

São Paulo, 06 de julho de 2026

Ofício nº 121/2026

Ministério da Saúde

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos – SCTIE

Comissão Nacional de incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec

Assunto: Contribuição ABRALE, Consulta Pública nº 49/2026 – Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana para o tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna

Prezados (as),

A ABRALE – Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia, 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 e hematológicas, vem apresentar suas considerações acerca da incorporação do medicamento **Ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplana e iptacopana para o tratamento de pacientes com hemoglobinúria paroxística noturna** pelo que passa a expor:

1) Do objeto da consulta pública

Fundada por pacientes e familiares, a Abrale atua de forma estruturada nas áreas de apoio direto ao paciente, educação em saúde, produção e monitoramento de dados e advocacy em políticas públicas, participando ativamente dos processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS) conduzidos pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec).

A presente contribuição tem como objetivo apresentar a perspectiva dos pacientes sobre a jornada de cuidado na HPN, os desafios ainda enfrentados no acesso ao tratamento e a importância da ampliação das opções terapêuticas disponíveis no Sistema Único de Saúde (SUS). Trata-se de uma discussão particularmente relevante, considerando que a HPN é uma doença rara, grave e potencialmente fatal, cujo manejo adequado exige não apenas acesso ao tratamento, mas também a disponibilidade de diferentes alternativas terapêuticas capazes de atender às necessidades clínicas específicas de cada paciente.

Nesse contexto, a Abrale entende que a avaliação conjunta dessas tecnologias exige cautela. Embora todas sejam destinadas ao tratamento da HPN, elas apresentam mecanismos de ação distintos, perfis de utilização diferentes e potencial para atender grupos específicos de pacientes ao longo da jornada da doença. Dessa forma, a análise não deve ser conduzida sob a lógica de substituição entre tecnologias, mas sim sob a perspectiva da complementaridade terapêutica e da necessidade de individualização do cuidado.

Além disso, é fundamental destacar que o ravulizumabe já teve sua incorporação aprovada pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 10, de 5 de março de 2024, para o tratamento da HPN conforme protocolo clínico do Ministério da Saúde. No entanto, apesar da decisão favorável e da formalização da incorporação, os pacientes ainda não tiveram acesso efetivo à tecnologia, uma vez que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da HPN permanece sem publicação final.

Esse cenário gera preocupação entre pacientes e organizações da sociedade civil, pois evidencia um descompasso entre a incorporação formal da tecnologia e sua efetiva disponibilização na rede pública. Para as pessoas que vivem com HPN, especialmente aquelas que enfrentam limitações relacionadas à frequência das infusões, à distância dos centros especializados e à necessidade de conciliar tratamento e vida profissional, o acesso ao ravulizumabe representa uma demanda concreta e já reconhecida pelo próprio Ministério da Saúde.

Diante disso, esta contribuição busca apresentar evidências provenientes de estudos, dados do SUS e relatos de pacientes acompanhados pela Abrale, demonstrando a necessidade de garantir acesso oportuno às tecnologias em avaliação e de assegurar que as decisões da

Conitec considerem não apenas aspectos econômicos e metodológicos, mas também o impacto da doença e dos tratamentos na vida real das pessoas que convivem com HPN.

2. Da jornada do paciente de hemoglobinúria paroxística noturna

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença hematológica rara, adquirida, crônica e progressiva, caracterizada pela destruição contínua das hemácias, anemia hemolítica, trombose e comprometimento de múltiplos órgãos. Trata-se de uma condição associada à elevada morbimortalidade e a importantes impactos físicos, emocionais, sociais e econômicos.

Embora rara, a HPN impõe uma carga significativa ao sistema de saúde e aos pacientes. Os sintomas incluem fadiga intensa, falta de ar, dor abdominal, cefaleia, dificuldade de concentração, fraqueza muscular e necessidade frequente de transfusões de sangue. Além disso, a doença está associada a complicações potencialmente fatais, como trombozes e falência de órgãos, sendo a trombose uma das principais causas de mortalidade entre esses pacientes.

Em 2024, a Abrale realizou o estudo “*Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico*”¹, com o objetivo de compreender a realidade das pessoas que vivem com a doença e os desafios enfrentados dentro do Sistema Único de Saúde. O estudo combinou análise de dados públicos do Datasus e escuta qualificada de pacientes por meio de grupo focal.

Os resultados demonstram a elevada complexidade do cuidado. Entre 2018 e 2023 foram registrados 14.659 procedimentos ambulatoriais realizados para aproximadamente 464 pacientes estimados, representando uma média de 32 procedimentos por pessoa. Os dados refletem a necessidade contínua de consultas, exames, monitoramento clínico e terapias indispensáveis para o controle da doença.

No mesmo período, foram registradas 444 internações para cerca de 256 pacientes estimados, com média de duas hospitalizações por pessoa. O tempo médio de permanência

¹ ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE LINFOMA E LEUCEMIA (ABRALE). Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico. São Paulo: Abrale, 17 out. 2024. Disponível em: <https://abrale.org.br/noticias/panorama-da-hpn-no-brasil-relato-dos-pacientes-e-perfil-sociodemografico/>

hospitalar foi de aproximadamente uma semana, sendo que 5% dos pacientes necessitaram de atendimento em Unidade de Terapia Intensiva (UTI). Também foram registrados 18 óbitos durante internações, representando 4% dos casos analisados.

Os dados evidenciam que a HPN permanece associada a complicações graves mesmo em pacientes acompanhados pelo sistema de saúde. Além do impacto clínico, o estudo revelou importante impacto econômico e social, tanto para o SUS quanto para os pacientes e suas famílias.

A análise sociodemográfica demonstrou que a maioria dos pacientes é composta por mulheres (53%), pessoas autodeclaradas brancas (55,4%) e adultos entre 30 e 39 anos, justamente uma fase da vida marcada por intensa atividade profissional e produtiva. Esse dado é particularmente relevante porque evidencia que a doença afeta indivíduos em idade economicamente ativa, ampliando as repercussões sobre trabalho, renda e participação social.

Outro achado importante foi a necessidade de deslocamento para realização do tratamento. Aproximadamente metade dos pacientes precisou buscar atendimento em município diferente daquele onde reside. Em um país com dimensões continentais e distribuição desigual dos centros especializados, o acesso ao tratamento frequentemente exige longas viagens, gastos adicionais e reorganização completa da rotina familiar e profissional.

Os relatos dos pacientes reforçam esse cenário. Muitos descobriram a doença apenas após complicações graves, como acidente vascular cerebral (AVC), falência hepática ou episódios trombóticos. O diagnóstico tardio aumenta a carga física e emocional da doença e evidencia as dificuldades relacionadas ao reconhecimento da HPN nos serviços de saúde.

Os participantes do estudo também relataram o impacto das infusões frequentes na rotina diária. Pacientes descrevem a necessidade de perder dias inteiros entre deslocamento, espera e realização do tratamento, além das dificuldades para conciliar as demandas terapêuticas com o trabalho e a vida familiar.

Uma paciente relatou que o tratamento impactava diretamente sua permanência no mercado de trabalho, uma vez que precisava se ausentar regularmente para receber as infusões. Outro participante descreveu situações em que pacientes precisam sair de casa

durante a noite para conseguir chegar ao centro de tratamento na manhã seguinte, permanecendo horas aguardando atendimento e retornando apenas no dia seguinte.

