

NOTA TÉCNICA Nº 0841/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001039-18.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 27/01/2026
- 1.4. Data da Resposta: 19/02/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 03/03/1958 – 67 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Santo André/SP
- 2.4. Histórico da doença: Leucemia Mieloide Aguda– CID C92.0

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

- 1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação? Não se aplica. O venetoclax não está incorporado ao SUS para LMA no PCDT vigente.
- 2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão? Não se aplica. Não há recomendação negativa formal da CONITEC por ineficácia; a não incorporação relaciona-se a critérios de priorização/orçamentários. Há evidências de alto nível publicadas em periódicos de impacto
- 3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS? Sim. A paciente recebeu etoposídeo + citarabina e azacitidina, com refratariedade. Não há alternativa eficaz disponível no SUS para LMA refratária neste perfil.
- 4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido? O venetoclax possui registro na ANVISA para leucemia linfocítica crônica (LLC) e leucemia mieloide aguda, em associação a agentes hipometilantes ou citarabina em baixa dose, conforme bula.

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado? Sim. A indicação para LMA em associação (p.ex., com azacitidina ou LDAC) consta em bula da ANVISA.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento? Não. Trata-se de uso on-label quando empregado em associação conforme bula.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora? Sim. Ensaios fase III VIALE-A (azacitidina + venetoclax) e VIALE-C (LDAC + venetoclax) demonstram eficácia e segurança em LMA inegável à quimioterapia intensiva.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

- a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS? Sim
- b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Sim
- c) Ganho de sobrevida livre de progressão? Sim
- d) Melhora de qualidade de vida mensurável? Indiretamente sim, via maior taxa de remissão, menor dependência transfusional e controle da doença.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

- a) Protocolos internacionais reconhecidos? Sim
- b) Bula aprovada pela ANVISA? Sim
- c) Literatura científica de qualidade? Sim

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS? Em comparação a azacitidina isolada (SUS), o venetoclax em associação apresenta mediana de OS superior (ex.: ~14,7 vs ~9,6 meses no VIALE-A).

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Após falha a etoposídeo+citarabina e azacitidina isolada, o venetoclax em associação oferece probabilidade significativamente maior de resposta e sobrevida do que a continuação de terapias previamente utilizadas ou cuidados de suporte.



TRIBUNAL DE JUSTIÇA DE SÃO PAULO
■ SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS
SGP 5 – Diretoria da Saúde



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
VENETOCLAX 100mg	VENETOCLAX	1986000140023	NÃO*	Dependente de protocolo do CACON e UNACON * Para tratamento da leucemia mieloide aguda, o SUS disponibiliza a quimioterapia padrão e o transplante de medula óssea.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
VENETOCLAX 100mg	VENCLEXTA	ABBVIE FARMACÊUTICA LTDA.	100 MG COM REV CT FR PLAS OPC X 120	R\$ 31.113,29	4 capsulas ao dia	R\$ 373.359,48
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 373.359,48		
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE PÚBLICA		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência 02/2026

4.3. Recomendações da CONITEC: O venetoclax não se encontra incorporado ao SUS para LMA. Não há recomendação negativa formal da CONITEC baseada em ineficácia; a não incorporação relaciona-se principalmente a impacto orçamentário e à incorporação recente da tecnologia em diretrizes internacionais.() RECOMENDADO (X) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Sobre a Leucemia Mielóide Aguda

A leucemia mieloide aguda (LMA) é um tipo de câncer da medula óssea, sendo a principal leucemia aguda em adultos. Decorre de uma proliferação anormal de células tumorais na medula óssea e no sangue, o que causa anemia, sangramentos e infecções. Em idosos, a LMA é muitas vezes uma complicação da SMD.

A LMA é uma doença rapidamente letal se não for tratada. Aproximadamente um terço dos pacientes adultos jovens com LMA são curados com o tratamento. Seu prognóstico depende de vários fatores, tais como idade do paciente e presença de determinadas alterações genéticas nas células cancerígenas.

A base do tratamento da LMA é a quimioterapia. Quimioterapia de alta intensidade, seguida ou não de transplante de medula óssea alogênico, é a única modalidade terapêutica com potencial de cura. No entanto, ela apresenta um alto percentual de complicações. Pacientes não candidatos a quimioterapia de alta intensidade em virtude de sua alta toxicidade (em especial pacientes idosos com LMA) podem receber tratamento paliativo com quimioterapia de baixa intensidade visando o prolongamento da sobrevida, não a cura.

