

NOTA TÉCNICA Nº 2100/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5000215-25.2026.4.03.6703
1.3. Data da Solicitação: 05/03/2026
1.4. Data da Resposta: 18/03/2026
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 11/07/2018 – 7 anos
2.2. Sexo: Feminino
2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
2.4. Histórico da doença:
Neoplasia maligna da glândula supra-renal (Neuroblastoma de alto risco, estadio 4) – CID C74.9

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

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?
Medicamentos não avaliados pela CONITEC.
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?
Medicamentos não avaliados pela CONITEC.
3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?
Medicamento Qarziba (Dinituximabe) incorporado ao SUS. O medicamento passou por avaliação preliminar da CONITEC com parecer negativo à sua incorporação ao SUS. Após posicionamento das entidades pertinentes, na 133a reunião ordinária da CONITEC realizada no dia 04 de setembro de 2024, optou-se por incorporação do Betadinutuximabe ao SUS em caso de tratamento do neuroblastoma de alto risco previamente tratado com quimioterapia e que tenha alcançado pelo menos uma resposta parcial, seguida de terapêutica mieloablativa e transplante de células tronco.
4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

O medicamento Naxitamabe comercializado sob o nome Danyelza possui indicação em bula para pacientes com neuroblastoma de alto risco refratário a terapias prévias conforme o caso clínico descrito. Medicamento Sargramostim não aprovado pela ANVISA.

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Neuroblastoma tem o CID de C74.9. Relatório compatível.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Não se trata de uso off-label.

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?

O neuroblastoma é um tumor que deriva de células de gânglios simpáticos em fase primitiva. Sua formação e apresentação clínica são extremamente diversificadas, podendo cursar com tumor de regressão espontânea, lesão que amadureça e forme ganglioneuroma benigno ou mesmo doença metastática com progressão para óbito. O prognóstico é influenciado por estadiamento do tumor, idade do paciente ao diagnóstico, classificação de risco patológico, citogenética e genética molecular.

Crianças acima de 1 anos de idade com tumores de baixo risco necessitam, em geral, de ressecção cirúrgica isolada. Crianças com doença de risco intermediário têm indicação de quimioterapia com ou sem abordagem cirúrgica, e a radioterapia é raramente indicada. Ao passo que crianças com doença de alto risco recebem quimioterapia de indução, ressecção cirúrgica, transplante de medula óssea, radioterapia no sítio do tumor primário e terapia de manutenção com imunoterapia.

A imunoterapia utilizada para manutenção é composta por anticorpos monoclonais antiGD2, sendo GD2 um disialogangliosídeo, antígeno expresso nos neuroblastomas.

O Naxitamabe se liga aos glicolípídeo disialogangliosídeo (GD2), o qual é fortemente expresso no neuroblastoma, de modo a desencadear lise celular mediada por toxicidade celular e complemento. Já o sargramostim é um fator de crescimento estimulador de colônia, causando proliferação, diferenciação e atividade funcional de neutrófilos, eosinófilos, monócitos e macrófagos.

A combinação de Naxitamabe com fatores de crescimento estimuladores de colônias possui pouco respaldo científico em casos de refratariedade terapêutica, alicerçado em estudos de séries de casos, sem grupo controle com placebo ou terapia padrão.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

- a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS? Não.
- b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Não.
- c) Ganho de sobrevida livre de progressão? Não.
- d) Melhora de qualidade de vida mensurável? Não.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

- a) Protocolos internacionais reconhecidos? Sim.
- b) Bula aprovada pela ANVISA? Apenas para um dos componentes.
- c) Literatura científica de qualidade? Não.

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Ausência de ensaios clínicos que estabeleceram comparação.

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

Ausência de ensaios clínicos que estabeleceram comparação.



