os inibidores de C5, como eculizumabe e ravulizumabe, controlam a hemólise intravascular, parte dos pacientes continua a apresentar hemoglobina abaixo de 10 g/dL. Nesse cenário, a iptacopana — inibidor seletivo do fator B — atua em um ponto mais proximal da cascata do complemento, bloqueando tanto a hemólise intravascular quanto a extravascular e proporcionando ganhos clínicos e laboratoriais significativos.

Os ensaios clínicos de fase 3 APPLY-PNH e APPOINT-PNH demonstraram eficácia superior da iptacopana, com aumento ≥ 2 g/dL nos níveis de hemoglobina em 82% dos pacientes previamente tratados com inibidores de C5, sendo que 69% atingiram hemoglobina ≥ 12 g/dL sem transfusões. Em pacientes que nunca haviam recebido inibidores do complemento, 92% apresentaram aumento ≥ 2 g/dL na hemoglobina e 63% alcançaram valores ≥ 12 g/dL, com melhora consistente nos marcadores de hemólise (LDH, reticulócitos e bilirrubina) e nos sintomas de fadiga.

Além da eficácia, o medicamento apresentou perfil de segurança favorável e boa tolerabilidade, sem registros de eventos adversos graves relacionados ao tratamento. Revisões sistemáticas e meta-análises reforçam esses achados, demonstrando elevação significativa dos níveis de hemoglobina e redução de LDH, o que confirma a robustez do corpo de evidências.

A ABHH enfatiza que não existe, atualmente, alternativa terapêutica disponível no SUS para pacientes com HPN e anemia persistente sob uso de inibidores de C5, o que confere caráter de relevância clínica e social à incorporação da iptacopana. A introdução desse medicamento representa uma estratégia fundamental para ampliar as opções terapêuticas, reduzir a dependência transfusional e melhorar a qualidade de vida dessa população.

Diante do exposto, a Abrale endossa o parecer técnico da ABHH e manifesta apoio à incorporação da iptacopana no SUS, reconhecendo a importância dessa decisão para a equidade e integralidade do cuidado aos pacientes com HPN.

5. Considerações Finais

Conforme debatido na 145ª Reunião da Conitec, o iptacopana apresenta um mecanismo de ação inovador, atuando na via alternativa do complemento, e perfil farmacológico que possibilita administração oral, oferecendo aos pacientes maior autonomia e redução da necessidade de infusões frequentes. Esses atributos estão diretamente associados à melhoria da adesão terapêutica, da qualidade de vida e à diminuição de hospitalizações, conforme evidenciado nos relatos dos pacientes e nos dados coletados pela Abrale sobre o impacto social e econômico da HPN.

A análise técnica e econômica deve considerar que o iptacopana não se propõe a substituir os inibidores de C5 em primeira linha, mas sim a oferecer uma opção terapêutica eficaz para pacientes com resposta incompleta, em consonância com o conceito de otimização de tratamento e de uso racional dos recursos do SUS. Ainda, a experiência internacional demonstra ganhos clínicos sustentados, redução de transfusões e melhora significativa dos níveis de hemoglobina, sem comprometer a segurança.

O iptacopana também se enquadra nos critérios técnicos e científicos de priorização previstos na Portaria GM/MS nº 8.477/2025, que institui o Componente da Assistência Farmacêutica em Oncologia (AF-ONCO). A gravidade da condição, a existência de lacunas terapêuticas, o potencial de ganho em qualidade de vida, a sustentabilidade orçamentária e a viabilidade operacional — por tratar-se de medicamento oral, de armazenamento simples e dispensação descentralizada — justificam sua priorização e incorporação.

A Abrale endossa integralmente o parecer técnico da Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH), tanto do Comitê de Falências Medulares quanto do Comitê de Glóbulos Vermelhos, que destacam o benefício clínico do iptacopana, sua segurança e o potencial de reduzir o ônus assistencial da HPN no país.

Dessa forma, a incorporação do iptacopana ao SUS representa um passo decisivo na ampliação das opções terapêuticas para pacientes com HPN, alinhando-se à política de integralidade da assistência farmacêutica, à Política Nacional de Prevenção e Controle do

Câncer (Lei nº 14.758/2023) e aos princípios de equidade e sustentabilidade do sistema público de saúde.

A Abrale reitera seu compromisso com a promoção do acesso equitativo e baseado em evidências às terapias onco-hematológicas e se coloca à disposição da Conitec e do Ministério da Saúde para apoiar a consolidação técnica e social desta incorporação, contribuindo com dados complementares e o diálogo contínuo com pacientes, especialistas e gestores.

Cordialmente,



Catherine Moura

CEO - Associação Brasileira de Câncer do Sangue – Abrale



Luana Ferreira Lima

Gerente de Políticas Públicas e Advocacy - Abrale e Coordenadora do Movimento TJCC