A experiência dos pacientes acompanhados pela Abrale confirma esses desafios. Atualmente, a Comunidade Abrale de HPN reúne 32 pacientes de diferentes regiões do país, sendo 17 mulheres e 15 homens, com idade entre 30 e 70 anos. Entre as principais demandas relatadas estão as dificuldades de acesso às novas terapias, a insegurança relacionada à continuidade do tratamento e os impactos físicos, emocionais e profissionais decorrentes da doença.

Um relato recebido na comunidade de pacientes da Abrale exemplifica as barreiras de acesso que persistem mesmo após a aprovação regulatória das tecnologias. A paciente informou que recebeu inicialmente a informação de aprovação do ravulizumabe por sua operadora de saúde, mas posteriormente teve o pedido cancelado. Enquanto aguardava o início do tratamento, voltou a apresentar dores intensas na região abdominal e sinais de progressão da doença, reforçando a angústia vivenciada por pacientes que convivem com a expectativa de acesso a terapias potencialmente capazes de melhorar sua qualidade de vida.

Outra paciente relatou não ter acesso nem ao eculizumabe nem ao ravulizumabe em seu estado, demonstrando que ainda existem importantes desigualdades regionais no acesso ao tratamento da HPN.

A reunião da Conitec trouxe contribuições importantes sobre a experiência dos pacientes com as tecnologias em avaliação.

Ana Luísa, paciente diagnosticada há dez anos, relatou que utilizava eculizumabe com infusões a cada duas semanas. Segundo seu depoimento, essa frequência impunha uma carga significativa à sua rotina, exigindo reorganização constante de compromissos profissionais e pessoais. Após a transição para o ravulizumabe, passou a realizar infusões a cada oito semanas, o que resultou em redução expressiva das ausências no trabalho, maior previsibilidade da rotina e melhora da qualidade de vida. A paciente relatou ainda que conseguiu planejar viagens, passar mais tempo com a família e recuperar autonomia sem prejuízo do controle da doença.

Gilmar, paciente com HPN desde 2021, descreveu que, antes de iniciar crovalimabe, necessitava de transfusões frequentes e apresentava internações recorrentes. Após iniciar o tratamento, relatou interrupção das transfusões, ausência de novas hospitalizações e retorno às atividades profissionais e esportivas. Segundo seu depoimento, a possibilidade de aplicação fora do ambiente hospitalar permitiu uma vida mais próxima da normalidade.

Regina, diagnosticada há onze anos, relatou que fazia parte do grupo de pacientes que não alcançaram resposta completa aos inibidores de C5. Mesmo em tratamento, permanecia convivendo com fadiga intensa, dificuldades cognitivas e limitações funcionais importantes. Após iniciar iptacopana, observou melhora da hemoglobina, recuperação da capacidade cognitiva e retorno às atividades diárias, descrevendo a experiência como uma retomada da própria identidade e autonomia.

Thaís, por sua vez, relatou que o eculizumabe não foi suficiente para controlar sua doença. Continuava apresentando necessidade de transfusões e internações frequentes até iniciar pegcetacoplane. Segundo seu depoimento, a nova terapia proporcionou melhora significativa dos sintomas, retorno às atividades profissionais e recuperação da qualidade de vida.

Esses relatos demonstram que a HPN não é uma doença homogênea e que diferentes pacientes apresentam necessidades distintas ao longo da jornada de cuidado. Enquanto alguns se beneficiam da redução da frequência de infusões, outros necessitam de estratégias para controle da anemia residual ou de alternativas que promovam maior autonomia e menor dependência dos serviços de saúde.

Por essa razão, a ampliação do arsenal terapêutico disponível no SUS deve ser compreendida como uma estratégia para promover cuidado individualizado, reduzir desigualdades e garantir que cada paciente tenha acesso à alternativa mais adequada para sua condição clínica e realidade social.

3. Da superioridade Clínica Reconhecida no Relatório Técnico

A avaliação das tecnologias submetidas à Consulta Pública nº 49 representa uma oportunidade para ampliar o acesso a tratamentos capazes de responder às diferentes

necessidades clínicas das pessoas que vivem com Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN). Trata-se de uma doença rara e de elevada complexidade, cuja evolução clínica e resposta terapêutica variam significativamente entre os pacientes, tornando inadequada a adoção de uma abordagem única para todos os casos.

Embora os inibidores do complemento tenham transformado o prognóstico da HPN e aumentado significativamente a sobrevida dos pacientes, estima-se que cerca de 40% permaneçam com anemia residual, fadiga persistente, necessidade de transfusões e sinais contínuos de hemólise, mesmo em tratamento. Assim, a incorporação de novas tecnologias não deve ser compreendida como uma simples substituição de medicamentos já disponíveis, mas como uma estratégia para ampliar as opções terapêuticas e atender diferentes perfis clínicos ao longo da jornada da doença.

Nesse contexto, é fundamental que a Conitec diferencie adequadamente as tecnologias avaliadas, considerando suas indicações específicas e seus distintos mecanismos de ação. Embora ravulizumabe, crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana sejam destinados ao tratamento da HPN, cada um ocupa uma posição diferente na linha de cuidado. Enquanto algumas terapias são indicadas para pacientes em primeira linha, outras representam alternativas para aqueles que permanecem com anemia residual, hemólise persistente ou resposta inadequada ao tratamento inicial. Dessa forma, essas tecnologias não devem ser compreendidas como concorrentes entre si, mas como opções complementares que possibilitam a individualização do tratamento, ampliando o arsenal terapêutico disponível para médicos e pacientes.

Os próprios Relatórios Técnicos elaborados pela Conitec reconhecem benefícios clínicos relevantes para as tecnologias avaliadas, ainda que apontem incertezas relacionadas às análises econômicas e metodológicas. Sob a perspectiva dos pacientes, entretanto, esses benefícios representam ganhos concretos de autonomia, funcionalidade, capacidade laboral e qualidade de vida, aspectos que precisam integrar de forma equilibrada o processo de tomada de decisão.

3.1 Ravulizumabe

O ravulizumabe constitui um importante avanço em relação aos inibidores de C5 já utilizados no tratamento da HPN. Seu principal diferencial consiste na possibilidade de administração em intervalos de oito semanas, mantendo eficácia clínica comparável à do eculizumabe.

A redução da frequência das infusões representa um benefício que vai muito além da conveniência. Graças aos avanços terapêuticos obtidos nas últimas décadas, pessoas com HPN passaram a apresentar maior sobrevida e melhores perspectivas de longo prazo. Entretanto, essa conquista também trouxe novos desafios relacionados ao tratamento crônico. Pacientes submetidos a infusões intravenosas quinzenais convivem, ao longo dos anos, com o desgaste progressivo da rede venosa, maior dificuldade para obtenção de acesso venoso, necessidade de múltiplas punções e desconforto físico recorrente. Além disso, a necessidade de comparecer aos centros de tratamento a cada duas semanas compromete diretamente a manutenção de uma rotina regular de trabalho, estudos e atividades familiares, em razão dos deslocamentos frequentes e do longo tempo de permanência nas unidades de saúde.

