

NOTA TÉCNICA Nº 4437/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000615-39.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 03/06/2026
- 1.4. Data da Resposta: 18/06/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 13/12/1956 – 69 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Sorocaba/SP
- 2.4. Histórico da doença: Leucemia Mielóide Aguda – CID C92.0

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?
VENETOCLAX 100mg- 1cp no Dia 1, 2cp no Dia 2, 4cp no Dia 3, 4cp a partir do 4º dia, durante 21 dias, pausar 7 dias e então começar novo ciclo.	Venetoclax	1986000140023	NÃO*	Dependente de protocolo do CACON e UNACON * Para tratamento da leucemia mieloide aguda, o SUS disponibiliza a quimioterapia padrão e o transplante de medula óssea.	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	Custo Anual*
VENETOCLAX	VENCLEXTA	ABBVIE FARMACÊUTICA LTDA.	100 MG COM REV CT FR PLAS OPC X 120	R\$31464,86	10 caixas	R\$314.648,60
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$314.648,60		

* 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: () RECOMENDADO (X) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

A associação de venetoclax e azacitidina representa atualmente um dos principais tratamentos para pacientes idosos ou ineligíveis à quimioterapia intensiva, embora ainda não esteja amplamente disponibilizada no SUS para todos os cenários de LMA refratária.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A paciente apresenta leucemia mieloide aguda (LMA) aos 69 anos, com doença refratária após múltiplas estratégias terapêuticas. Foi submetida ao protocolo intensivo 7+3, composto por citarabina e daunorrubicina, seguido de reindução e consolidação com citarabina. Posteriormente, recebeu tratamento de menor intensidade com POMP e citarabina subcutânea, mantendo-se sem resposta satisfatória. Esse cenário caracteriza LMA refratária, associada a prognóstico desfavorável e baixa probabilidade de resposta duradoura com repetição de quimioterapia convencional.

A associação de venetoclax com azacitidina possui racional biológico consistente. O venetoclax é um inibidor seletivo da proteína BCL-2, que atua bloqueando um dos principais mecanismos de sobrevivência das células leucêmicas. A azacitidina, por sua vez, é um agente hipometilante com ação epigenética e citotóxica sobre clones mieloides. A combinação das duas drogas potencializa apoptose das células leucêmicas e aumenta a atividade antileucêmica em comparação ao uso isolado de hipometilante.

A principal evidência clínica vem do estudo VIALE-A, ensaio clínico fase III randomizado que comparou venetoclax + azacitidina versus azacitidina isolada em pacientes com LMA recém-diagnosticada ineligíveis à quimioterapia intensiva. O estudo demonstrou aumento significativo das taxas de remissão completa, maior profundidade de resposta e ganho de sobrevida global no grupo tratado com a combinação. Embora o estudo tenha sido conduzido em primeira linha para pacientes ineligíveis à terapia intensiva, seus resultados consolidaram a combinação como uma das principais opções em pacientes idosos ou sem condição de tratamento intensivo.

No contexto de LMA recidivada ou refratária, a evidência é composta principalmente por estudos retrospectivos, séries clínicas e dados de vida real. Esses estudos demonstram que venetoclax associado a hipometilantes pode induzir respostas hematológicas mesmo em pacientes previamente tratados, incluindo aqueles expostos a quimioterapia intensiva e esquemas de baixa intensidade. A taxa de resposta nesse cenário é inferior à observada em primeira linha, mas ainda clinicamente relevante diante da escassez de alternativas eficazes.

A aplicabilidade ao caso é elevada, pois a paciente já recebeu tratamento intensivo, reindução, consolidação e terapias de baixa intensidade, sem controle adequado da doença. A repetição de citarabina, antracíclico ou esquemas similares tende a apresentar baixa chance de benefício e alta toxicidade, especialmente em paciente idosa e previamente exposta a múltiplas linhas. A combinação venetoclax-azacitidina oferece mecanismo distinto e potencial de resposta mesmo em doença refratária.

Do ponto de vista de segurança, os principais eventos adversos da combinação incluem neutropenia prolongada, trombocitopenia, anemia, infecções graves, neutropenia

febril, fadiga, náuseas, diarreia e risco de síndrome de lise tumoral. Por esse motivo, o tratamento exige monitorização rigorosa, profilaxia anti-infecciosa conforme risco, avaliação frequente de hemograma, ajuste de duração do venetoclax conforme citopenias e suporte transfusional.

Apesar das toxicidades, o perfil da combinação é geralmente mais aceitável que nova quimioterapia intensiva em pacientes idosos ou previamente tratados. Além disso, a azacitidina isolada ou cuidados exclusivamente paliativos tendem a oferecer menor probabilidade de remissão e menor controle da doença nesse contexto de refratariedade.

As diretrizes internacionais, como NCCN, ELN e ESMO, reconhecem esquemas contendo venetoclax e agentes hipometilantes como opções relevantes para pacientes com LMA idosos, frágeis ou ineligíveis a quimioterapia intensiva, e também como alternativa em cenários selecionados de doença recidivada/refratária quando não há opção curativa viável.

