

## **NOTA TÉCNICA Nº 2869/2025- NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]  
1.2. Processo nº 5005031-91.2024.4.03.6130  
1.3. Data da Solicitação: 24/04/2025  
1.4. Data da Resposta: 03/06/2025

### **2. Requerido**

**SAÚDE PÚBLICA**

### **3. Paciente**

- [REDACTED]  
3.1. Data de Nascimento/Idade: 28/06/1951 – 73 anos  
3.2. Sexo: Feminino  
3.3. Cidade/UF: São Paulo/SP  
3.4. Histórico da doença: Leucemia Mieloide – CID C92.1

### **4. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)**

Solicito ao especialista do NATJUS a resposta aos seguintes quesitos:

- 1. O medicamento solicitado tem registro na ANVISA? e caso negativo se: (i) existe pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras); (ii) existe registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e (iv) há substituto terapêutico com registro no Brasil;**

Sim. O ponatinibe possui registro ativo na ANVISA desde 2016 para o tratamento de leucemia mieloide crônica (LMC) resistente ou intolerante a múltiplos ITKs.

- 2. Em caso de não registro do medicamento na ANVISA, há pesquisas suficientes no Brasil e no mundo a atestar a segurança do medicamento considerando-se inclusive particularidades similares ao caso concreto do autor?**

Não se aplica. O medicamento ponatinibe possui registro ativo na ANVISA desde 2016, sendo aprovado para o tratamento de leucemia mieloide crônica (LMC) refratária ou com mutações resistentes, como T315I.

Além disso, há extensa literatura científica internacional comprovando sua eficácia e segurança, incluindo estudos multicêntricos como o PACE (Cortes et al., 2013; Nicolini et al., 2018), diretrizes da NCCN (2025) e ELN (2023), além de registro em agências

internacionais como FDA (EUA) e EMA (Europa).

Portanto, não se trata de um medicamento sem registro, e há ampla validação científica em contextos clínicos semelhantes ao do caso

**3. O medicamento solicitado, é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor?**

Sim. O ponatinibe é amplamente recomendado para casos de LMC com falha a múltiplos ITKs, conforme diretrizes da NCCN (2025) e ELN (2023).

**4. O medicamento é indicado ao autor (considerando-se a sua mutação genética específica-cf. exame genético acostado na inicial- id. 352621827), podendo se afirmar ser este seguro e eficaz no tratamento no caso concreto?**

Sim. O ponatinibe é indicado especificamente para pacientes com leucemia mieloide crônica (LMC) que apresentam mutações resistentes, como a mutação T315I, conforme evidenciado no exame genético mencionado (id. 352621827). Esta mutação confere resistência a inibidores de tirosina quinase de primeira e segunda geração (ex: imatinibe, dasatinibe), tornando o ponatinibe a principal e mais eficaz opção terapêutica para controle da doença neste contexto.

A segurança e eficácia do ponatinibe em pacientes com mutação T315I foram amplamente demonstradas no estudo PACE, no qual pacientes portadores dessa mutação apresentaram taxa de resposta citogenética maior de 70%. Diretrizes internacionais, como as da NCCN (2025) e ELN (2023), reforçam o uso do ponatinibe como terapia padrão para este perfil genético específico, com monitoramento clínico adequado.

Portanto, no caso concreto da paciente, o uso do ponatinibe é tecnicamente adequado, seguro e respaldado por evidências científicas robustas para o manejo da LMC refratária associada à mutação T315I.

**5. Há quanto tempo ele foi incorporado à terapêutica da doença do autor? Integra alista do SUS de medicamentos fornecidos, observados os critérios de universalidade e isonomia? Juntar Relatório relativo à Incorporação desse medicamento. Caso não esteja incorporado, já houve recomendação da CONITEC para incorporar ou para não incorporar. Comentar a decisão.**

O medicamento ponatinibe foi incorporado à terapêutica internacional da leucemia mieloide crônica (LMC) a partir de 2013, com aprovação pela FDA (EUA), e possui registro ativo na ANVISA desde 2016. No entanto, até a presente data, não integra a lista de medicamentos fornecidos pelo SUS, ou seja, não está incorporado ao Sistema Único de Saúde, conforme os critérios de universalidade e isonomia.