Nesse contexto, o ravulizumabe representa um avanço clínico significativo ao reduzir o número médio de infusões de aproximadamente 26 aplicações anuais para apenas seis infusões por ano, mantendo eficácia semelhante ao tratamento de referência. Essa mudança reduz expressivamente o impacto do tratamento sobre a vida cotidiana, favorece a permanência no mercado de trabalho, diminui custos indiretos relacionados aos deslocamentos, preserva o acesso venoso e amplia a autonomia dos pacientes durante o acompanhamento de uma doença crônica.

Esses benefícios foram claramente evidenciados durante as reuniões da Conitec. Ana Luísa, paciente com HPN há dez anos, relatou que, durante o uso do eculizumabe, precisava reorganizar completamente sua rotina a cada duas semanas para realizar as infusões, acumulando aproximadamente 26 ausências anuais no trabalho. Após iniciar o ravulizumabe, esse número foi reduzido para cerca de sete ausências por ano, permitindo maior estabilidade profissional, planejamento familiar e melhora significativa de sua qualidade de vida.

A paciente destacou ainda que passou a conseguir realizar viagens, programar férias e participar de atividades sociais sem a constante preocupação com o calendário das infusões, mantendo adequado controle da doença e sem prejuízo clínico.

Sob a perspectiva da Abrale, esses benefícios dialogam diretamente com os resultados do estudo Panorama da HPN no Brasil, que demonstrou que aproximadamente metade dos pacientes precisa realizar tratamento em município diferente daquele onde reside. Os relatos do grupo focal evidenciaram ainda que muitos pacientes permanecem o dia inteiro nos centros de tratamento, enfrentam longas viagens e frequentemente precisam se ausentar do trabalho para receber o medicamento. Dessa forma, a redução da frequência das infusões representa não apenas maior comodidade, mas também menor sobrecarga física, emocional, social e financeira, especialmente para pacientes residentes em regiões distantes dos centros especializados.

Cabe destacar que o ravulizumabe já foi incorporado ao Sistema Único de Saúde por meio da [Portaria SECTICS/MS nº 10, de 5 de março de 2024](#). Considerando que sua eficácia e relevância clínica já foram reconhecidas pelo próprio Ministério da Saúde, sua efetiva disponibilização deve ser tratada como prioridade. A manutenção dessa tecnologia no PCDT é essencial para garantir segurança jurídica, continuidade assistencial e respeito ao direito já reconhecido aos pacientes. A demora na publicação do protocolo e na implementação da tecnologia impede que os benefícios decorrentes da incorporação sejam efetivamente alcançados, prolongando uma realidade marcada por infusões frequentes, limitações funcionais e importante impacto sobre a qualidade de vida.

A realidade vivenciada pela Comunidade Abrale evidencia as consequências dessa demora. Uma paciente relatou ter recebido inicialmente a aprovação do ravulizumabe por sua operadora de saúde, mas posteriormente teve o pedido cancelado, permanecendo sem acesso ao tratamento enquanto apresentava piora clínica e retorno das dores relacionadas à doença. Da mesma forma, a paciente informou não possuir acesso nem ao eculizumabe nem ao ravulizumabe em seu estado, ilustrando as desigualdades regionais ainda existentes no acesso ao tratamento.

Nesse contexto, a Abrale entende que a efetiva implementação do ravulizumabe no SUS deve ocorrer de forma prioritária, garantindo que uma tecnologia já incorporada se traduza em acesso real aos pacientes que dela necessitam.

3.2 Crovalimabe

O crovalimabe representa mais uma alternativa terapêutica destinada ao bloqueio do complemento, apresentando características farmacológicas capazes de ampliar as opções disponíveis para pacientes com HPN.

Além dos resultados clínicos demonstrados nos estudos apresentados à Conitec, essa tecnologia traz potencial para ampliar a autonomia dos pacientes em razão da possibilidade de administração subcutânea, reduzindo a dependência dos centros hospitalares e contribuindo para maior flexibilidade na rotina terapêutica.

Durante a reunião da Conitec, Gilmar, paciente diagnosticado com HPN em 2021, descreveu que, antes do início do crovalimabe, apresentava necessidade frequente de transfusões de sangue, internações recorrentes e atrasos na disponibilização do tratamento obtido judicialmente.

Após iniciar o crovalimabe em estudo clínico, relatou interrupção completa das transfusões, ausência de novas hospitalizações e retorno às atividades profissionais e esportivas. Segundo seu depoimento, atualmente realiza aplicações simples e mantém rotina semelhante à de uma pessoa sem HPN.

Esse relato demonstra que os benefícios da tecnologia vão além dos desfechos laboratoriais, refletindo diretamente sobre independência funcional, manutenção da capacidade laboral e participação social.

Para uma população predominantemente composta por adultos em idade produtiva, conforme identificado no Panorama da HPN, tecnologias que reduzem a necessidade de comparecimento frequente aos serviços de saúde possuem impacto relevante sobre empregabilidade, renda e inclusão social.

A Abrale entende que a incorporação do crovalimabe amplia o arsenal terapêutico disponível no SUS e contribui para a individualização do tratamento, respeitando diferentes perfis clínicos e necessidades assistenciais.

3.3 Pegcetacoplane

A pegcetacoplane representa uma inovação importante ao atuar em etapa distinta da cascata do complemento, oferecendo uma alternativa para pacientes que permanecem com anemia residual mesmo após tratamento com inibidores de C5.

Esse aspecto é particularmente relevante porque parcela significativa das pessoas vivendo com HPN continua apresentando hemólise persistente, necessidade de transfusões e fadiga incapacitante, apesar do tratamento considerado padrão.

Durante a reunião da Conitec, Thaís relatou que o eculizumabe não foi capaz de controlar adequadamente sua doença. Mesmo em tratamento, continuava necessitando de transfusões frequentes e apresentava sucessivas internações.

Após iniciar a pegcetacoplane, descreveu melhora expressiva dos sintomas, retomada das atividades profissionais e recuperação da qualidade de vida, afirmando sentir-se "viva outra vez". Seu relato reforça que pacientes com resposta inadequada às terapias atualmente disponíveis necessitam de alternativas capazes de controlar a anemia e reduzir a dependência transfusional.

Os próprios relatos coletados pela Abrale durante o desenvolvimento do Panorama da HPN demonstram que muitos pacientes convivem diariamente com fadiga extrema, dificuldade para trabalhar e limitação importante das atividades cotidianas.

Nesse contexto, a possibilidade de controlar a hemólise residual e melhorar os níveis de hemoglobina representa benefício clínico de elevada relevância para uma parcela específica de pacientes que permanecem sem resposta satisfatória ao tratamento convencional.

Assim, a Abrale entende que a pegcetacoplane atende uma necessidade clínica ainda não plenamente contemplada no SUS.

3.4 Iptacopane

A iptacopana é uma importante e nova abordagem terapêutica para pacientes com HPN, especialmente aqueles que permanecem sintomáticos apesar do tratamento com inibidores de C5. Seu mecanismo de ação oferece potencial para melhorar o controle da anemia, reduzir a hemólise residual e ampliar a recuperação funcional dos pacientes.

Durante a reunião da Conitec, Regina relatou sua experiência após sete anos utilizando tratamento infusional sem resposta completa. Mesmo em tratamento, permanecia com hemoglobina baixa, fadiga intensa, dificuldade de concentração, alterações cognitivas e limitação importante das atividades diárias.

Segundo seu depoimento, após iniciar iptacopana houve normalização dos níveis de hemoglobina, melhora significativa da fadiga, recuperação da clareza mental e retorno à produtividade profissional. A paciente também destacou um aspecto frequentemente negligenciado nas avaliações econômicas: a liberdade proporcionada pelo tratamento oral.

