



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 727/2023/ASPAR/MS

Brasília, 23 de maio de 2023.

A Sua Excelência o Senhor

Deputado Federal Luciano Bivar

Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

Referência: Requerimento nº 596/2023.

Assunto: Informações sobre o processo de Avaliação de Tecnologia em Saúde do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor e ivacaftor "TRIKAFTA®" no SUS, utilizado para o tratamento das causas da Fibrose Cística. □

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício 1ªSec/RI/E/nº 88/2023 (0033477790), proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente ao Requerimento de Informação nº 517/2023, de autoria da Senhora Deputada Federal Adriana Ventura (NOVO/SP), por meio do qual requisita a Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre as perdas de vacinas contra COVID-19 e sobre o controle de estoque de insumos estratégicos para a Saúde.

2. Informo que o requerimento foi encaminhado a Secretaria de Vigilância em Saúde e Ambiente, para manifestação, dentro de suas respectivas competências.

3. Nesse sentido, a área técnica respondeu aos quesitos nos seguintes termos:

a) **Item 1:** Quantos pacientes tem acesso hoje a esse medicamento (TRIKAFTA®) por meio do SUS no Estado do Ceará e em todo o Brasil?

A associação medicamentosa elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor (Trikafta®) não está incorporada e, portanto, não é fornecida administrativamente no âmbito Federal.

b) **Com relação aos Itens 2 e 3, informa-se que:**

A ATS pode ser entendida como um "processo contínuo de análise e síntese dos benefícios para a saúde, das consequências econômicas e sociais do emprego das tecnologias em saúde." . Para tanto, aplica-se uma série de

instrumentos, domínios do conhecimento e articulação de diferentes atores, tem como objetivo central o subsídio das instâncias decisórias quanto à incorporação e monitoramento de tecnologias no sistema de saúde.

O processo administrativo de avaliação para a incorporação de tecnologias em saúde é regido pela Lei nº 8.080/1990, pelo Decreto nº 7.646/2011 e pela Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, que fixam os parâmetros da análise a ser realizada. As Diretrizes Metodológicas para Análise de Impacto Orçamentário e de Avaliação Econômica que devem ser seguidas quando da elaboração dos documentos submetidos à apreciação da Comissão. Dessa forma, há, assim, grande rigor na análise, propiciando que sejam ofertadas tecnologias em saúde seguras, eficazes e custo-efetivas à população, garantindo, também, a sustentabilidade do SUS.

Em 2022, foi aprovado o documento Uso de Limiares de Custo-Efetividade nas Decisões em Saúde: Recomendações da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Em síntese, o uso de limiares na avaliação econômica em saúde permite a comparação entre diferentes tecnologias, propiciando a seleção das alternativas mais eficientes para uma alocação de recursos mais racional, buscando minimizar a utilização inadequada de recursos com tecnologias de alto custo e de valor terapêutico contestável.

A adoção de uma medida de efetividade padronizada, como os anos de vida ajustados pela qualidade (do inglês, *Quality-adjusted life years* – QALY) possibilita a comparação de múltiplas tecnologias, inclusive a mensuração do ganho em saúde que a nova tecnologia pode trazer em relação àquelas já disponibilizadas pelo Sistema. Assim, percebe-se o benefício da implementação da relação de custo-efetividade como um dos indicadores relevantes na tomada de decisão em saúde, pois permite comparar eficiência entre as tecnologias. Atrelado a isso, está a constante necessidade de aprimoramento de seus conceitos e ferramentas para utilização em ATS.

A ATS é um processo sistêmico que promove à decisão a apresentação de múltiplas variáveis que podem impactar na realidade da assistência. As tecnologias inovadoras podem apresentar inovações em diferentes dimensões. A ATS busca sintetizar essas inovações na entrega de resultados ao paciente, e por vezes, as ferramentas atualmente empregadas são suficientes para analisar e comparar as tecnologias novas. O grande desafio está em conjugar o surgimento das inovações e a sustentabilidade do SUS.

