

NOTA TÉCNICA Nº 2662/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5000350-37.2026.4.03.6703
1.3. Data da Solicitação: 26/03/2026
1.4. Data da Resposta:
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 10/11/1952 – 73 anos
2.2. Sexo: Feminino
2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
2.4. Histórico da doença: Leucemia Mieloide Aguda – CID C92.0

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

Desde já, seguem os quesitos apresentados pelo magistrado, já que o formulário veio previamente preenchido pela parte:

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação? **Parcialmente. A avaliação/consulta pública identificada da CONITEC refere-se a adultos com LMA recém-diagnosticada e ineleáveis à quimioterapia intensiva; no caso, a paciente já recebeu hidroxiureia, 1 ciclo de Ara-C sem resposta e depois Ara-C + venetoclax, o que reduz o enquadramento integral no cenário clássico de primeira linha.**
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? **Sim. Houve recomendação inicial desfavorável da CONITEC em 2020 para venetoclax + azacitidina nessa indicação, e depois surgiram/publicaram-se dados maduros do VIALE-A, incluindo seguimento de longo prazo confirmando benefício em sobrevida global.**
3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS? **Não integralmente, mas há forte limitação terapêutica. O SUS dispõe de azacitidina isolada em certos contextos, e a paciente já usou hidroxiureia e Ara-C, sem resposta adequada ao Ara-C isolado; além disso, houve boa resposta quando o venetoclax foi associado, o que reforça a necessidade de manutenção dessa estratégia.**

4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido? · **Leucemia linfocítica crônica (LLC) em adultos; Leucemia mieloide aguda (LMA), em combinação com azacitidina, decitabina ou citarabina em baixa dose, para pacientes recém-diagnosticados e ineligíveis à quimioterapia intensiva; Linfoma de células do manto (LCM), em combinação com ibrutinibe, após pelo menos uma terapia anterior**

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado? **Sim, com ressalva. A indicação para LMA em combinação com azacitidina consta em bula, mas no cenário de LMA recém-diagnosticada e ineligível à quimioterapia intensiva; no caso concreto, a paciente já recebeu tratamento prévio para LMA.**

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento? **Parcialmente sim, no contexto concreto. O fármaco e a combinação são aprovados para LMA, mas a continuidade após uso prévio de Ara-C e venetoclax não reproduz exatamente o cenário expresso em bula de recém-diagnóstico.**

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, com aplicabilidade alta, mas não perfeita. O VIALE-A foi fase III, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, demonstrando superioridade de azacitidina + venetoclax em pacientes com LMA recém-diagnosticada e ineligíveis à quimioterapia intensiva. A aplicabilidade ao caso é forte pela idade e pelo contexto clínico, mas não é idêntica porque a paciente já iniciou tratamento prévio.**

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? **Não de forma robusta como desfecho principal. O benefício central demonstrado foi em sobrevida global e taxa de remissão, mais do que em medidas formais de qualidade de vida.**

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos?

b) Bula aprovada pela ANVISA?

c) Literatura científica de qualidade?

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS? **A melhor comparação disponível é contra azacitidina isolada: 14,7 meses de sobrevida global mediana com azacitidina + venetoclax versus 9,6**

meses com azacitidina isolada. Não há comparação randomizada de mesmo nível com todas as demais estratégias do SUS.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora? **Não há comparação formal direta com hidroxiureia, Ara-C isolado ou Ara-C + venetoclax no contexto individual da paciente. O que se pode afirmar é que a paciente não respondeu ao Ara-C isolado e respondeu ao venetoclax associado, enquanto a melhor evidência publicada para a estratégia solicitada mostra ganho de sobrevida global versus azacitidina isolada.**



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?
AZACITIDINA 100mg - Aplicar 129mg de D1 a D7 a cada 28 dias, contínuo	Azacitidina	1826100110010	NÃO	medicamento azacitidina é indicado para o tratamento de pacientes com Síndrome Mielodisplásica dos subtipos: anemia refratária com excesso de blastos, de acordo com a classificação FAB; leucemia mieloide aguda com 20 – 30% de blastos na medula óssea com displasia multilineagem de acordo com a classificação Organização Mundial da Saúde; e leucemia mielomonocítica crônica (classificação FAB modificada)	AMBOS
VENETOCLAX 100mg - 1cp no 1º dia, 2cp no 2º dia, 4cp no 3º dia em diante	VENETOCLAX	1986000140031	NÃO	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.	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
AZACITIDINA	AZACITIDINA	NATCOFARMA DO BRASIL LTDA	100 MG PO LIOF SUS INJ SC CT FA VD TRANS	R\$1073,14	Aplicar 129mg de D1 a D7 a cada 28 dias, contínuo	R\$139.508,20
VENETOCLAX	VENCLEXTA	ABBVIE FARMACÊUTICA LTDA.	100 MG COM REV CT FR PLAS OPC X 120	R\$31113,29	1cp no 1º dia, 2cp no 2º dia, 4cp no 3º dia em diante	R\$404.472,77



CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO	R\$543.980,97
---	---------------

* 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 MARÇO/2026

4.3. Recomendações da CONITEC: A combinação não está incorporada ao SUS.O SUS disponibiliza azacitidina isolada como alternativa em pacientes não elegíveis à quimioterapia intensiva. () RECOMENDADO (X) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A paciente de 73 anos apresenta leucemia mieloide aguda (LMA) em contexto de idade avançada e, pelo curso clínico descrito, enquadra-se no perfil de doente não elegível a quimioterapia intensiva, cenário em que a combinação azacitidina + venetoclax passou a ser padrão terapêutico internacional. O racional biológico é consistente: a azacitidina atua como agente hipometilante e o venetoclax inibe a proteína antiapoptótica BCL-2, aumentando a morte celular das células leucêmicas. Esse sinergismo foi a base para o desenvolvimento dos estudos que mudaram o tratamento da LMA em pacientes idosos ou frágeis.