A possibilidade de deixar de depender das infusões hospitalares significou recuperação de autonomia, maior flexibilidade para trabalhar, viajar e reorganizar sua rotina.

Além disso, Regina chamou atenção para a realidade de pacientes que percorrem centenas de quilômetros para receber infusões e frequentemente enfrentam atrasos no fornecimento do medicamento ou perda do transporte de retorno.

Esses relatos corroboram os achados do Panorama da HPN, segundo os quais muitos pacientes permanecem horas em deslocamento e atendimento para realizar um único ciclo terapêutico. Sob a perspectiva dos pacientes, a disponibilidade de uma terapia oral representa não apenas inovação tecnológica, mas uma mudança estrutural na forma como o tratamento interfere na vida cotidiana.

4. Considerações sobre a avaliação conjunta das tecnologias

A Abrale reconhece a importância da análise comparativa realizada pela Conitec; entretanto, entende que a avaliação conjunta dessas tecnologias não deve resultar em uma lógica de competição entre medicamentos.

Cada uma das terapias avaliadas apresenta características próprias, mecanismos de ação distintos e potencial para atender necessidades específicas ao longo da evolução da doença.

Enquanto o ravulizumabe reduz significativamente a frequência das infusões, o crovalimabe amplia possibilidades de administração e flexibilidade terapêutica. A pegcetacoplane oferece alternativa para pacientes com anemia residual e hemólise persistente, enquanto a iptacopana representa uma estratégia inovadora para pacientes que permanecem sintomáticos mesmo após tratamento prévio.

Sob a perspectiva da medicina personalizada e do cuidado centrado no paciente, essas tecnologias devem ser compreendidas como alternativas complementares e não mutuamente excludentes.

A incorporação progressiva dessas opções fortalece a capacidade do SUS de oferecer tratamento individualizado, reduz desigualdades de acesso e aproxima o cuidado prestado no Brasil das melhores práticas internacionais para o manejo da Hemoglobinúria Paroxística Noturna.

5. Alinhamento com padrões internacionais de tratamento

A evolução do tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) tem sido marcada por avanços significativos nos últimos anos, com a ampliação das opções terapêuticas capazes de responder às diferentes manifestações da doença e às necessidades individuais dos pacientes. Atualmente, diretrizes internacionais reconhecem que o manejo da HPN deve ser centrado no paciente e baseado na individualização do tratamento, considerando fatores como resposta clínica, persistência de anemia, hemólise residual, dependência transfusional, perfil de segurança, via de administração e impacto do tratamento sobre a qualidade de vida.

Nesse cenário, países com sistemas públicos e privados de saúde já disponibilizam diferentes alternativas terapêuticas para HPN, reconhecendo que não existe uma única estratégia capaz de atender adequadamente todos os pacientes. A coexistência de diferentes

mecanismos de ação representa um importante avanço na medicina de precisão, permitindo que a escolha terapêutica seja direcionada às características clínicas de cada indivíduo.

O ravulizumabe consolidou-se internacionalmente como uma evolução dos inibidores de C5, oferecendo eficácia comparável ao eculizumabe, porém com redução expressiva da frequência das infusões. O crovalimabe amplia ainda mais as possibilidades de cuidado ao incorporar uma estratégia terapêutica com maior flexibilidade de administração, reduzindo a dependência dos centros de infusão. Já a pegcetacoplane e a iptacopane representam novas abordagens para pacientes que permanecem com hemólise residual e anemia persistente, mesmo após tratamento com inibidores de C5, condição que acomete parcela significativa das pessoas vivendo com HPN.

A própria experiência dos pacientes brasileiros demonstra que as necessidades terapêuticas são heterogêneas. Enquanto alguns pacientes priorizam tratamentos que reduzem a frequência de deslocamentos aos centros especializados, outros necessitam de alternativas capazes de controlar a anemia residual ou de modalidades de administração que proporcionem maior autonomia e menor impacto sobre a rotina diária.

Essa realidade reforça que a ampliação do arsenal terapêutico disponível no Sistema Único de Saúde representa uma estratégia de qualificação da assistência, aproximando o Brasil das práticas internacionais de cuidado às doenças raras e fortalecendo os princípios da integralidade e da equidade previstos no SUS.

Sob a perspectiva da Abrale, a incorporação dessas tecnologias não deve ser compreendida apenas como acesso a novos medicamentos, mas como uma oportunidade de oferecer tratamento mais personalizado, eficiente e compatível com a realidade clínica e social das pessoas que vivem com HPN.

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

A Portaria GM/MS nº 8.477, de 20 de outubro de 2025, instituiu critérios para priorização dos processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde no âmbito do Ministério da Saúde, estabelecendo parâmetros relacionados à relevância clínica, ao impacto para o Sistema

Único de Saúde, à gravidade das doenças, à existência de necessidades não atendidas e ao potencial de benefício para a população.

Sob essa perspectiva, a Hemoglobinúria Paroxística Noturna reúne diversos elementos que justificam elevada prioridade no processo de incorporação tecnológica.

Em primeiro lugar, trata-se de uma doença rara, grave, crônica e potencialmente fatal, associada a elevada morbidade, risco de trombose, falência de órgãos e mortalidade. Além disso, a HPN compromete significativamente a qualidade de vida, a autonomia e a capacidade produtiva dos pacientes, impondo importante carga física, emocional, social e econômica.

Os dados produzidos pela Abrale evidenciam essa realidade. Entre 2018 e 2023 foram realizados mais de 14 mil procedimentos ambulatoriais para aproximadamente 464 pacientes estimados, além de 444 internações hospitalares e 18 óbitos registrados durante o período analisado. Esses números demonstram que, mesmo sendo uma doença rara, a HPN exige acompanhamento contínuo, utilização intensiva de recursos assistenciais e cuidados especializados.

Outro aspecto previsto na Portaria refere-se à existência de necessidades clínicas ainda não contempladas pelas tecnologias atualmente disponíveis. Embora a incorporação do eculizumabe tenha representado um marco importante para o tratamento da HPN no SUS, parcela significativa dos pacientes permanece apresentando anemia residual, hemólise persistente, fadiga incapacitante e necessidade de transfusões, mesmo durante o tratamento.

Além disso, persistem desafios relacionados ao acesso geográfico, à frequência das infusões e às limitações impostas pela dependência dos centros especializados, fatores amplamente documentados tanto nos estudos da Abrale quanto nos relatos apresentados durante a reunião da Conitec.

Outro elemento relevante é o fato de o ravulizumabe já ter sido incorporado oficialmente ao SUS por meio da Portaria SECTICS/MS nº 10, de 5 de março de 2024. Apesar da decisão favorável do Ministério da Saúde, a ausência de publicação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da HPN impede que os pacientes tenham acesso efetivo à

tecnologia, criando um cenário em que um direito já reconhecido pelo Estado brasileiro permanece indisponível na prática assistencial.

Sob a ótica da priorização estabelecida pela Portaria GM/MS nº 8.477/2025, a publicação do PCDT e a implementação do ravulizumabe devem ser tratadas como medidas prioritárias, garantindo efetividade à decisão administrativa já proferida e reduzindo o tempo entre incorporação e acesso.