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?
NAXITAMABE 4mg/ml - 10ml	NAXITAMABE	1221401240011	NÃO*	Dependente de protocolo do CACON e UNACON*	NÃO

*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*
NAXITAMABE 4mg/ml - 10ml	DANYELZA	ADIUM S.A.	4 MG/ML SOL DIL INFUS IV CT FA VD TRANS X 10 ML	R\$ 42.319,58	30 ampolas	R\$ 1.269.587,40
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 1.269.587,40		

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

(1) **Naxitamabe:** Infundir 48,6 mg por via endovenosa cada dose no 6°, 8°, 10° dias de cada ciclo. Receberá 5 ciclos a cada 28 dias.

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

4.3. Recomendações da CONITEC: () RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO (X) NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

O **neuroblastoma** é um tumor que deriva de células de gânglios simpáticos em fase primitiva. Sua formação e apresentação clínica são extremamente diversificadas, podendo cursar com tumor de regressão espontânea, lesão que amadureça e forme ganglioneuroma benigno ou mesmo doença metastática com progressão para óbito. O prognóstico é influenciado por estadiamento do tumor, idade do paciente ao diagnóstico, classificação de risco patológico, citogenética e genética molecular.

Crianças acima de 1 anos de idade com tumores de baixo risco necessitam, em geral, de ressecção cirúrgica isolada. Crianças com doença de risco intermediário têm indicação de quimioterapia com ou sem abordagem cirúrgica, e a radioterapia é raramente indicada. Ao passo que crianças com doença de alto risco recebem quimioterapia de indução, ressecção cirúrgica, transplante de medula óssea, radioterapia no sítio do tumor primário e terapia de manutenção com imunoterapia.

A imunoterapia utilizada para manutenção é composta por anticorpos monoclonais antiGD2, sendo GD2 um disialogangliosídeo, antígeno expresso nos neuroblastomas.

O Naxitamabe se liga aos glicolípídeo disialogangliosídeo (GD2), o qual é fortemente expresso no neuroblastoma, de modo a desencadear lise celular mediada por toxicidade celular e complemento. Já o sargramostim é um fator de crescimento estimulador de colônia, causando proliferação, diferenciação e atividade funcional de neutrófilos, eosinófilos, monócitos e macrófagos.

A combinação de Naxitamabe com fatores de crescimento estimuladores de colônias possui pouco respaldo científico em casos de refratariedade terapêutica, alicerçado em estudos de séries de casos, sem grupo controle com placebo ou terapia padrão.

Sobre o tratamento oncológico no SUS

A assistência oncológica no Sistema Único de Saúde (SUS) integra a Política Nacional para Prevenção e Controle do Câncer - PNPCC, instituída pela Lei nº 14.758/2023 e regulamentada pela Portaria GM/MS Nº 6.590, de 3 de fevereiro de 2025. Seu objetivo é reduzir a incidência e a mortalidade por câncer, garantir acesso integral e contínuo às ações de promoção, prevenção, diagnóstico, tratamento e reabilitação, e melhorar a qualidade de vida das pessoas com câncer.

O SUS assegura que o primeiro tratamento oncológico — cirurgia, radioterapia ou quimioterapia — seja iniciado em até 60 dias a partir do diagnóstico em laudo patológico, conforme a Lei nº 12.732/2012 e a Portaria GM/MS nº 876/2013.

O atendimento é realizado em Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACONS) e Centros de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACONS), habilitados pelo Ministério da Saúde segundo a Portaria nº 140/2014.

As **UNACONS** devem dispor, no mínimo, de cirurgia oncológica e oncologia clínica, podendo referenciar radioterapia, hematologia, oncologia pediátrica e medicina nuclear.

Os **CACONS** devem possuir, obrigatoriamente, cirurgia oncológica, oncologia clínica, radioterapia e hematologia, podendo também oferecer ou referenciar os demais serviços.

Esses estabelecimentos são responsáveis pelo diagnóstico, estadiamento e condução terapêutica, com base em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e diretrizes clínico-assistenciais definidas pelo Ministério da Saúde e pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC.