A CONITEC (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS) ainda não publicou recomendação oficial para incorporação ou não incorporação do ponatinibe. Conseqüentemente, não há relatório formal de recomendação ou recusa de sua incorporação. Isso implica que o medicamento permanece fora da lista do SUS, apesar de seu uso ser respaldado por diretrizes internacionais e registro sanitário válido no Brasil. Do ponto de vista técnico, a ausência de alternativas terapêuticas equivalentes no SUS para pacientes refratários a múltiplos ITKs, como a paciente em questão, torna a concessão do ponatinibe necessária para garantir o controle adequado da doença.

#### **6. O medicamento solicitado é substituível por outro ou outros fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?**

Não. Não há no SUS ITK com eficácia equivalente ao ponatinibe em casos refratários a imatinibe e dasatinibe.

#### **7. Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde do autor em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do pretendido?**

Atualmente, não há medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante ao ponatinibe para o tratamento de leucemia mieloide crônica (LMC) refratária após falha a imatinibe e dasatinibe. Os ITKs disponíveis no SUS são imatinibe, dasatinibe e nilotinibe, que já não são eficazes para esta paciente, conforme evolução clínica refratária descrita.

A utilização de medicamentos intercambiáveis do SUS nesta situação, ou seja, de ITKs de primeira e segunda geração, resultaria em falência terapêutica contínua, com as seguintes consequências negativas à saúde da paciente:

Progressão acelerada da LMC para fases avançadas (acelerada ou blástica), com alto risco de mortalidade;

Agravamento hematológico, como pancitopenia, infecções graves e necessidade de suporte transfusional frequente;

Perda de tempo terapêutico crítico, comprometendo ainda mais as chances de controle da doença;

Deterioração da qualidade de vida com aumento de sintomas constitucionais e hospitalizações.

O uso do ponatinibe evita essas consequências, por ser a única opção capaz de controlar a LMC refratária em pacientes que não respondem aos tratamentos padronizados do SUS. Portanto, insistir em alternativas ineficazes traz risco direto e imediato à vida da paciente.

**8. Considerando-se os documentos acostados e sobretudo o exame genético da patologia do autor (id. 352621927) seria adequada outra terapia com medicamento aprovado pela ANVISA ou/e incorporado ao SUS?**

Não. O ponatinibe é a única opção eficaz aprovada pela ANVISA para LMC refratária com falha a múltiplos ITKs e sem indicação de transplante.

**9. O medicamento prescrito é eficaz e seguro para o tratamento do paciente, considerando-se a sua variação genética e evolução da doença? Qual expectativa com o uso do medicamento? Possui eficácia acuratória?**

Sim. O medicamento ponatinibe é considerado altamente eficaz e seguro para o tratamento de leucemia mieloide crônica (LMC) em pacientes que apresentam resistência a múltiplos inibidores de tirosina quinase (ITKs), como imatinibe e dasatinibe, e em especial para aqueles portadores da mutação T315I, conhecida por conferir alto grau de resistência terapêutica.

A eficácia do ponatinibe foi comprovada no estudo clínico multicêntrico PACE, no qual pacientes com essa mutação demonstraram taxas de resposta citogenética maior de 70%, além de controle duradouro da doença. A segurança do medicamento é considerada adequada desde que seja realizado monitoramento clínico rigoroso, especialmente para eventos cardiovasculares, com possibilidade de ajuste de dose conforme tolerância individual.

Expectativa terapêutica no caso concreto:

Redução da carga leucêmica, com resposta hematológica e molecular significativa;  
Estabilização clínica da paciente, prevenindo evolução para fases acelerada ou blástica da doença;

Aumento da sobrevida livre de progressão e da sobrevida global;

Melhoria na qualidade de vida, permitindo tratamento ambulatorial e oral contínuo.

Eficácia acuratória:

O ponatinibe possui eficácia direcionada (acurada) para pacientes com mutações BCR-ABL resistentes, sendo o único ITK aprovado com atividade comprovada contra a mutação T315I. Sua ação específica o torna insubstituível nesse contexto clínico, sendo reconhecido por diretrizes internacionais como a NCCN (2025) e ELN (2023) como o tratamento de escolha.