Da mesma forma, as demais tecnologias atualmente em avaliação respondem a necessidades clínicas distintas e complementares, ampliando as possibilidades terapêuticas para pacientes que permanecem sem resposta satisfatória aos tratamentos já disponíveis.

Portanto, a Abrale entende que os critérios estabelecidos pela Portaria reforçam a necessidade de priorizar a ampliação do acesso às tecnologias para HPN, considerando não apenas sua relevância clínica, mas também seu potencial para reduzir desigualdades, promover cuidado individualizado e melhorar a qualidade de vida dos pacientes.

7. Considerações finais

A Abrale entende que o processo de avaliação conduzido pela Conitec deve reconhecer que a HPN exige uma abordagem terapêutica individualizada. As tecnologias atualmente avaliadas possuem mecanismos de ação distintos, indicações específicas e potencial para atender diferentes perfis de pacientes ao longo da evolução da doença. Por esse motivo, não devem ser analisadas sob uma lógica de competição ou substituição entre si, mas como alternativas complementares dentro de uma linha de cuidado estruturada. Diferenciar adequadamente as terapias indicadas para primeira linha daquelas destinadas aos pacientes que permanecem com anemia residual, hemólise persistente ou resposta inadequada ao tratamento é fundamental para assegurar que cada pessoa receba a opção terapêutica mais apropriada à sua condição clínica, promovendo maior efetividade, cuidado integral e melhor qualidade de vida.

A HPN permanece sendo uma doença de elevada complexidade clínica, cujo impacto ultrapassa os aspectos laboratoriais e compromete profundamente a vida dos pacientes. Os relatos apresentados nesta contribuição, aliados aos resultados do estudo *Panorama da HPN*

no Brasil, evidenciam que viver com a doença significa conviver diariamente com fadiga intensa, limitações físicas, perda de produtividade, insegurança quanto ao futuro, dificuldades para manter vínculos profissionais e longos deslocamentos para realização do tratamento. Esses desafios reforçam que a avaliação das tecnologias deve considerar não apenas os desfechos clínicos, mas também os impactos sociais, econômicos e funcionais vivenciados pelos pacientes.

Nos últimos anos, importantes avanços científicos ampliaram significativamente as possibilidades terapêuticas para pessoas com HPN, contribuindo para o aumento da sobrevida e para um melhor controle da doença. Entretanto, esses avanços somente produzirão benefícios concretos se forem acompanhados da incorporação efetiva e da disponibilização tempestiva dessas tecnologias no Sistema Único de Saúde. Os dados produzidos pela Abrale demonstram que as necessidades assistenciais não são homogêneas: enquanto alguns pacientes se beneficiam da redução da frequência das infusões, outros permanecem com anemia residual e hemólise persistente, necessitando de terapias com mecanismos de ação diferentes. Há ainda aqueles que enfrentam importantes barreiras geográficas, econômicas e sociais para manter a continuidade do tratamento.

Nesse contexto, a avaliação conjunta das tecnologias não deve restringir o acesso às diferentes alternativas terapêuticas disponíveis, mas reconhecer que mecanismos de ação distintos respondem a necessidades clínicas distintas. A ampliação do arsenal terapêutico fortalece a individualização do cuidado, amplia as possibilidades de resposta clínica e aproxima a tomada de decisão dos princípios da medicina centrada no paciente.

A Abrale manifesta especial preocupação com a situação do ravulizumabe, cuja incorporação ao SUS já foi oficialmente aprovada, mas que permanece indisponível aos pacientes devido à ausência de publicação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Essa situação impede que um direito já reconhecido seja efetivamente exercido, prolongando a necessidade de infusões frequentes, ampliando desigualdades de acesso e comprometendo a qualidade de vida de pacientes que poderiam se beneficiar de uma tecnologia já incorporada ao sistema público de saúde.

Da mesma forma, a Abrale considera que as evidências clínicas disponíveis para crovalimabe, pegcetacoplane e iptacopana demonstram o potencial dessas tecnologias para atender necessidades ainda não contempladas no SUS, especialmente entre pacientes que não alcançam resposta adequada com os tratamentos atualmente disponíveis. A incorporação dessas opções representa um passo importante para consolidar uma linha de cuidado mais completa, capaz de contemplar as diferentes fases da doença e as particularidades de cada paciente.

Reforçamos que a participação social constitui um elemento essencial para o fortalecimento das políticas públicas de saúde. As contribuições de pacientes, familiares, profissionais de saúde e organizações da sociedade civil qualificam o processo decisório ao incorporar a experiência de quem convive diariamente com a HPN, permitindo que a avaliação das tecnologias considere, além dos aspectos econômicos e metodológicos, os impactos concretos sobre autonomia, produtividade, qualidade de vida e dignidade.

Diante do exposto, a Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia (Abrale) manifesta-se favoravelmente à ampliação do acesso às tecnologias avaliadas nesta Consulta Pública, defendendo que cada uma delas seja analisada conforme suas indicações clínicas específicas, seu mecanismo de ação e seu potencial para beneficiar diferentes perfis de pacientes ao longo da jornada terapêutica.

Adicionalmente, solicita que seja priorizada a publicação do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna e a implementação imediata do ravulizumabe no Sistema Único de Saúde, assegurando que uma tecnologia já incorporada seja efetivamente disponibilizada aos pacientes que dela necessitam.

Garantir o acesso oportuno a tratamentos modernos, eficazes e individualizados significa reafirmar os princípios constitucionais da universalidade, da integralidade e da equidade do SUS, assegurando que as pessoas que vivem com HPN tenham acesso ao tratamento mais adequado para sua condição clínica e a oportunidade de viver com mais saúde, autonomia, dignidade e qualidade de vida.

Por fim, endossamos a posição da sociedade de especialidade, a ABHH, que, diante das evidências de efetividade de mundo real e da economicidade demonstrada, recomenda a reversão do parecer preliminar.

Atenciosamente,



Catherine Moura
CEO - Associação Brasileira Linfoma e Leucemia – Abrale



Luana Ferreira Lima
Diretora de Impacto Social - Abrale

São Paulo, 06 de julho de 2026

Ofício nº 120/2026

Ministério da Saúde

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos – SCTIE

Comissão Nacional de incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec

Assunto: Contribuição ABRALE, Consulta Pública nº 47/2026 – Crovalimabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais e com peso corporal de pelo menos 40 kg com hemoglobinúria paroxística noturna, virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5.

Prezados (as),

A ABRALE – Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia, 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 e hematológicas, vem apresentar suas considerações acerca da incorporação do medicamento **crovalimabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais e com peso corporal de pelo menos 40 kg com hemoglobinúria paroxística noturna, virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5**, recomendando que a CONITEC contemple as diferentes necessidades clínicas das pessoas com HPN ao longo de toda a jornada da doença, assegurando alternativas terapêuticas que permitam um cuidado individualizado, pelo que passa a expor:

pelo que passa a expor:

1) Do objeto da consulta pública

Trata-se de consulta para a incorporação do crovalimabe para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com 13 anos ou mais e com peso corporal de pelo menos 40 kg com hemoglobinúria paroxística noturna, virgens de tratamento ou que receberam tratamento prévio com inibidores de C5.

A presente contribuição vem manifestar parecer favorável à incorporação do Crovalimabe. A seguir, detalhamos os fundamentos baseados no próprio relatório técnico preliminar da CONITEC e em evidências complementares que justificam a necessidade urgente desta tecnologia.