Componente da Assistência Farmacêutica em Oncologia (AF-Onco)

Com a publicação da Portaria GM/MS nº 8.477/2025, foi instituído o Componente da Assistência Farmacêutica em Oncologia – AF-Onco, que organiza e financia o acesso a medicamentos oncológicos no SUS. O AF-Onco tem como finalidade garantir a integralidade do tratamento medicamentoso oncológico, com base em linhas de cuidado priorizadas nos PCDTs e demais diretrizes da PNPC.

Os medicamentos atualmente financiados e disponibilizados no SUS passam a integrar a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME, e os novos medicamentos oncológicos incorporados também serão incluídos conforme o Decreto nº 7.508/2011.

A disponibilização dos medicamentos oncológicos no âmbito do SUS será assegurada mediante pactuação do modelo de financiamento e da forma de organização entre a União, Estados, Distrito Federal e Municípios, conforme previsto nesta Portaria.

Financiamento e Programação

O AF-Onco é integralmente financiado pela União.

Nos casos de negociação nacional, a União transferirá recursos fundo a fundo aos estados e DF para execução local das compras. A previsão orçamentária será ajustada no Teto de Média e Alta Complexidade (MAC) conforme novos procedimentos sejam incluídos no SIGTAP.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

A combinação de Naxitamabe com fatores de crescimento estimuladores de colônias possui pouco respaldo científico em casos de refratariedade terapêutica, alicerçado em estudos de séries de casos, sem grupo controle com placebo ou terapia padrão.

6. Conclusão

6.1. Parecer

() Favorável

(X) Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada:

Medicamento sem respaldo científico para tratamento do neuroblastoma refratário a tratamentos padronizados.

Portanto este NATJUS manifesta-se **DESFAVORÁVEL** à demanda.

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 (oncologia)

() NÃO

7. Referências bibliográficas

1. Mora J, Castañeda A, Gorostegui M, Santa-María V, Garraus M, Muñoz JP, Varo A, Perez-Jaume S, Mañe S. Naxitamab combined with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor as consolidation for high-risk neuroblastoma patients in complete remission. *Pediatr Blood Cancer*. 2021 Oct;68(10):e29121. doi: 10.1002/pbc.29121. Epub 2021 May 22. PMID: 34022112.
2. Mora J, Chan GC, Morgenstern DA, Nysom K, Bear MK, Tornøe K, Kushner BH. Outpatient administration of naxitamab in combination with granulocyte-macrophage colony-stimulating factor in patients with refractory and/or relapsed high-risk neuroblastoma: Management of adverse events. *Cancer Rep (Hoboken)*. 2023 Jan;6(1):e1627. doi: 10.1002/cnr2.1627. Epub 2022 May 17. PMID: 35579862; PMCID: PMC9875606.
3. Mora J, Castañeda A, Gorostegui M, Varo A, Perez-Jaume S, Simao M, Muñoz JP, Garraus M, Larrosa C, Salvador N, Lavarino C, Krauel L, Mañe S. Naxitamab Combined with Granulocyte-Macrophage Colony-Stimulating Factor as Consolidation for High-Risk Neuroblastoma Patients in First Complete Remission under Compassionate Use-Updated Outcome Report. *Cancers (Basel)*. 2023 Apr 28;15(9):2535. doi: 10.3390/cancers15092535. PMID: 37174002; PMCID: PMC10177429.
4. Yu AL, Gilman AL, Ozkaynak MF, London WB, Kreissman SG, Chen HX, Smith M, Anderson B, Villablanca JG, Matthay KK, Shimada H, Grupp SA, Seeger R, Reynolds CP, Buxton A, Reisfeld RA, Gillies SD, Cohn SL, Maris JM, Sondel PM; Children's Oncology Group. Anti-GD2 antibody with GM-CSF, interleukin-2, and isotretinoin for

neuroblastoma. N Engl J Med. 2010 Sep 30;363(14):1324-34. doi: 10.1056/NEJMoa0911123. PMID: 20879881; PMCID: PMC3086629.

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://bvsms.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 agravamento 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.