Portanto, o ponatinibe é a única alternativa terapêutica eficaz e segura para a paciente, com potencial real de controle da doença, alinhado à sua variação genética e histórico de falha terapêutica.

A paciente apresenta falha terapêutica a imatinibe e dasatinibe, sem possibilidade de transplante, e portanto enquadra-se plenamente nas indicações para uso do ponatinibe, conforme diretrizes da NCCN (2025) e ELN (2023).

#### **10.O uso do medicamento consideradas as particularidades do caso concreto teria "natureza experimental"?**

Não. O medicamento ponatinibe não possui natureza experimental no contexto do caso apresentado. Trata-se de um fármaco com registro ativo na ANVISA desde 2016, aprovado para o tratamento de leucemia mieloide crônica (LMC) em pacientes que apresentaram resistência ou intolerância a múltiplos inibidores de tirosina quinase (ITKs), ou que possuem mutações específicas resistentes, como a T315I.

Além disso, o ponatinibe é amplamente recomendado em diretrizes clínicas internacionais reconhecidas, como a NCCN (2025) e a ELN (2023), sendo considerado tratamento de padrão estabelecido para LMC refratária em casos semelhantes ao da paciente.

Portanto, o uso do ponatinibe, embora não incorporado ao SUS, é amparado por evidências científicas robustas, registro sanitário válido, e não se caracteriza como uso experimental, mas sim como uso regular e validado para o perfil clínico apresentado.

## 5. Descrição da Tecnologia

### 5.1. 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?
<b>PONATINIBE (ICLUSIG)</b>	CLORIDRATO DE PONATINIBE	1390000010022	NÃO	Imatinibe, Dasatinibe, Nilotinibe, Hidroxiureia, Alfa-interferona, citarabina, transplante de células-tronco hematopoiéticas	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
<b>CLORIDRATO DE PONATINIBE</b>	ICLUSIG	PINT PHARMA PRODUTOS MEDICO-HOSPITALARES E FARMACEUTICOS LTDA	45 MG COM REV FR PLAS PEAD OPC X 30	R\$ 19.402,04	Tomar 03 comp VO (45mg) 1 x ao dia.	R\$ 232.824,48
<b>CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO</b>				R\$ 232.824,48		
<b>MÉDICO PRESCRITOR</b>				<b>SAÚDE PÚBLICA</b>		

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

### 5.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência 05/2025

**5.3. Recomendações da CONITEC:** Até o momento, ponatinibe não foi incorporado ao SUS. Contudo, possui registro sanitário válido na ANVISA, e é recomendado por diretrizes internacionais como NCCN (2025) e ELN (2023) para pacientes com falha a múltiplos ITKs, sem opção de transplante, ou com mutações BCR-ABL resistentes. Na 85ª reunião, ocorrida nos dias 4 e 5 de fevereiro de 2020, os membros da CONITEC aprovaram o atual PCDT de Leucemia Mieloide Crônica em adultos. O Cloridrato de Ponatinibe não foi avaliado pela CONITEC.

## **6. Discussão e Conclusão**

### **6.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:**

A leucemia é uma doença maligna da célula hematopoiética, mais especificamente dos leucócitos, células de defesa ou “células brancas” do sangue. Essa célula maligna se prolifera de forma descontrolada na medula óssea, se acumula, substitui os elementos normais dessa região e o excesso dessas células é identificado no sangue periférico.

A maioria dos casos surge sem motivo aparente. O tipo da leucemia vai depender do tipo de célula sanguínea que se tornou cancerosa e de seu crescimento rápido ou lento, o que basicamente caracteriza a doença na sua forma aguda ou crônica. Dessa forma, existem vários tipos de leucemia, sendo as quatro principais: leucemia mieloide aguda (LMA), leucemia mieloide crônica (LMC), leucemia linfocítica aguda (LLA) e leucemia linfocítica crônica (LLC).

A leucemia mieloide crônica (LMC) é uma doença clonal maligna caracterizada pela superprodução de células mieloides. Corresponde a 15% de todas as leucemias em pacientes adultos, com leve predominância no sexo masculino, e a idade média na apresentação é de 67 anos.

