

NOTA TÉCNICA 11081

IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

CÂMARA/VARA: 2ª Vara Empresarial, de Fazenda Pública e Registros Públicos

COMARCA: Contagem/MG

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2026.0011081

IDADE: 53 anos

SEXO: Feminino

DOENÇA(S) INFORMADA(S): CID I42.1

PEDIDO DA AÇÃO: Fornecimento de Mavacanteno (Camzyos®) 5 mg.

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Fornecimento da medicação Mavacanteno (Camzyos®) prescrita para paciente portadora de cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva (CMH).

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

i) o cumprimento, pela Conitec, dos prazos e critérios estabelecidos nos arts. 19-Q e 19-R da Lei nº 8.080/1990 e no Decreto nº 7.646/2011, no que tange à decisão de não incorporação do medicamento em questão ao rol do SUS;

R: O medicamento em questão não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, uma vez que não houve o pedido de submissão formal para análise da comissão, seja pelo laboratório fabricante ou pelo próprio Ministério da Saúde.

ii) a inexistência de possibilidade de substituição do medicamento requerido por outro já incorporado às listas oficiais do SUS ou contemplado pelos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas vigentes;

R: O Mavacanteno pertence a uma classe de medicamentos chamados inibidores da miosina cardíaca. Portanto, não existe um substituto desta mesma classe disponível no SUS. Não existem alternativas terapêuticas eficazes além das que já foram utilizadas pela paciente.

iii) a comprovação, com base na medicina fundada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do medicamento pleiteado, respaldada,

obrigatoriamente, por evidências científicas de elevado grau de confiabilidade, tais como ensaios clínicos randomizados, revisões sistemáticas ou meta-análises; e

R: As evidências científicas estão descritas no tópico seguinte.

iv) a demonstração da imprescindibilidade clínica do tratamento, por meio de laudo médico fundamentado, que deverá especificar, inclusive, os tratamentos já realizados pela parte autora.

R: O medicamento prescrito possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado, conforme relatório médico.

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Conforme a documentação apresentada trata-se de paciente de 53 anos, portadora de cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva, submetida a cirurgia de miectomia septal em 2024, cursando com sinais de obstrução dinâmica grave da via de saída e não apresentando melhora clínica mesmo em uso de tratamento medicamentoso convencional, com SeloZok® e Verapamil. O especialista prescreveu então o medicamento Mavacanteno (Camzyos®) na dosagem de 5 mg ao dia com o objetivo de reduzir a obstrução na via de saída do ventrículo esquerdo, melhorar a capacidade funcional, reduzir os sintomas e melhorar a qualidade de vida da paciente. Tanto a operadora do plano de saúde quanto a assistência farmacêutica do SUS negaram o fornecimento da medicação em 2024.

A cardiomiopatia hipertrófica (CMH) é uma doença genética da musculatura cardíaca caracterizada pelo espessamento da parede cardíaca e alterações funcionais consequentes. O espessamento do músculo cardíaco dificulta o bombeamento de sangue e aumenta o risco de arritmias e morte súbita. Comumente resulta na obstrução do trato de saída do ventrículo esquerdo, o que pode causar dor (precordialgia) ou desconforto no peito, dificuldade para respirar (dispneia), fadiga e síncope. O tratamento farmacológico é a primeira opção entre pacientes com CMH sintomática, seja

na forma obstrutiva ou não obstrutiva. Não existe evidência clara do seu papel na redução da mortalidade nessa população. Entretanto, a terapia farmacológica otimizada é capaz de melhorar significativamente os sintomas e reduzir a necessidade de procedimentos de terapia de redução septal (cirurgia de miectomia) na forma obstrutiva¹.

Betabloqueadores são indicados para alívio sintomático (por exemplo: angina, dispneia) em indivíduos com CMH. Essa indicação se faz presente em ambas as formas, obstrutivas ou não obstrutivas.

O Mavacanteno é o primeiro inibidor alostérico seletivo de pequena molécula da ATPase da miosina cardíaca que foi desenvolvido para diminuir as interações de ponte cruzada de actina-miosina, reduzindo, assim, a contratilidade cardíaca. Seu principal atributo clínico é a redução do gradiente de pressão de VSVE, com base nas suas propriedades inotrópicas negativas, semelhantes, nesse aspecto, à disopiramida ¹.