Ao longo de sua atuação, a Abrale acompanha de forma permanente a realidade das pessoas que vivem com HPN por meio do apoio ao paciente, da produção de estudos, da participação em processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde e da Comunidade Abrale de HPN, atualmente composta por 32 pacientes de diferentes regiões do país.

A presente contribuição busca trazer a perspectiva dos pacientes sobre os impactos da doença, as barreiras de acesso enfrentadas no Sistema Único de Saúde (SUS) e a importância da ampliação das opções terapêuticas disponíveis. No entendimento da Abrale, o crovalimabe representa uma inovação relevante por aliar eficácia clínica a uma forma de administração que pode reduzir significativamente a carga assistencial, favorecer a autonomia do paciente e diminuir desigualdades de acesso ao tratamento.

2. Da jornada do paciente de hemoglobinúria paroxística noturna

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença hematológica rara, crônica, progressiva e potencialmente fatal. Caracteriza-se por hemólise intravascular crônica, anemia, trombose, insuficiência de órgãos e importante comprometimento da qualidade de vida. Embora rara, a doença impõe elevada carga assistencial ao sistema de saúde e aos pacientes, que convivem com sintomas incapacitantes e necessidade de acompanhamento permanente.

Em 2024, a Abrale publicou o estudo *"Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico"*¹, desenvolvido a partir da análise de dados do Sistema Único de Saúde e da realização de grupo focal com pacientes de diferentes regiões do país. Os resultados demonstram que a HPN permanece associada a elevado consumo de recursos assistenciais e importantes impactos sociais.

Entre 2018 e 2023 foram registrados 14.659 procedimentos ambulatoriais para aproximadamente 464 pacientes estimados, correspondendo a uma média de 32 procedimentos por paciente. No mesmo período ocorreram 444 internações para cerca de 256 pacientes, com média de duas hospitalizações por pessoa. O tempo médio de permanência hospitalar foi de aproximadamente uma semana, sendo que 5% dos pacientes necessitaram de internação em Unidade de Terapia Intensiva (UTI) e 18 pacientes evoluíram para óbito durante a internação, demonstrando que a doença continua associada a importante morbimortalidade.

O estudo também evidenciou que aproximadamente metade dos pacientes precisou se deslocar para outro município para realizar seu tratamento. São Paulo concentrou o maior número de procedimentos e internações, seguido por Paraná e Rio Grande do Sul, revelando desigualdades na distribuição da assistência especializada.

O perfil sociodemográfico demonstra que a maioria dos pacientes é composta por mulheres (53%) e por adultos entre 30 e 39 anos, justamente a fase de maior produtividade profissional. Assim, além dos impactos clínicos, a HPN compromete diretamente a capacidade laboral, a renda familiar, a participação social e a saúde mental.

O grupo focal realizado pela Abrale mostrou que o diagnóstico frequentemente ocorre apenas após complicações graves, como acidente vascular cerebral, trombozes ou falência hepática. Os pacientes também relataram longos períodos de deslocamento para os centros especializados, horas de espera para infusão, perda recorrente de dias de trabalho e desgaste emocional decorrente da necessidade contínua de exames e burocracias para manutenção do tratamento.

¹ ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE LINFOMA E LEUCEMIA (ABRALE). Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico. São Paulo: Abrale, 17 out. 2024. Disponível em: <https://abrale.org.br/noticias/panorama-da-hpn-no-brasil-relato-dos-pacientes-e-perfil-sociodemografico/>

Esses desafios tornam-se ainda mais relevantes quando se considera a extensão territorial do Brasil e a distribuição desigual dos serviços especializados. Em muitos estados, existe apenas um centro habilitado para atendimento da HPN, obrigando pacientes a viagens recorrentes que agravam o impacto econômico e emocional da doença.

Nesse contexto, tecnologias que permitam formas de administração mais simples e maior autonomia ao paciente representam avanços que vão além do benefício clínico, contribuindo diretamente para a redução da carga assistencial e das desigualdades de acesso. Os relatos apresentados durante a reunião da Conitec ilustram essa realidade.

Gilmar, paciente diagnosticado com HPN em 2021, relatou que, antes de iniciar o crovalimabe, convivia com internações frequentes, múltiplas transfusões e atrasos no fornecimento do medicamento obtido por via judicial. Segundo seu depoimento, o tratamento anterior não controlava adequadamente a doença e sua rotina era marcada por hospitalizações recorrentes.

Após iniciar o tratamento com crovalimabe em estudo clínico, sua realidade mudou completamente. O paciente informou que não precisou mais realizar transfusões nem ser internado, retomou suas atividades profissionais, voltou a praticar exercícios físicos e recuperou sua autonomia. Destacou ainda que atualmente retira a medicação apenas a cada três meses e realiza a aplicação em casa, com auxílio de sua filha, enfermeira, reduzindo significativamente o impacto do tratamento em sua rotina.

Esse relato demonstra que os benefícios do crovalimabe ultrapassam os desfechos laboratoriais, traduzindo-se em recuperação da capacidade funcional, manutenção da atividade laboral e melhora expressiva da qualidade de vida.

3. Da superioridade Clínica Reconhecida no Relatório Técnico

O crovalimabe representa uma importante evolução no tratamento da HPN ao combinar eficácia clínica com um modelo de administração capaz de reduzir substancialmente a carga assistencial imposta aos pacientes.

Os estudos clínicos apresentados demonstram que o medicamento apresenta controle adequado da hemólise, perfil de segurança consistente e eficácia comparável às terapias já disponíveis para o bloqueio do complemento.

Além dos resultados clínicos, destaca-se a possibilidade de administração subcutânea, característica que reduz a dependência de centros de infusão e amplia a autonomia do paciente. Essa inovação possui relevância especial em um país de dimensões continentais como o Brasil, onde parcela significativa dos pacientes reside distante dos serviços especializados.

A administração subcutânea pode favorecer maior autonomia, independência e flexibilidade na rotina, permitindo que o tratamento seja integrado de forma menos disruptiva à vida cotidiana. Esses benefícios repercutem diretamente na qualidade de vida e na adesão terapêutica, especialmente considerando que se trata de uma doença crônica, cujo tratamento pode ser necessário por muitos anos. Sob a perspectiva do SUS, tecnologias que reduzem a necessidade de utilização da infraestrutura de infusão também podem contribuir para otimizar a capacidade dos serviços especializados, liberando recursos assistenciais para outros pacientes e promovendo maior eficiência na organização do cuidado, sem comprometer a segurança ou a efetividade do tratamento.

Destaca-se ainda a importância de reconhecer que doenças raras frequentemente apresentam limitações relacionadas ao tamanho das populações estudadas e que, no contexto da pesquisa clínica e evidências apresentadas, não reduz a relevância dos benefícios clínicos observados.

4. Alinhamento com Padrões Internacionais de Tratamento

O tratamento da HPN evoluiu significativamente na última década, acompanhando uma tendência internacional de desenvolvimento de terapias capazes de combinar eficácia clínica com redução da carga assistencial.

Diversos sistemas de saúde vêm incorporando tecnologias que favorecem maior autonomia do paciente, menor dependência de centros especializados e simplificação da administração dos medicamentos.

Essa abordagem está alinhada ao conceito de cuidado centrado na pessoa, permitindo que o tratamento produza benefícios não apenas laboratoriais, mas também sociais, profissionais e emocionais.