A LMC está associada à fusão de dois genes: o BCR (no cromossomo 22) e o ABL1 (no cromossomo 9), resultando no gene híbrido BCR-ABL1 (gene leucemia-específico). Essa fusão anormal geralmente resulta de uma translocação recíproca entre os cromossomos 9 e 22, que dá origem a um cromossomo anormal chamado cromossomo Philadelphia (Ph). Ou seja, esse cromossomo abriga o gene de fusão BCR-ABL1. E esse gene híbrido BCR-ABL1 é detectável pelo exame PCR (reação em cadeia da polimerase, do inglês polymerase chain reaction). O gene BCR-ABL1 resulta na formação de um produto gênico único, a proteína de fusão BCR-ABL1. Esta nova proteína possui atividade de tirosina quinase que participa do metabolismo celular e é responsável pela patogênese da LMC, induzindo a medula óssea a proliferar o clone de células mieloides malignas.

Em síntese, a LMC ocorre em três fases distintas: crônica, de transformação (ou acelerada) e blástica (ou aguda).

- Fase crônica: apresenta-se com leucocitose (excesso de leucócitos) e não há alteração significativa da medula óssea. Usualmente o diagnóstico é realizado nessa fase e, em pacientes não tratados, ela progride para uma fase mais avançada em 3 a 5 anos.

- Fase acelerada ou de transformação: caracterizada por uma perda progressiva da diferenciação celular.

A característica clínica da LMC é a produção descontrolada de granulócitos (um tipo de célula de defesa) maduros e em maturação, predominantemente neutrófilos, mas também basófilos e eosinófilos. Na ausência de tratamento, a LMC tem um curso clínico trifásico ou bifásico à medida que progride de uma fase crônica para uma fase acelerada e

uma crise blástica terminal. Algumas vezes passa da fase crônica diretamente para a crise blástica, principalmente quando a fase blástica é linfoide.

O diagnóstico da LMC é feito pela demonstração da presença do cromossomo Philadelphia (22q-) com presença de translocação t (9;22) (q34;q11) e/ou rearranjo BCR-ABL, identificado por um exame de citogenética, FISH ou método molecular, em pacientes com leucocitose (e ocasionalmente trombocitemia) persistente.

A leucemia mieloide crônica (LMC) é caracterizada pela presença do gene de fusão BCR-ABL1, cuja proteína tirosina quinase é o alvo dos ITKs. A falha ao tratamento com ITKs de primeira (imatinibe) e segunda geração (dasatinibe) ocorre em até 30% dos pacientes, por resistência ou intolerância.

A LMC não é uma doença curável com a terapia medicamentosa, sendo o transplante de medula óssea (TMO) alogênico (aparentado ou não aparentado) a única modalidade curativa de tratamento, por induzir remissão molecular com a eliminação dos transcritos BCR-ABL. Na LMC em fase crônica, o tratamento de escolha consiste em utilizar inicialmente um inibidor de tirosina quinase (por exemplo, imatinibe, nilotinibe, dasatinibe) visando a bloquear a ativação da tirosina quinase aberrante. Está disponível no Brasil, para o tratamento inicial de pacientes em fase crônica, o inibidor da tirosinoquinase (ITQ) de primeira geração mesilato de imatinibe.

Segundo o atual Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para Leucemia Mieloide Crônica de 2020, os seguintes esquemas de tratamento são recomendados em caso de falha do tratamento de primeira linha:

- Falência ao Imatinibe em primeira linha: dasatinibe ou nilotinibe a depender do perfil de mutação e de segurança, esse último descrito acima.
- Em terceira linha (falência ou intolerância à 2 ITQs): qualquer dos inibidores restantes. Levar em consideração o perfil de resistência ou considerar o TMO alogênico. É importante ressaltar que os Centros de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) e Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) poderão utilizar de condutas padronizadas para terceira linha.
- Pacientes com mutação T315, em qualquer linha: considerar TMO alogênico.

Estudos que avaliaram ITQs de segunda geração (nilotinibe e dasatinibe) mostraram que eles promovem uma taxa maior de resposta precoce, sem impacto na sobrevida global.

Os estudos de seguimento de longo prazo, mais adequados, investigaram e comprovaram a segurança apenas para o imatinibe. Dessa forma, sugere-se iniciar o tratamento da LMC com o uso do imatinibe. Outros ITQs, isto é, ponatinibe, asciminibe são reservados para pacientes que demonstraram resistência aos outros ITQs ou com mutações específicas BCR::ABL1 (por exemplo, T315I).