Os Relatórios de Recomendação levam em consideração as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso; a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível; e o impacto da incorporação da tecnologia no Sistema Único de Saúde - SUS, consoante art. 18, do Decreto nº 7.646/2011.

c) Item 4: Existe alguma política pública de saúde para aplicação de teste genético capaz de identificar os pacientes elegíveis para elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor (TRIKAFTA®) no Estado do Ceará e no Brasil? Caso positivo, quantos pacientes seriam elegíveis para uso deste medicamento?

Os dados disponíveis sobre a Fibrose Cística - FC no país, foram publicados pelo Grupo Brasileiro de Fibrose Cística no registro brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC). Este registro é a forma mais próxima da realidade para acessar os dados dos pacientes com a patologia.

A Fibrose Cística é uma doença genética, progressiva e letal. O diagnóstico é realizado pela triagem neonatal (teste do pezinho) ou por suspeita diagnóstica pelos sintomas apresentados pelos pacientes. Até o ano de 2020, data do último registro, existiam 6.112 indivíduos em segmento no país.

O registro brasileiro demonstra que de 2009 a 2020, 1803 pacientes foram diagnosticados pela triagem neonatal, dentre os 3384 diagnosticados no

total, dos quais 1803 por triagem neonatal. 83,16% dos pacientes possuem avaliação genotípica. O dado de aparecimento de mutações específicas a cada ano não é disponível. Para tal informação é necessária consulta oficial ao Grupo Brasileiro de Estudo Fibrose Cística, detentor da informação.

Estima-se hoje que o número de pacientes candidatos ao uso imediato da medicação seja em torno de 1566, (pacientes com mais de 6 anos e mutações compatíveis); considerando-se que 75% dos pacientes tenha pelo menos uma cópia da mutação F508 delta.

d)Item 5: Em dezembro de 2020, a plenária da CONITEC decidiu incorporar o medicamento ivacaftor (Kalydeco®), o que poderá beneficiar cerca de 50 pacientes no SUS; entretanto, a mesma plenária decidiu negar o acesso a outros dois medicamentos: lumacaftor/ivacaftor (Orkambi®) e tezacaftor/ivacaftor (Symdeko®). Conforme descrito pela Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), as evidências científicas de elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta®) são robustas e “SEM PRECEDENTES”, portanto torna-se imperioso esclarecer quais são as premissas do Ministério da Saúde para incorporação deste medicamento no SUS.”.

O Trikafta® no preço estipulado pela CMED custaria ao sistema de saúde R\$890.000,00 por paciente por ano. Para 1560 pacientes temos um montante aproximado de R\$1.393.740.000,00 por ano. A soma do impacto orçamentário incremental ao final dos 5 anos é de aproximadamente R\$ 7 bilhões de reais.

Com uma redução do preço de R\$890.000,00 por ano por paciente para R\$250.000,00 reais por ano por paciente o sistema gastaria R\$391.000.000,00 por ano para tratar todos os pacientes já diagnosticados e maiores de 6 anos. A soma do impacto ao final de 5 anos seria R\$1.960.000.000,00, que seria semelhante ao Zolgensma. Mas este cálculo precisa ser ajustado para o número de pacientes que atingirão a idade de 6 anos nos próximos anos e dos quais já é possível ter conhecimento exato pelo estudo do registro brasileiro, bastando solicitar-se a informação oficialmente. Avaliando o registro de nascidos vivos, o número de pacientes por ano e a incidência de pelo menos uma mutação F508 delta, temos um incremento anual de 225 novos pacientes. No primeiro ano teríamos cerca de 1560 pacientes, no segundo ano 1790 pacientes, no terceiro ano 2016 pacientes, no quarto ano 2240 pacientes e no quinto ano 2460 pacientes. Como o tratamento é contínuo enquanto o paciente viver, ao final de 5 anos teríamos cerca de 10.000 pacientes usando a medicação. Ou seja, tomando como parâmetro a incorporação do Zolgensma, a empresa fabricante teria que aceitar receber não mais que R\$200.000,00 reais por ano por paciente, para ficar semelhante ao medicamento mais caro já incorporado.