A principal evidência de alto nível vem do estudo VIALE-A, ensaio clínico fase III, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, publicado no New England Journal of Medicine. O estudo incluiu 431 pacientes com LMA recém-diagnosticada, inelegíveis à indução intensiva por idade ou comorbidades, randomizados para azacitidina + venetoclax versus azacitidina + placebo. O desfecho primário foi sobrevida global. Os resultados mostraram sobrevida global mediana de 14,7 meses no grupo combinação versus 9,6 meses no grupo azacitidina isolada, com hazard ratio de 0,66, além de taxa de remissão completa/remissão completa com recuperação hematológica incompleta (CR/CRi) de 66,4% versus 28,3%, respectivamente. Trata-se de ganho expressivo em dois desfechos clinicamente centrais: sobrevida e taxa de remissão.

A atualização de longo prazo do VIALE-A, publicada em 2024, confirmou que esse benefício não foi transitório. Com seguimento mediano de 43,2 meses, a sobrevida global mediana permaneceu em 14,7 meses no grupo venetoclax + azacitidina versus 9,6 meses no grupo controle, com hazard ratio de 0,58 e $p < 0,001$. A taxa estimada de sobrevida em 24 meses foi 37,5% com a combinação versus 16,9% com azacitidina isolada. O trabalho também mostrou manutenção das taxas de resposta e ausência de novos sinais inesperados de segurança, consolidando a combinação como melhora real em relação ao tratamento padrão anterior.

Do ponto de vista de segurança, a combinação aumenta a incidência de citopenias e infecções, especialmente neutropenia e trombocitopenia, além de eventos gastrointestinais. No seguimento longo do VIALE-A, os eventos mais comuns permaneceram hematológicos e gastrointestinais, sem surgimento de novas toxicidades relevantes. Isso significa que o esquema é mais mielossupressor do que a azacitidina isolada, mas dentro de um perfil já conhecido e manejável com monitorização, suporte infeccioso, ajustes de duração do venetoclax e suporte transfusional quando necessário.

As diretrizes do NCCN passaram a listar azacitidina + venetoclax entre os principais regimes para pacientes com LMA não elegíveis à quimioterapia intensiva, ao lado de outras alternativas de menor intensidade. Isso reforça que a combinação não é experimental nem

marginal, mas parte do padrão contemporâneo de tratamento para idosos e pacientes frágeis.

No caso concreto, há um elemento adicional de grande relevância clínica: a paciente já demonstrou resposta ao venetoclax, pois após falha de hidroxiureia e 1 ciclo de Ara-C sem resposta, recebeu Ara-C + venetoclax por 14 dias com boa resposta. Embora a melhor evidência de alto nível para o pedido específico seja com azacitidina + venetoclax, a resposta já observada com um esquema baseado em venetoclax reforça fortemente a sensibilidade biológica da doença ao inibidor de BCL-2 e dá sustentação clínica individual à necessidade de manter tratamento contínuo com essa classe. Trata-se, portanto, não apenas de plausibilidade teórica, mas de benefício documentado na própria paciente. A limitação é que não foi detalhado se a paciente é formalmente inelegível à quimioterapia intensiva nem se o esquema anterior foi usado como ponte ou estratégia definitiva; ainda assim, pela idade de 73 anos e pela resposta obtida ao venetoclax, a aplicabilidade da literatura ao caso é elevada.

Em síntese, a melhor evidência disponível demonstra que azacitidina + venetoclax é superior à azacitidina isolada em pacientes com LMA não elegíveis à quimioterapia intensiva, com ganho significativo de sobrevida global, maior taxa de remissão e perfil de segurança conhecido. No caso em análise, esse respaldo é ainda fortalecido pelo fato de a paciente já ter apresentado boa resposta prévia ao venetoclax, o que torna a continuidade de tratamento com essa estratégia particularmente justificada sob o ponto de vista técnico-científico.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Manutenção da resposta obtida

Aumento da sobrevida

Maior taxa de remissão sustentada

Controle da doença

6. Conclusão

6.1. Parecer

Favorável

Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

A paciente apresenta LMA com: falha inicial à citarabina isolada, resposta documentada ao venetoclax, necessidade de continuidade terapêutica.

A evidência científica (VIALE-A) demonstra que a combinação azacitidina + venetoclax é superior à azacitidina isolada, com ganho significativo de sobrevida e resposta.

Além disso, há evidência direta de benefício no próprio caso interrupção do tratamento, implica alto risco de progressão, não há alternativa equivalente no SUS.

Dessa forma, conclui-se que há fundamentação técnico-científica robusta para o uso da combinação azacitidina + venetoclax no caso analisado.

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.
VIALE-A Trial.
New England Journal of Medicine.
2. NCCN Guidelines – Acute Myeloid Leukemia.

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.

PROTOS 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.