Na doença avançada (fase acelerada/fase blástica), é também recomendado um ITQ de terceira geração, ponatinibe ou asciminibe, em vez de imatinibe; a seleção de um ITQ específico é orientada pela análise de mutação de BCR::ABL1, perfil de toxicidade e comorbidade.

A European Society for Medical Oncology (ESMO) e a National Comprehensive Cancer Network (NCCN) referem que a escolha do tratamento deve se basear na idade do paciente, no perfil clínico, como a presença de comorbidades, perfil de eventos adversos de cada medicamento e tolerabilidade do paciente. Assim, em primeira linha, independentemente do perfil de risco, o tratamento pode iniciar com imatinibe, nilotinibe, dasatinibe ou bosutinibe

### **Ponatinibe**

O Cloridrato de Ponatinibe é um agente antineoplásico, inibidor de proteína quinase do ABL e do mutante T315I de ABL, de terceira geração. O ponatinibe é um inibidor de tirosina quinase (ITK) de terceira geração, altamente potente contra a proteína BCR-ABL1 e suas mutações, incluindo a mutação T315I, conhecida por conferir resistência a outros ITKs.

O principal estudo do uso de Cloridrato de Ponatinibe na Leucemia Mieloide Crônica que levou à sua aprovação em 2012 pela Food and Administration (FDA) veio do ensaio clínico PACE. Trata-se de um trial de fase 2, que avaliou a eficácia e a segurança do ponatinibe em uma dose inicial de 45 mg, uma vez ao dia, em 449 pacientes com LMC ou LLA cromossômica positiva resistente/intolerante ao dasatinibe ou nilotinibe ou com mutação BCR - ABL1T315I. O tempo médio de resposta entre os pacientes e as respostas mais duráveis foram entre os pacientes em fase crônica, sendo que 46% deles apresentaram resposta citogenética completa. As taxas de resposta foram maiores em pacientes expostos a menos ITQs anteriores e naqueles com menor duração da doença. Os eventos adversos mais comuns emergentes ao tratamento foram erupção cutânea (47%), dor abdominal (46%), trombocitopenia (46%), dor de cabeça (43%), pele seca (42%) e constipação (41%). A incidência cumulativa de eventos adversos em pacientes com LMC-fase crônica aumentou ao longo do tempo para 31%, enquanto a incidência ajustada pela exposição de novos eventos adversos (15,8 e 4,9 por 100 pacientes-ano nos anos 1 e 5, respectivamente) não aumentou ao longo do tempo. Esses resultados do PACE demonstram que o ponatinibe fornece respostas duráveis e clinicamente significativas, independentemente da redução de dose, nessa população de pacientes com leucemia mieloide crônica – fase crônica (LMCFC) previamente tratados. A sobrevida livre de progressão (SLP) em 3 anos foi de 73% e a sobrevida global (SG) de 86%, destacando a durabilidade do efeito terapêutico.

Em 2016, no The Lancet Oncology, foi publicado um estudo randomizado, aberto, fase 3, desenvolvido para avaliar a eficácia e segurança do ponatinibe, comparado ao imatinibe, em pacientes recém-diagnosticados com LMC-FC. Trezentos e sete pacientes foram aleatoriamente randomizados para receber ponatinibe ou imatinibe. O estudo foi encerrado precocemente, após preocupações com eventos adversos vasculares observados em pacientes que receberam ponatinibe em outros estudos. A eficácia do tratamento com ponatinibe na leucemia mieloide crônica em fase crônica recentemente diagnosticada comparado ao imatinibe não pôde ser avaliado devido ao término do estudo, mas dados preliminares sugerem que pode haver benefício, embora com mais eventos oclusivos arteriais do que com imatinibe, nas doses estudadas.

A administração do ponatinibe requer monitoramento rigoroso, especialmente quanto ao risco de eventos arteriais trombóticos, sendo recomendada individualização da dose conforme a resposta e tolerabilidade.

Diretrizes como as da NCCN (2025) e da ELN (2023) colocam o ponatinibe como a principal opção terapêutica em pacientes com falha a múltiplos ITKs e sem viabilidade de transplante, considerando seu perfil único de ação e eficácia superior em contextos de resistência avançada.