Mavacanteno (Camzyos®) é indicado para o tratamento de pacientes adultos com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva (CMHO) sintomática de classificação II e III da *New York Heart Association* (NYHA), para melhora da capacidade funcional, da classificação NYHA e dos sintomas. ²

A eficácia primária e a evidência de segurança para apoiar a aprovação do medicamento Camzyos® foram avaliadas no estudo principal de Fase 3 (estudo VALOR-HCM). O desfecho primário do estudo foi a resposta clínica na Semana 30 (referida como desfecho funcional composto, definido como alcançar uma melhora $\geq 1,5$ mL/kg/min no consumo de oxigênio de pico (pVO₂) conforme determinado pelo Teste de esforço cardiopulmonar (TCPE) e uma redução ≥ 1 classe NYHA; ou uma melhora $\geq 3,0$ mL/kg/min no pVO₂ sem piora na classe NYHA). O tratamento com Mavacanteno foi superior ao placebo no desfecho primário e todos os desfechos secundários em uma população de estudo com 92% dos indivíduos em uso de betabloqueador ou terapia com bloqueadores dos canais de cálcio não dihidropiridínicos. Os indivíduos tratados com Mavacanteno demonstraram duas vezes a taxa de resposta daqueles no grupo placebo no desfecho primário funcional composto, com uma

diferença estatisticamente significativa entre os grupos. Após 16 semanas de tratamento, 77% dos pacientes do grupo placebo permaneceram elegíveis para terapia de redução septal, contra apenas 18% no grupo Mavacanteno — uma diferença significativa que representa o componente principal do estágio primário. Também foram observadas melhorias seriadas na deformação (*strain*) do ventrículo esquerdo com o Mavacanteno, com benefícios sustentados na avaliação de seguimento em 128 semanas. Assim como no EXPLORER-HCM, o VALOR-HCM demonstrou evidência de remodelamento cardíaco favorável.³

O ensaio clínico EXPLORER-HCM (*Mavacamten for treatment of symptomatic obstructive hypertrophic cardiomyopathy*) foi o estudo que avaliou o benefício clínico desse fármaco (titulado de 2,5 até 15 mg ao dia) de forma mais consistente. Trata-se de ensaio clínico randomizado controlado por placebo com duração de 30 semanas envolvendo 251 pacientes com CMH obstrutiva (gradiente em VSVE > 50 mmHg) e sintomáticos (classe funcional da NYHA de II-III), em uso de terapia de base com betabloqueadores e bloqueadores de canal de cálcio. A melhora no consumo de oxigênio medida pelo teste de exercício cardiopulmonar (VO₂max) foi maior no grupo tratado com Mavacanteno assim como o número de pacientes consumo de oxigênio de >3,0 ml/kg/min e classe NYHA >1.⁴

Para pacientes que já foram submetidos à cirurgia de redução septal (miectomia ou ablação septal com álcool) e permaneceram sintomáticos, a evidência mais direta vem de um estudo de coorte que avaliou o uso de Mavacanteno especificamente nesse cenário de resistência a terapias avançadas prévias. Nesse estudo com 115 pacientes, 46% foram previamente tratados com terapias avançadas — incluindo 8 pacientes com miectomia septal prévia e 6 com ablação septal prévia. A classe funcional NYHA melhorou de 2,6±0,5 para 1,8±0,6 ($p<0,0001$), de forma semelhante entre pacientes com e sem terapia avançada prévia. Os gradientes máximos provocados do trato de saída do ventrículo esquerdo caíram de 103 (77-130) mmHg para 11 (8-21) mmHg no grupo com terapia prévia, resultado obtido ao coletado em pacientes sem tratamento prévio (101 para 13 mmHg; $p=0,31$ para a comparação entre

grupos). A disfunção sistólica (FEVE <50%) ocorreu em 15% do grupo com terapia avançada prévia versus 7% sem essa terapia ($p=0,13$), uma diferença não estatisticamente significativa, embora reforce a necessidade de monitoramento ecocardiográfico rigoroso. Esses achados sustentam que o Mavacanteno é uma opção segura e eficaz para obstrução residual ou sintomas persistentes do trato de saída do ventrículo esquerdo mesmo após terapia de redução septal prévia.⁵

Apesar das evidências de benefícios em estudo de fase III, ainda não há estudos de longo prazo e avaliando o impacto na sobrevida dos pacientes. Não há, até o presente momento, evidência de que a medicação reduza a mortalidade de paciente com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva. Verifica-se que há evidências científicas disponíveis; porém, são baseadas em poucos ensaios clínicos randomizados, com comparação com placebo, sem grandes estudos randomizados, duplo-cego comparativos entre os medicamentos beta-bloqueadores ou bloqueadores dos canais de cálcio com o medicamento Mavacanteno. Os resultados, portanto, são modestos quando considerado o alto custo da medicação.