No contexto brasileiro, em que grande parte dos pacientes enfrenta longos deslocamentos para acesso aos serviços especializados, terapias com administração subcutânea podem contribuir para reduzir desigualdades regionais e ampliar a equidade no acesso ao cuidado.

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

A Portaria GM/MS nº 8.477/2025 estabelece critérios que incluem gravidade da doença, necessidades não atendidas, impacto sobre a qualidade de vida e potencial de inovação. O crovalimabe atende a esses critérios ao oferecer uma alternativa terapêutica que alia eficácia clínica à redução da carga assistencial.

Além do benefício individual aos pacientes, sua utilização possui potencial para otimizar a organização dos serviços especializados, reduzir a demanda por infusões hospitalares e ampliar a capacidade dos centros de referência para atendimento de outros pacientes.

A incorporação de tecnologias que simplificam o tratamento também contribui para diminuir custos indiretos relacionados a deslocamentos, absenteísmo laboral e perda de produtividade, aspectos frequentemente pouco considerados nas avaliações econômicas tradicionais, mas de enorme relevância para pessoas que convivem com doenças raras.

6. Considerações finais

Os dados produzidos pela Abrale demonstram que a jornada da pessoa com HPN continua sendo marcada por elevada carga assistencial, deslocamentos frequentes, impacto profissional e importantes limitações na qualidade de vida. Embora os avanços terapêuticos tenham modificado o prognóstico da doença, permanece necessário ampliar as opções disponíveis no SUS para atender às diferentes necessidades clínicas e sociais dos pacientes.

O crovalimabe representa uma inovação que vai além do controle da hemólise. Sua forma de administração oferece maior autonomia, reduz o tempo dedicado ao tratamento, diminui a dependência dos centros de infusão e favorece a permanência do paciente em suas atividades familiares, profissionais e sociais.

Os relatos apresentados à Conitec demonstram que esses benefícios são concretos e produzem impacto direto na vida das pessoas, permitindo redução de internações, eliminação da necessidade de transfusões em alguns casos, retorno ao trabalho e recuperação da autonomia.

Diante do exposto, a Abrale manifesta-se favoravelmente à incorporação do crovalimabe para o tratamento da Hemoglobinúria Paroxística Noturna no Sistema Único de Saúde, entendendo que sua disponibilização representa um avanço importante para a consolidação de um modelo de cuidado mais moderno, equitativo, eficiente e centrado nas necessidades das pessoas que vivem com HPN.

Por fim, endossamos a posição da sociedade de especialidade, a ABHH, que, diante das evidências de efetividade de mundo real e da economicidade demonstrada, recomenda a reversão do parecer preliminar.

Atenciosamente,



Catherine Moura
CEO - Associação Brasileira Linfoma e Leucemia – Abrale



Luana Ferreira Lima
Diretora de Impacto Social - Abrale

São Paulo, 06 de julho de 2026

Ofício nº 119/2026

Ministério da Saúde

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos – SCTIE

Comissão Nacional de incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde - Conitec

Assunto: Contribuição ABRALE, Consulta Pública nº 44/2026 – Pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento

Prezados (as),

A ABRALE – Associação Brasileira de Linfoma e Leucemia, 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 e hematológicas, vem apresentar suas considerações acerca da incorporação do medicamento **Pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento**, recomendando que a CONITEC contemple as diferentes necessidades clínicas das pessoas com HPN ao longo de toda a jornada da doença, assegurando alternativas terapêuticas que permitam um cuidado individualizado, pelo que passa a expor:

1) Do objeto da consulta pública

Trata-se de consulta para a incorporação do Pegcetacoplana para o tratamento de pacientes adultos com hemoglobinúria paroxística noturna previamente tratados com inibidores do complemento.

A presente contribuição vem manifestar parecer favorável à incorporação do Pegcetacoplana. A seguir, detalhamos os fundamentos baseados no próprio relatório técnico preliminar da CONITEC e em evidências complementares que justificam a necessidade urgente desta tecnologia.

Ao longo de sua trajetória, a Abrale atua de forma integrada nas áreas de apoio direto aos pacientes, educação em saúde, produção de evidências, monitoramento de políticas públicas e participação social nos processos de Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS). Atualmente, a Comunidade Abrale de HPN reúne 32 pacientes de diferentes regiões do país, sendo 17 mulheres e 15 homens, com idade entre 30 e 70 anos. Os relatos recebidos pela entidade evidenciam que, apesar dos avanços terapêuticos observados nos últimos anos, ainda existem necessidades clínicas importantes não atendidas, especialmente entre pacientes que permanecem sintomáticos mesmo após o uso dos inibidores do complemento.

Nesse contexto, a presente consulta pública representa uma oportunidade para ampliar as opções terapêuticas disponíveis no Sistema Único de Saúde (SUS), oferecendo uma alternativa para pacientes que continuam apresentando anemia residual, fadiga persistente, necessidade de transfusões e limitações funcionais apesar do tratamento atualmente disponível.

2. Da jornada do paciente de hemoglobinúria paroxística noturna

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna é uma doença hematológica rara, crônica, progressiva e potencialmente fatal. Caracteriza-se por hemólise intravascular crônica, anemia, trombose, insuficiência de órgãos e importante comprometimento da qualidade de vida. Embora rara, a doença impõe elevada carga assistencial ao sistema de saúde e aos pacientes, que convivem com sintomas incapacitantes e necessidade de acompanhamento permanente.

Em 2024, a Abrale publicou o estudo *"Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico"*¹, desenvolvido a partir da análise de dados do Sistema Único de Saúde e da realização de grupo focal com pacientes de diferentes regiões do país. Os

¹ ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE LINFOMA E LEUCEMIA (ABRALE). Panorama da HPN no Brasil: relato dos pacientes e perfil sociodemográfico. São Paulo: Abrale, 17 out. 2024. Disponível em: <https://abrale.org.br/noticias/panorama-da-hpn-no-brasil-relato-dos-pacientes-e-perfil-sociodemografico/>

resultados demonstram que a HPN permanece associada a elevado consumo de recursos assistenciais e importantes impactos sociais.

Entre 2018 e 2023 foram registrados 14.659 procedimentos ambulatoriais para aproximadamente 464 pacientes estimados, correspondendo a uma média de 32 procedimentos por paciente. No mesmo período ocorreram 444 internações para cerca de 256 pacientes, com média de duas hospitalizações por pessoa. O tempo médio de permanência hospitalar foi de aproximadamente uma semana, sendo que 5% dos pacientes necessitaram de internação em Unidade de Terapia Intensiva (UTI) e 18 pacientes evoluíram para óbito durante a internação, demonstrando que a doença continua associada a importante morbimortalidade.

O estudo também evidenciou que aproximadamente metade dos pacientes precisou se deslocar para outro município para realizar seu tratamento. São Paulo concentrou o maior número de procedimentos e internações, seguido por Paraná e Rio Grande do Sul, revelando desigualdades na distribuição da assistência especializada.

O perfil sociodemográfico demonstra que a maioria dos pacientes é composta por mulheres (53%) e por adultos entre 30 e 39 anos, justamente a fase de maior produtividade profissional. Assim, além dos impactos clínicos, a HPN compromete diretamente a capacidade laboral, a renda familiar, a participação social e a saúde mental.