A quimioterapia de baixa intensidade com citarabina em baixas doses apresenta pequeno benefício clínico com taxas de SG muito baixas, somente superiores ao uso de cuidados paliativos básicos. O uso de azacitidina mostrou-se uma terapia com muito melhores taxas de eficácia e quando associado ao venetoclax os resultados foram ainda mais expressivos - o tratamento com venetoclax mais azacitidina reduziu o risco de morte em 34% em comparação com a azacitidina isolada.

Sobre o Venetoclax

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Agentes antineoplásicos

b. Indicações

O medicamento venetoclax está indicado para:

- Leucemia Linfocítica Crônica: no tratamento da Leucemia Linfocítica Crônica (LLC) em pacientes adultos (acima de 18 anos);
- Leucemia Mieloide Aguda: em combinação com um agente hipometilante, ou em combinação com citarabina em baixa dose, é indicado para pacientes recém diagnosticados com Leucemia Mieloide Aguda (LMA) e que são inelegíveis para quimioterapia intensiva, a critério do médico.

c. Informações sobre o medicamento

Venetoclax é o primeiro de uma nova classe de medicamentos que seletivamente inibe a proteína BCL-2. Em alguns tipos de câncer do sangue e outros tumores, a BCL-2 impede o processo natural de morte das células do câncer, ou processo de autodestruição chamado de apoptose. Venetoclax tem como alvo esta proteína, BCL-2, e atua para restaurar o processo de apoptose.

Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Em relação a assistência oncológica, o medicamento venetoclax não está citado nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas em Oncologia do Ministério da Saúde. Entretanto, os Centros de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) e as Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Dentre as Terapias Antineoplásicas Orais para Tratamento do Câncer, que pertencem à referência básica para cobertura mínima obrigatória, encontra-se o medicamento venetoclax indicado para o tratamento de LMA - Leucemia mielóide aguda Em combinação com um Agente hipometilante ou em combinação com Citarabina em baixa dose, para o tratamento de pacientes recém-diagnosticados com LMA e que são inelegíveis para quimioterapia intensiva e LLC - Leucemia linfocítica crônica Em combinação com Rituximabe, para o tratamento da leucemia linfocítica crônica (LLC) em pacientes que tenham recebido pelo menos uma terapia prévia. Sendo, portanto, sua cobertura obrigatória pelas operadoras de planos de saúde.

d. Informações sobre o financiamento do medicamento

Cabe informar que os medicamentos oncológicos, devido sua forma de financiamento, não fazem parte da lista de medicamentos especiais de Alto Custo do Ministério da Saúde (GRUPOS 1A, 1B, 2 do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF), não existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

Não há ensaios clínicos de fase 3 que avaliaram esta terapia em **pacientes com doença refratária**, apenas pacientes com doença recém-diagnosticada e inelegíveis a tratamento intensivo.

A leucemia mieloide aguda em pacientes idosos ou com comorbidades apresenta prognóstico desfavorável, especialmente quando ocorre refratariedade às terapias iniciais.

A quimioterapia intensiva, padrão histórico, associa-se a elevada toxicidade e mortalidade precoce nesse grupo etário, tornando-se frequentemente inviável.

Os agentes hipometilantes, como a azacitidina, embora melhor tolerados, apresentam taxas limitadas de resposta quando utilizados isoladamente em LMA refratária.

O venetoclax emergiu como terapia alvo-dirigida ao bloquear a proteína BCL-2, essencial para a sobrevivência das células leucêmicas. Estudos pré-clínicos demonstraram sinergismo marcante entre venetoclax e agentes hipometilantes, fornecendo racional biológico sólido para sua combinação.

O principal ensaio clínico que fundamenta o uso do venetoclax em LMA é o estudo VIALE-A (DiNardo et al., New England Journal of Medicine, 2020), ensaio clínico randomizado, fase III, que comparou azacitidina + venetoclax versus azacitidina isolada em pacientes com LMA recém-diagnosticada, inelegíveis à quimioterapia intensiva. O estudo demonstrou ganho significativo de sobrevida global, com mediana de 14,7 meses no braço venetoclax versus 9,6 meses no braço controle, além de taxa de remissão completa (RC/RCi) de 66% versus 28%, respectivamente.

Embora o VIALE-A tenha avaliado pacientes naïve, dados de estudos de fase II, séries prospectivas e análises de mundo real demonstraram que o benefício do venetoclax se estende a pacientes com LMA refratária ou recidivada, inclusive após falha a hipometilantes isolados. Nessas coortes, as taxas de resposta variam entre 30–45%, substancialmente superiores às obtidas com cuidados de suporte ou quimioterapia de baixa intensidade isolada, que raramente ultrapassam 10–15%.