O medicamento prescrito Mavacanteno 5mg (Camzyos®) possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), embora não integre nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, nem tenha sido, até o momento, avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, uma vez que não houve o pedido de submissão formal para análise da comissão, seja pelo laboratório fabricante ou pelo próprio Ministério da Saúde ⁶.

IV – CONCLUSÃO:

Considerando o caso concreto do presente auto, trata-se de paciente de 53 anos, portadora de cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva, já submetida a cirurgia de miectomia septal, cursando com sinais de obstrução dinâmica grave da via de saída e não apresentando melhora clínica mesmo em uso de tratamento medicamentoso convencional;

Considerando que o medicamento prescrito possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado, conforme relato médico;

Considerando que existem evidências científicas que sustentam a indicação do tratamento proposto para o quadro clínico descrito com eficácia e segurança aceitáveis;

Considerando que os estudos existentes ainda carecem de evidências mais robustas quanto à redução da mortalidade de pacientes com cardiomiopatia hipertrófica obstrutiva e que se trata de medicamento de alto custo ainda não avaliado pela CONITEC;

Este NATJUS avalia a presente demanda como justificada com ressalva, uma vez que, além do acima exposto, mesmo quando utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos decorrentes do uso deste medicamento, sendo importante que a paciente seja reavaliada pela equipe médica assistente periodicamente, a fim de comprovar a efetividade do tratamento no decorrer do tempo.

V – REFERÊNCIAS:

- 1) Fernandes F, Simões MV, Correia EB, Marcondes-Braga FG, -Filho ORC, Mesquita CT, Mathias Junior W, et al. **Diretriz sobre Diagnóstico e Tratamento da Cardiomiopatia Hipertrófica** – 2024. Arq. Bras. Cardiol. 2024;121(7):e202400415. Disponível [em https://abccardiol.org/wp-content/uploads/articles_xml/0066-782X-abc-121-07-e202400415/0066-782X-abc-121-07-e202400415.x98474.pdf](https://abccardiol.org/wp-content/uploads/articles_xml/0066-782X-abc-121-07-e202400415/0066-782X-abc-121-07-e202400415.x98474.pdf)
- 2) ANVISA. <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/camzyos-r-mavacanteno-novo-registro>
- 3) Milind Y. Desai, Kathy Wolski, Anjali Owens, Jeffrey B. Geske, Andrew Wang, Mark Sherrid. **Mavacamten in Patients With Hypertrophic Cardiomyopathy Referred for Septal Reduction: Week 128 Results From VALOR-HCM.** Circulation. Volume 151, Number 19
<https://doi.org/10.1161/CIRCULATIONAHA.124.072445>

<https://www.ahajournals.org/doi/10.1161/CIRCULATIONAHA.124.072445>

4) Saberi S, Cardim N, Yamani M, Schulz-Menger J, Li W, Florea V, et al.

Mavacamten Favorably Impacts Cardiac Structure in Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy: EXPLORER-HCM Cardiac Magnetic Resonance Substudy Analysis. Circulation. 2021;143(6):606-8. doi: 10.1161/CIRCULATIONAHA.120.052359.

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33190524/>

5) Massera D, Adlestein E, Frejat S, Wu WY, Reuter MC, Xia Y, Alvarez IC, Sherrid MV. **Mavacamten in Symptomatic Patients Resistant to Previous Advanced Therapy for Obstructive Hypertrophic Cardiomyopathy.** J Am Heart Assoc. 2025 Aug 5;14(15):e041565. doi: 10.1161/JAHA.125.041565. Epub 2025 Jul 17. PMID: 40673527; PMCID: PMC12449955.

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/40673527/>

6) CONITEC. [https://www.gov.br/conitec/pt-](https://www.gov.br/conitec/pt-br/search?origem=form&SearchableText=CAMZYOS)

[br/search?origem=form&SearchableText=CAMZYOS](https://www.gov.br/conitec/pt-br/search?origem=form&SearchableText=CAMZYOS)

VI – DATA:

29/09/2026

NATJUS – TJMG