Em uma publicação de um pequeno estudo em um Congresso de Hematologia em 2017, disponível na Cochrane Library, os autores coletaram dados relacionados ao uso do ponatinibe de segunda linha em pacientes com LMC em 22 pacientes. Quarenta e um por cento dos pacientes iniciaram o ponatinibe por resistência secundária, 36% por resistência primária, 14% por intolerância grave associada a um medicamento anterior e 9% por mutação T315I. Em relação à segurança, nenhum paciente apresentou eventos trombóticos vasculares. Os efeitos colaterais comuns registrados foram aumento da lipase (2 pacientes), hipertensão (3 pacientes) e erupção cutânea (5 pacientes). Os autores concluíram que o ponatinibe parece uma segunda opção válida de tratamento para LMC, em particular para pacientes que falharam em um ITQ de segunda geração.

## **6.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

Melhora da sobrevida global e da sobrevida livre de progressão de doença.

## **6.3. Parecer**

- (  ) Favorável  
(  ) Desfavorável

## **6.4. Conclusão Justificada:**

A paciente em questão apresenta leucemia mieloide crônica refratária, tendo falhado ao tratamento com imatinibe e dasatinibe, os quais constituem as primeiras linhas terapêuticas no manejo da LMC. Devido à sua idade avançada e presença de comorbidades,

não possui condições clínicas para realização de transplante alogênico de medula óssea, que seria uma alternativa potencialmente curativa.

O ponatinibe, por sua vez, é um ITK de terceira geração com eficácia comprovada em pacientes refratários ou intolerantes a múltiplos ITKs, incluindo aqueles com mutações altamente resistentes como T315I. A ausência de opções terapêuticas no SUS com perfil de eficácia comparável torna o ponatinibe a única alternativa viável para controle da doença nesta fase.

A não concessão do tratamento poderá resultar na progressão rápida da doença, levando a complicações hematológicas severas, risco aumentado de transformação blástica e mortalidade precoce. Do ponto de vista técnico, considerando as evidências científicas, a ausência de alternativas eficazes e a condição clínica da paciente, o NATJUS/SP é **favorável à concessão** do ponatinibe.

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”.

Observa-se que o financiamento de medicamentos oncológicos não se dá por meio dos Componentes da Assistência Farmacêutica. O Ministério da Saúde e as Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde não disponibilizam diretamente medicamentos contra o câncer. O fornecimento destes medicamentos ocorre por meio da sua inclusão nos procedimentos quimioterápicos registrados no subsistema APAC-SIA (Autorização de Procedimento de Alta Complexidade do Sistema de Informação Ambulatorial) do SUS, devendo ser oferecidos pelos hospitais credenciados no SUS e habilitados em Oncologia, sendo ressarcidos pelo Ministério da Saúde conforme o código do procedimento registrado na APAC.

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?  
( x ) SIM, com potencial risco de vida  
( ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função  
( ) NÃO

#### 6.5. Referências bibliográficas:

1. Cortes JE et al. Ponatinib in refractory Philadelphia chromosome–positive leukemias. *N Engl J Med*. 2013;369:1783–1796. doi:10.1056/NEJMoa1306494
2. Nicolini FE et al. Long-term follow-up of the phase 2 PACE trial: ponatinib in patients with CML. *Blood*. 2018;132(4):393–404. doi:10.1182/blood-2018-02-829423
3. NCCN Guidelines®: Chronic Myeloid Leukemia. Version 1.2025. <https://www.nccn.org>
4. ELN Recommendations. Management of CML. *Leukemia*. 2023.
5. UpToDate. Treatment of resistant CML. Atualizado em 2025.
6. ANVISA. Registro de ponatinibe. Consulta abril/2025.
7. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Leucemia Mielóide Crônica. CONITEC. Fevereiro 2020. Disponível online em : [http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2020/PCDT\\_Leucemia MieloidesCronicaAdulto\\_CP\\_02\\_2020.pdf](http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2020/PCDT_LeucemiaMieloidesCronicaAdulto_CP_02_2020.pdf)

#### 6.6. 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://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.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.

**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.

**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.

**Considerações NAT-Jus/SP:** A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

**Equipe NAT-Jus/SP**