

NOTA TÉCNICA Nº 3831/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000571-20.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 11/05/2026
- 1.4. Data da Resposta: 02/06/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 03/09/1973 – 52 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Mieloma Múltiplo IgG lambda – CID C90

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

Considerando que o NatJus se destina exclusivamente à análise da relação entre doença, medicamento, procedimento ou produto sob a perspectiva da Medicina Baseada em Evidências, deixamos de apreciar os quesitos que versem sobre circunstâncias particulares do caso concreto e passamos à emissão do parecer técnico, restrito aos limites de atuação deste núcleo, com base nas evidências científicas disponíveis.



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? |
|-----------------|--------------------------|--------------------|--------------------|--|-----------------------------|
| CAR-T anti-BCMA | Ciltacabtagene Autoleucl | 1123634370015 | NÃO | OUTRAS QUIOMOTERAPIAS CONFORME CACON E UNACON/ não consta no rol da ANS. | NÃO |

| Medicamento | Marca Comercial | Laboratório | Apresentação | PMVG | Dose | Custo Anual* |
|---|-----------------|---------------------------------|---|-----------------|------------|-----------------|
| CAR-T anti-BCMA | CARVYKI® | JANSSEN-CILAG FARMACÊUTICA LTDA | MÁX DE 1 X 10E8 CEL CAR-T X 1 BOLS INF X 30 ML OU 70 ML | R\$2136171,78 | Dose Única | R\$2.136.171,78 |
| CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO | | | | R\$2.136.171,78 | | |

* 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 MAIO/2026

4.3. Recomendações da CONITEC: Até o presente momento:

Não há incorporação do ciltacabtagene autoleucl ao SUS

Não há recomendação positiva da CONITEC para CAR-T em mieloma múltiplo

() RECOMENDADO (X) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

O paciente apresenta mieloma múltiplo recidivado/refratário, com evolução precoce após TMO autólogo e refratariedade após múltiplas linhas, incluindo VCD, VTD, VRD, manutenção com lenalidomida e posteriormente KDd. Esse histórico caracteriza doença multiexposta, com falha a inibidores de proteassoma, imunomoduladores e anticorpo anti-CD38, cenário associado a prognóstico desfavorável e baixa expectativa de resposta sustentada com novas combinações convencionais.

O ciltacabtagene autoleucel (cilta-cel) é uma terapia celular CAR-T anti-BCMA, produzida a partir de linfócitos T autólogos modificados para reconhecer o antígeno BCMA, expresso em células plasmocitárias malignas. O racional terapêutico é robusto, pois o BCMA é alvo altamente relevante no mieloma múltiplo, especialmente em doença recidivada/refratária após múltiplas classes terapêuticas.

A principal evidência inicial é o estudo CARTITUDE-1, ensaio clínico fase Ib/II, multicêntrico e aberto, que avaliou cilta-cel em pacientes com mieloma múltiplo fortemente pré-tratado. A população incluía pacientes previamente expostos às três principais classes terapêuticas. O estudo demonstrou taxa de resposta global próxima de 97–98%, com alta proporção de resposta completa/stringent complete response, além de elevada taxa de doença residual mínima negativa. Em seguimento prolongado, parte significativa dos pacientes manteve resposta duradoura após infusão única, resultado incomum em mieloma múltiplo multirrefratário.

O estudo CARTITUDE-4, ensaio fase III randomizado, comparou cilta-cel com terapias padrão em pacientes com mieloma múltiplo refratário à lenalidomida após 1 a 3 linhas prévias. O estudo confirmou superioridade do cilta-cel em sobrevida livre de progressão, profundidade de resposta e taxa de doença residual mínima negativa, reforçando que o benefício da tecnologia não se limita a estudos de braço único, mas também se mantém em comparação randomizada contra tratamentos convencionais. No caso concreto, a aplicabilidade é alta porque o paciente já recebeu tratamento com inibidores de proteassoma, imunomoduladores e anti-CD38, além de ter apresentado progressão precoce pós-TMO e refratariedade ao KDd, demonstrando doença biologicamente agressiva. Nesse contexto, as alternativas convencionais disponíveis tendem a apresentar baixa taxa de resposta, curta duração de benefício e toxicidade cumulativa relevante.