O impacto econômico relacionado à incorporação do Trikafta® pode ser catastrófico na atual conjuntura de preço. Ainda é fundamental que se tenha em mente a dificuldade de se interromper o fornecimento de qualquer medicação a pacientes com doença crônica, sobretudo sem outras opções terapêuticas. Some-se a isto a heterogeneidade das condições de atendimento para esta população diversa por todo o território nacional.

O valor da terapia em tela diante do desafio da doença tem sido reafirmado por diversos estudos científicos, no entanto o preço estipulado pela CMED como demonstrado acima, considerando os números atuais e previstos de candidatos, pode gerar um rombo descomunal e sem precedentes no sistema público de saúde.

4. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

NÍSIA TRINDADE LIMA

Ministra de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Nísia Verônica Trindade Lima, Ministra de Estado da Saúde**, em 06/06/2023, às 17:23, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0033725036** e o código CRC **5B9D52B9**.

Referência: Processo nº 25000.044634/2023-08

SEI nº 0033725036



CÂMARA DOS DEPUTADOS
Primeira-Secretaria

Ofício 1ªSec/RI/E/nº 112

Brasília, 27 de abril de 2023.

A Sua Excelência a Senhora
NÍSIA TRINDADE
Ministra de Estado da Saúde

Assunto: **Requerimento de Informação**

Senhora Ministra,
Nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal, encaminho a Vossa Excelência cópia(s) do(s) seguinte(s) Requerimento(s) de Informação:

PROPOSIÇÃO	AUTOR
Requerimento de Informação nº 523/2023	Deputado Abilio Brunini
Requerimento de Informação nº 535/2023	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 543/2023	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 571/2023	Deputada Clarissa Tércio
Requerimento de Informação nº 573/2023	Deputado Léo Prates
Requerimento de Informação nº 596/2023	Comissão de Saúde
Requerimento de Informação nº 629/2023	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 630/2023	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 632/2023	Deputado Amom Mandel
Requerimento de Informação nº 649/2023	Deputado Beto Preto
Requerimento de Informação nº 650/2023	Deputado Beto Preto
Requerimento de Informação nº 654/2023	Deputado Sóstenes Cavalcante
Requerimento de Informação nº 656/2023	Deputada Delegada Katarina

Por oportuno, solicito, na eventualidade de a informação requerida ser de natureza sigilosa, seja enviada também cópia da decisão de classificação proferida pela autoridade competente, ou termo equivalente, contendo todos os elementos elencados no art. 28 da Lei nº 12.527/2011 (Lei de Acesso à Informação), ou, caso se trate de outras hipóteses legais de sigilo, seja mencionado expressamente o dispositivo legal que fundamenta o sigilo. Em qualquer caso, solicito ainda que os documentos sigilosos estejam acondicionados em invólucro lacrado e rubricado, com indicação ostensiva do grau ou espécie de sigilo.

Atenciosamente,

Deputado LUCIANO BIVAR
Primeiro-Secretário

- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.

/DFO



COMISSÃO DE SAÚDE**REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO Nº , DE 2023**
(Da Comissão de Saúde)

Solicita informações à Ministra da Saúde, Nísia Verônica Trindade Lima, acerca do processo de Avaliação de Tecnologia em Saúde do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor “TRIKAFTA®” no SUS, utilizado para o tratamento das causas da Fibrose Cística.

Senhor Presidente,

Requeiro a Vossa Excelência, com base no art. 50, § 2º da Constituição Federal, e na forma dos artigos 115 e 116 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, que, ouvida a Mesa, sejam solicitadas informações à senhora ministra de Estado da Saúde, Nísia Verônica Trindade Lima, acerca do processo de Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS) do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta®) no Sistema Único de Saúde (SUS), utilizado para o tratamento das causas da Fibrose Cística (FC).

