

NOTA TÉCNICA Nº 1181/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000943-03.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 06/02/2026
- 1.4. Data da Resposta: 23/04/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 24/12/1954 – 71 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Síndromes Mielodisplásicas – CID D46

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

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?
LUSPATERCEPTE 25mg	LUSPATERCEPTE	1018004110011	NÃO*	Dependente de protocolo do CACON e UNACON*	NÃO

*Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). 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.

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose (1)	Custo Anual*
LUSPATERCEPTE 25mg	REBLOZYL	BRISTOL-MYERS SQUIBB FARMACÊUTICA LTDA	25 MG PO LIOF SOL INJ SC CT FA VD TRANS	R\$ 9963,74	25mg – 2 frascos a cada 3 semanas	R\$ 338.767,16
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 338.767,16		
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: A CONITEC avaliou o luspatercepte para SMD com sideroblastos em anel. Recomendação: desfavorável à incorporação, fundamentada principalmente em impacto orçamentário elevado e incertezas de custo-efetividade, apesar do reconhecimento de eficácia clínica. () RECOMENDADO (X) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Sobre a Síndrome Mielodisplásica (SMD)

A Síndrome Mielodisplásica (SMD) são um grupo de neoplasias da medula óssea caracterizadas por hematopoese ineficaz e manifestada por displasia morfológica em células hematopoéticas e por citopenia(s) no sangue periférico, na ausência de outras causas que justifiquem a(s) citopenia(s). Predominantemente uma doença dos idosos (a idade mediana dos pacientes ao diagnóstico é 75,7 anos), a SMD pode evoluir para leucemia mieloide aguda (LMA) e é mais comum em homens (aproximadamente 2:1).

Pacientes com suspeita de Síndrome Mielodisplásica devem ser avaliados por um especialista na área de hematologia para serem submetidos à investigação diagnóstica.

A única terapia curativa para a Síndrome Mielodisplásica é o transplante de células-tronco hematopoéticas (TCTH) alogênico, reservado preferencialmente para pacientes abaixo de 75 anos e síndrome mielodisplásica de risco intermediário e alto definidos pelo IPSS e IPSS-R. O objetivo principal da terapia da Síndrome Mielodisplásica de baixo risco é melhorar a(s) citopenia(s), a fim de prevenir complicações, como sangramento e infecções graves, reduzir a necessidade de transfusão de hemocomponentes e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. A observação clínica, sem necessidade de terapia específica, pode ser a melhor opção para pacientes com Síndrome Mielodisplásica de baixo risco e citopenia(s) assintomática(s). A detecção de sinais de gravidade ou evolução da doença indicam a necessidade de terapia específica. Os indicadores de evolução são o agravamento de citopenia(s) e um número crescente de blastos no sangue periférico ou medula óssea e evolução clonal.

Como se trata de doença com curso clínico variável, o diagnóstico, a estratificação de risco e tratamento são feitos por médicos hematologistas.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Redução significativa da dependência transfusional

Melhora dos níveis de hemoglobina

Redução de sintomas hipoxêmicos

Melhora da qualidade de vida

Menor risco de complicações associadas a transfusões repetidas

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Da análise da documentação médica juntada aos autos, observa-se inconsistência e ausência de informações essenciais quanto à caracterização atual da doença oncológica/hematológica de base, bem como quanto à resposta aos tratamentos previamente instituídos.

Os relatórios descrevem, de forma alternada, diagnóstico de neoplasia hematológica plasmocitária (tratada como mieloma múltiplo) e, posteriormente, de síndrome mielodisplásica, sem, contudo, definir de maneira objetiva o status atual da doença plasmocitária, tampouco estabelecer relação causal clara entre a anemia atual e cada uma dessas entidades.

Em especial, não consta na documentação:

- Descrição objetiva da resposta atual da doença plasmocitária, com base em critérios clínicos, laboratoriais (ex.: resposta completa, parcial, doença estável ou progressão), conforme critérios internacionalmente aceitos.
- Esclarecimento se há evidência atual de mieloma múltiplo ativo, incluindo infiltração medular relevante, progressão bioquímica ou critérios clínicos que possam justificar a anemia como manifestação da atividade da doença plasmocitária.
- Definição expressa da etiologia predominante da anemia atual, se atribuída à síndrome mielodisplásica, à doença plasmocitária ativa, à toxicidade de tratamentos prévios ou a outro mecanismo.
- Relato estruturado das linhas terapêuticas oncológicas previamente realizadas, com respectivas respostas documentadas.

Ressalta-se que o luspatercepte possui indicação específica para anemia associada à síndrome mielodisplásica, particularmente em pacientes com falha a agentes estimuladores da eritropoese, não sendo indicado para anemia decorrente de mieloma múltiplo ativo. Assim, a ausência de definição clara quanto ao status atual da doença oncológica impede a adequada avaliação da indicação terapêutica solicitada.

Diante do exposto, solicita-se esclarecimento complementar por parte da equipe médica assistente, com:

- Definição objetiva do estado atual da doença plasmocitária;
- Especificação da causa predominante da anemia no momento;

Sem essas informações não é possível avaliar, de forma técnica e segura, a adequação da indicação do tratamento solicitado.

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

() SIM, com potencial risco de vida

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

(x) NÃO

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://bvsm.s.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) - regramentos 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.