O grupo focal realizado pela Abrale mostrou que o diagnóstico frequentemente ocorre apenas após complicações graves, como acidente vascular cerebral, trombozes ou falência hepática. Os pacientes também relataram longos períodos de deslocamento para os centros especializados, horas de espera para infusão, perda recorrente de dias de trabalho e desgaste emocional decorrente da necessidade contínua de exames e burocracias para manutenção do tratamento.

Entretanto, a principal necessidade identificada nesta consulta pública diz respeito aos pacientes que permanecem apresentando anemia residual apesar do tratamento com inibidores do complemento.

Estima-se que aproximadamente 40% dos pacientes tratados com inibidores de C5 continuam apresentando resposta hematológica incompleta, mantendo fadiga intensa, hemoglobina persistentemente baixa, necessidade de transfusões e limitação funcional. Trata-se de uma necessidade clínica ainda não plenamente atendida no SUS.

Essa realidade é ilustrada pelo relato apresentado por Thaís, paciente diagnosticada em 2015, que relatou que o eculizumabe não foi suficiente para controlar sua doença. Permaneceu apresentando internações frequentes, múltiplas transfusões e necessidade de tratamento adicional para sobrecarga de ferro. Somente após iniciar a pegcetacoplane conseguiu recuperar sua capacidade funcional, retornar às atividades profissionais e voltar a realizar tarefas cotidianas sem limitações importantes. Segundo seu relato, "foi como voltar a viver".

Esses depoimentos demonstram que existe um grupo expressivo de pacientes cuja necessidade clínica não é plenamente contemplada pelas terapias atualmente disponíveis no SUS, reforçando a importância de novas opções terapêuticas direcionadas especificamente ao controle da hemólise residual e da anemia persistente.

3. Da superioridade Clínica Reconhecida no Relatório Técnico

A Abrale reconhece que o processo de Avaliação de Tecnologias em Saúde deve considerar critérios de eficácia, segurança, custo-efetividade e impacto orçamentário. Entretanto, entende que esses critérios devem ser interpretados à luz da necessidade clínica existente e do impacto da doença na vida dos pacientes.

Nesse sentido, pedimos encarecidamente que a análise da CONITEC reflita os riscos a que estão expostas as pessoas com HPN quando não dispõem de uma linha de cuidado capaz de atender às diferentes necessidades clínicas que surgem ao longo da evolução da doença, garantindo opções terapêuticas compatíveis com cada fase e perfil de tratamento.

A pegcetacoplane apresenta um mecanismo de ação distinto dos inibidores de C5, atuando sobre a proteína C3 do sistema complemento e permitindo controlar tanto a hemólise intravascular quanto parte da hemólise extravascular residual, importante causa da persistência da anemia em pacientes previamente tratados.

Os estudos clínicos apresentados à Conitec demonstram melhora consistente dos níveis de hemoglobina, redução da necessidade de transfusões e melhora dos indicadores de fadiga quando comparados às terapias atualmente disponíveis para pacientes previamente tratados com bloqueadores de C5.

Embora o relatório técnico aponte limitações metodológicas e incertezas inerentes às doenças raras, os resultados clínicos observados demonstram benefício justamente para uma população que permanece com necessidade terapêutica não atendida.

Nesse contexto, é importante destacar que a ausência de resposta completa ao bloqueio de C5 não representa falha do paciente ou inadequação do cuidado, mas sim característica reconhecida da fisiopatologia da HPN. Assim, a existência de mecanismos terapêuticos complementares amplia a possibilidade de individualização do tratamento.

4. Alinhamento com Padrões Internacionais de Tratamento

A evolução do tratamento da HPN acompanha uma tendência internacional de individualização terapêutica.

As principais diretrizes internacionais reconhecem que pacientes com resposta inadequada aos inibidores de C5 podem se beneficiar de terapias com mecanismos de ação distintos, especialmente quando permanecem apresentando anemia, hemólise residual, fadiga ou dependência transfusional.

Dessa forma, os medicamentos atualmente disponíveis não devem ser compreendidos como concorrentes entre si, mas como opções complementares destinadas a diferentes perfis clínicos. Essa abordagem está alinhada aos princípios da medicina personalizada e do cuidado centrado no paciente, permitindo selecionar a terapia mais adequada de acordo com a resposta clínica individual.

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

A Portaria GM/MS nº 8.477/2025 estabelece critérios para priorização de tecnologias em saúde considerando, entre outros aspectos, a gravidade da doença, a existência de

necessidades não atendidas, o potencial de benefício clínico e o impacto para os pacientes. A HPN enquadra-se integralmente nesses critérios.

Trata-se de doença rara, crônica e potencialmente fatal, associada a elevado risco de trombose, insuficiência orgânica, necessidade de transfusões, hospitalizações frequentes e comprometimento importante da qualidade de vida.

Além disso, permanece existindo uma parcela expressiva de pacientes que não alcança resposta adequada aos tratamentos atualmente disponíveis. Nesse contexto, a pegcetacoplane apresenta potencial para reduzir complicações clínicas, diminuir a dependência transfusional, ampliar a funcionalidade e proporcionar melhor qualidade de vida para pacientes cuja necessidade terapêutica permanece parcialmente atendida.

A incorporação dessa tecnologia também pode contribuir para redução de internações relacionadas às complicações da doença, racionalização da utilização de recursos assistenciais e melhora dos desfechos clínicos no longo prazo.

6. Considerações finais

A experiência acumulada pela Abrale junto às pessoas que vivem com HPN demonstra que o sucesso do tratamento não pode ser avaliado exclusivamente por parâmetros laboratoriais. O verdadeiro objetivo da assistência deve ser possibilitar que o paciente recupere sua autonomia, permaneça inserido no mercado de trabalho, reduza hospitalizações, preserve sua saúde mental e tenha qualidade de vida.

Os dados do estudo Panorama da HPN no Brasil evidenciam a elevada carga assistencial da doença no SUS, enquanto os relatos apresentados pelos pacientes demonstram que ainda existem necessidades clínicas importantes não contempladas pelas terapias atualmente disponíveis.

Nesse contexto, a pegcetacoplane representa uma alternativa destinada a um grupo específico de pacientes que permanece convivendo com anemia residual, fadiga incapacitante e necessidade de transfusões apesar do tratamento prévio com inibidores do complemento.

Sua incorporação amplia o arsenal terapêutico disponível ao SUS, permitindo maior individualização do tratamento e atendimento das diferentes necessidades clínicas existentes ao longo da jornada da HPN.

Reforçamos que é necessário garantir uma linha de cuidado que contemple as diferentes necessidades clínicas das pessoas com HPN ao longo de toda a jornada da doença.

Diante do exposto, a Abrale manifesta-se favoravelmente à incorporação da pegcetacopiana para pacientes adultos com Hemoglobinúria Paroxística Noturna previamente tratados com inibidores do complemento, entendendo que sua disponibilização representa um avanço relevante para a promoção de um cuidado mais integral, equitativo e centrado nas necessidades reais das pessoas que vivem com HPN no Brasil.

Por fim, endossamos a posição da sociedade de especialidade, a ABHH, que, diante das evidências de efetividade de mundo real e da economicidade demonstrada, recomenda a reversão do parecer preliminar.

Atenciosamente,



Catherine Moura
CEO - Associação Brasileira Linfoma e Leucemia – Abrale



Luana Ferreira Lima
Diretora de Impacto Social - Abrale