JUSTIFICAÇÃO

De acordo com o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde, a Fibrose Cística (FC) é uma doença genética com acometimento multissistêmico e impacto significativo na qualidade e na expectativa de vida dos pacientes. Apesar dos recentes avanços, a Fibrose Cística está associada a altos índices de mortalidade e morbidade significativa no Brasil.

Fonte: [www.gov.br / PCDT Fibrose Cística](http://www.gov.br/PCDT)



Com base em dados de 2019, o Registro de Fibrose Cística dos Estados Unidos calculou que a idade média prevista de sobrevivência de uma criança nascida com Fibrose Cística era de 48,4 anos, e no Brasil a média é de apenas ~19 anos.

Fonte: www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC9004282/

A sobrevivência dos pacientes com Fibrose Cística aumentou significativamente devido à instituição de melhores regimes terapêuticos. Com o desenvolvimento dos medicamentos moduladores de CFTR, o tratamento não se limita a controlar os sintomas, sendo agora possível atuar na causa molecular da doença, o gene defeituoso.

Fonte: unidospelavida.org.br/wp-content/uploads/2020/09/revista-visao-academica-2020.pdf

Em recente posicionamento da Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), foi destacada a significativa relevância referente ao modulador de CFTR: elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor (Trikafta®) com benefícios clínicos “SEM PRECEDENTES” para evolução dos vários pacientes acometidos por esta grave enfermidade no Brasil.

Fonte: sbpt.org.br/portal/wp-content/uploads/2022/11/Parecer_SBPT_Trikafta.pdf

Diante do exposto, requero esclarecimentos da senhora ministra da Saúde, referente ao processo de Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS) do medicamento em questão para o tratamento desta grave e letal enfermidade em nosso meio, são eles:

1. Quantos pacientes tem acesso hoje a esse medicamento (TRIKAFTA®) por meio do SUS no Estado do Ceará e em todo o Brasil?
2. Quais são as perspectivas para utilização de novos modelos de Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS) para incorporação deste medicamento “SEM PRECEDENTES” no SUS?
3. A nova Lei de Licitações (lei n. 14.133/2021), que entrará em vigor no dia 1º de abril de 2021, poderá ser considerada como base para



implementação de novos modelos de Avaliação de Tecnologia em Saúde (ATS)?

4. Existe alguma política pública de saúde para aplicação de teste genético capaz de identificar os pacientes elegíveis para elexacftor, tezacftor e ivacftor (TRIKAFTA©) no Estado do Ceará e no Brasil? Caso positivo, quantos pacientes seriam elegíveis para uso deste medicamento?

5. Em dezembro de 2020, a plenária da CONITEC decidiu incorporar o medicamento ivacftor (Kalydeco©), o que poderá beneficiar cerca de 50 pacientes no SUS; entretanto, a mesma plenária decidiu negar o acesso a outros dois medicamentos: lumacftor/ivacftor (Orkambi©) e tezacftor/ivacftor (Symdeko©). Conforme descrito pela Sociedade Brasileira de Pneumologia e Tisiologia (SBPT), as evidências científicas de elexacftor+tezacftor+ivacftor (Trikafta©) são robustas e “SEM PRECEDENTES”, portanto torna-se imperioso esclarecer quais são as premissas do Ministério da Saúde para incorporação deste medicamento no SUS.

Este Requerimento de Informação decorre da aprovação do Requerimento nº 35/2023, CSAÚDE, de autoria da Deputada Fernanda Pessoa (UNIÃO-CE), em Reunião Extraordinária Deliberativa da comissão, realizada no dia 29 de março de 2023. O Requerimento foi subscrito pelos Deputados Eduardo Velloso, Dr. Frederico, Daniel Soranz e Abilio Brunini.

Deputado **ZÉ VITOR**

Presidente



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Zé Vitor

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD230733835100>

Requerimento de Informação 596/2023 - Câmara dos Deputados (0032775725)

SEI 25000.044634/2023-08 / pg. 8