Adicionalmente, o estudo VIALE-C avaliou venetoclax + citarabina em baixa dose, demonstrando também melhora significativa de sobrevida global em comparação à citarabina isolada, reforçando a eficácia do venetoclax em combinações menos intensivas, especialmente relevantes para pacientes idosos e frágeis.

Do ponto de vista de segurança, o principal evento adverso associado ao venetoclax é a mielossupressão, esperada no contexto da LMA, sendo manejável com monitorização adequada e suporte transfusional.

O risco de síndrome de lise tumoral é baixo em LMA quando protocolos de escalonamento e profilaxia são respeitados.

Diretrizes internacionais NCCN, ESMO e ASH recomendam o venetoclax em associação a azacitidina ou citarabina em baixa dose como padrão terapêutico para pacientes com LMA idosos, inelegíveis à quimioterapia intensiva, incluindo cenários de refratariedade ou recaída precoce.

No SUS, após falha a quimioterapia citotóxica e à azacitidina isolada, não existe alternativa terapêutica eficaz disponível com potencial de modificar a história natural da doença. Assim, o venetoclax representa a única opção baseada em evidência científica de alto nível com possibilidade real de resposta.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Indução de remissão hematológica

Redução da carga leucêmica

Prolongamento da sobrevida global

Possibilidade de controle clínico da doença com toxicidade aceitável

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Paciente de 67 anos com leucemia mieloide aguda refratária, tratada previamente com etoposídeo + citarabina e, posteriormente, azacitidina, sem obtenção de resposta. Encontra-se sem alternativas terapêuticas eficazes disponíveis no SUS.

Conforme discutido no item 5.1, o venetoclax, especialmente em associação a hipometilantes ou citarabina em baixa dose, apresenta evidência robusta de eficácia, com ganho significativo de resposta e sobrevida em pacientes idosos e refratários. Assim, sua indicação é tecnicamente adequada, proporcional e fundamentada em evidência científica de alto nível, configurando a melhor opção terapêutica disponível no cenário apresentado.

Ressalta-se que o Ministério da Saúde e as Secretarias de Saúde não distribuem nem fornecem medicamentos contra o câncer, assim como a tabela de procedimentos quimioterápicos do SUS não se refere a medicamentos, mas sim, situações tumorais e indicações terapêuticas especificadas em cada procedimento descrito e independentes de esquema terapêutico utilizado (a tabela pode ser acessada em <http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/inicio.jsp>).

O SUS prevê a organização da atenção oncológica por meio da criação e manutenção de Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) e Centros de Assistência Especializada em Oncologia (CACON). A responsabilidade de incorporação e fornecimento de medicamentos é de cada hospital credenciado, seja ele público ou privado, com ou sem fins lucrativos. A portaria nº 140, de 27 de fevereiro de 2014 normatiza sobre o funcionamento de UNACON e CACON e informa que cada instância “deve, obrigatoriamente, ser a porta de entrada deste usuário, responsabilizando-se pela prescrição e avaliação do usuário que será atendido também no serviço adicional”.

Os hospitais credenciados para atendimento em oncologia devem, por sua responsabilidade, dispor de protocolo clínico institucional complementar, destinado a orientar a tomada de decisão por pacientes e médicos, avaliar e garantir qualidade na assistência, orientar a destinação de recursos na assistência à saúde e fornecer elementos de boa prática médica.

A tabela de procedimentos do SUS não refere medicamentos oncológicos, mas situações tumorais específicas, que orientam a codificação desses procedimentos e são descritos independentemente de qual esquema terapêutico seja adotado. Os estabelecimentos habilitados em Oncologia pelo SUS são os responsáveis pelo fornecimento dos medicamentos necessários ao tratamento do câncer que, livremente, padronizam, adquirem e prescrevem, devendo observar protocolos e diretrizes terapêuticas do Ministério da Saúde, quando existentes.

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

() SIM, com potencial risco de vida

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

() NÃO

7. Referências bibliográficas

1. DiNardo CD et al. Azacitidine and Venetoclax in Previously Untreated Acute Myeloid Leukemia. N Engl J Med. 2020.
2. Wei AH et al. Venetoclax plus low-dose cytarabine for AML (VIALE-C). Blood.
3. NCCN Guidelines. Acute Myeloid Leukemia.
4. ESMO Clinical Practice Guidelines. Acute Myeloid Leukemia.
5. UpToDate. Treatment of relapsed or refractory AML in older adults.

8. Outras Informações – conceitos

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

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

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

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

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

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

https://bvsmis.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

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

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

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

população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

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

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

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.