Do ponto de vista de segurança, o cilta-cel está associado a toxicidades específicas, principalmente síndrome de liberação de citocinas, neurotoxicidade/ICANS, citopenias prolongadas, infecções e hipogamaglobulinemia. Essas complicações exigem centro habilitado, equipe treinada, disponibilidade de suporte hospitalar e protocolos específicos de manejo, incluindo uso de tocilizumabe e corticosteroides quando indicado.

A principal limitação metodológica é que os estudos iniciais, como o CARTITUDE-1, foram não randomizados e realizados em centros altamente especializados, o que pode limitar a generalização para todos os contextos assistenciais. Além disso, no SUS, o tratamento apresenta barreiras relevantes: altíssimo custo, necessidade de infraestrutura complexa, logística de manufatura celular e ausência de incorporação formal. Apesar disso, a magnitude das respostas e os dados randomizados posteriores sustentam forte eficácia clínica.

Considerando o contexto brasileiro, a existência de protocolos de pesquisa clínica e estudos com CAR-T em mieloma múltiplo no Brasil é aspecto relevante. O encaminhamento para centros especializados e eventual inclusão em estudo clínico pode representar alternativa tecnicamente adequada, regulada e com menor impacto financeiro direto ao sistema público, sem negar o racional científico da terapia.

Em síntese, o ciltacabtagene autoleucel apresenta evidência consistente de elevada eficácia em mieloma múltiplo recidivado/refratário, com respostas profundas e potencialmente duradouras. Para este paciente, o tratamento é cientificamente fundamentado e clinicamente justificável, porém sua implementação no SUS deve considerar elegibilidade clínica, estrutura especializada, custo, logística e possibilidade de acesso por protocolos de pesquisa ativos.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

- Resposta profunda da doença
- Controle prolongado do mieloma
- Potencial prolongamento da sobrevida
- Negativação de doença residual mínima

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Paciente de 52 anos com diagnóstico de mieloma múltiplo recidivado/refratário, previamente submetido a múltiplas linhas terapêuticas, incluindo VCD, VTD, VRD, TMO autólogo com manutenção de lenalidomida e posteriormente KDd, evoluindo com progressão precoce pós-transplante e refratariedade terapêutica. O quadro caracteriza doença biologicamente agressiva, com prognóstico desfavorável e limitação importante das alternativas convencionais disponíveis no SUS.

As evidências científicas atuais, especialmente os estudos CARTITUDE-1 e CARTITUDE-4, demonstram que o ciltacabtagene autoleucel (cilta-cel) apresenta elevada eficácia em pacientes fortemente pré-tratados, promovendo altas taxas de resposta global, respostas profundas, negatização de doença residual mínima e prolongamento significativo da sobrevida livre de progressão. O perfil clínico do paciente é compatível com a população de maior benefício observada nesses estudos.

Entretanto, trata-se de tecnologia de altíssimo custo e elevada complexidade logística, ainda não incorporada ao SUS, exigindo centros especializados para coleta celular, manipulação genética, internação e manejo de complicações específicas da terapia CAR-T. Além disso, atualmente existem estudos clínicos e protocolos de pesquisa ativos no Brasil envolvendo terapia CAR-T para mieloma múltiplo, que podem representar alternativa tecnicamente adequada e mais racional para acesso à tecnologia.

Dessa forma, conclui-se que o uso de ciltacabtagene autoleucel é cientificamente fundamentado, tecnicamente indicado e clinicamente justificável neste caso. Contudo, considerando o contexto do SUS e a existência de protocolos de pesquisa disponíveis no país, recomenda-se prioritariamente avaliação para encaminhamento a centros especializados em terapia celular e inclusão em estudos clínicos ativos, quando possível.

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. Berdeja JG et al. Ciltacabtagene Autoleucel in Relapsed/Refractory Multiple Myeloma (CARTITUDE-1). Lancet, 2021
2. Martin T et al. Updated CARTITUDE-1 Results. Blood
3. NCCN Guidelines – Multiple Myeloma
4. ESMO Clinical Practice Guidelines – Multiple Myeloma
5. International Myeloma Working Group (IMWG) Recommendations

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://bvsmms.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.