A principal limitação metodológica é que o maior estudo randomizado, o VIALE-A, avaliou pacientes sem tratamento prévio e ineligíveis à quimioterapia intensiva, não exatamente pacientes já refratários a múltiplas linhas. Entretanto, considerando a falha terapêutica ampla da paciente, a ausência de alternativa convencional eficaz e os dados favoráveis de estudos de vida real, a indicação é clinicamente plausível e tecnicamente fundamentada.

Em síntese, a associação venetoclax + azacitidina representa uma estratégia com mecanismo distinto, evidência robusta em LMA do idoso/ineligível à terapia intensiva e evidência adicional em doença refratária. No presente caso, diante da ausência de resposta aos tratamentos já realizados, o tratamento solicitado é cientificamente fundamentado e clinicamente justificável.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

- Controle da progressão da LMA;
- Redução da carga leucêmica;
- Maior probabilidade de remissão hematológica;
- Potencial prolongamento da sobrevida;
- Redução da dependência transfusional;
- Melhora da qualidade de vida.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

A paciente apresenta leucemia mieloide aguda refratária após exposição às principais estratégias terapêuticas convencionais disponíveis, incluindo indução intensiva com 7+3, reindução, consolidação com citarabina e tratamento subsequente de baixa intensidade com POMP e citarabina subcutânea.

A persistência da doença após múltiplas linhas terapêuticas caracteriza cenário de elevado risco, associado a baixa probabilidade de resposta às terapias convencionais remanescentes e pior prognóstico.

As evidências científicas demonstram que a associação de venetoclax e azacitidina possui mecanismo de ação complementar e capacidade de promover respostas hematológicas significativas, inclusive em pacientes idosos e com doença resistente aos tratamentos prévios.

Considerando a ausência de resposta aos tratamentos realizados, a inexistência de alternativas convencionais com eficácia comparável, o respaldo das principais diretrizes internacionais e o potencial benefício clínico da combinação solicitada, conclui-se que o uso de venetoclax associado à azacitidina é tecnicamente indicado, cientificamente fundamentado e clinicamente justificável.

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.

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.
3. ELN Recommendations for AML.
4. ESMO Clinical Practice Guidelines – AML.
5. ASH 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://bvsm.sau.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.

NOTA TÉCNICA Nº 4189/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000615-39.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 26/05/2026
- 1.4. Data da Resposta: 02/06/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 13/12/1956 – 69 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Sorocaba/SP
- 2.4. Histórico da doença: Leucemia Mielóide Aguda – CID C92.0

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?
AZACITIDINA - 145mg por 7 dias, a cada 4 semanas, até progressão de doença ou toxicidade inaceitável.	Azacitidina	1514300960023	NÃO	Dependente de protocolo do CACON e UNACON*	AMBOS

* 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	Custo Anual*
AZACITIDINA	WINDUZA	DR. REDDYS FARMACÊUTICA DO BRASIL LTDA	150 MG PO LIOF SUS INJ SC CT FA VD TRANS	R\$2570,82	145mg por 7 dias, a cada 4 semanas, até progressão de doença ou toxicidade inaceitável.	R\$233.944,62
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO					R\$233.944,62	

* 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: A CONITEC já avaliou agentes hipometilantes em doenças mieloides, incluindo síndromes mielodisplásicas e leucemia mieloide aguda em pacientes idosos ou ineligíveis à quimioterapia intensiva. Embora existam limitações relacionadas a: custo elevado, impacto orçamentário, necessidade de uso prolongado, a eficácia clínica da azacitidina em pacientes idosos e/ou frágeis com LMA é amplamente reconhecida em diretrizes internacionais.

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

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A paciente apresenta leucemia mieloide aguda (LMA), aos 69 anos, inelegível ao transplante de medula óssea, já submetida a múltiplas estratégias terapêuticas, incluindo indução 7+3 com citarabina e daunorrubicina, reindução, consolidação com citarabina, além de quimioterapia de baixa intensidade com POMP e citarabina subcutânea, sem obtenção de resposta satisfatória. A persistência de doença residual mínima positiva indica manutenção de clone leucêmico viável e está associada a elevado risco de recaída morfológica, progressão hematológica e pior sobrevida.

A azacitidina é um agente hipometilante com ação epigenética e citotóxica sobre clones mieloides neoplásicos. Seu uso é particularmente relevante em pacientes idosos, frágeis ou inelegíveis a transplante, nos quais novas quimioterapias intensivas apresentam elevada toxicidade e baixa probabilidade de benefício sustentado. No caso apresentado, a paciente já recebeu tratamento intensivo e baixa intensidade sem controle adequado, tornando racional o uso de terapia modificadora de doença com perfil de tolerabilidade mais favorável.

A principal evidência em LMA de pacientes idosos é o estudo AZA-AML-001, ensaio clínico fase III randomizado que comparou azacitidina com regimes convencionais de cuidado, incluindo suporte clínico, citarabina em baixa dose ou quimioterapia intensiva, em pacientes idosos com LMA. O estudo demonstrou benefício clínico da azacitidina em sobrevida global, controle da doença e tolerabilidade, especialmente em comparação a estratégias de baixa intensidade ou suporte isolado. Embora nem todos os pacientes alcancem remissão completa, a azacitidina pode promover estabilização hematológica, redução da carga leucêmica e atraso da progressão.

Em doenças mieloides de alto risco e LMA com menor tolerância a terapias intensivas, a azacitidina demonstrou benefício também em estudos derivados de síndrome mielodisplásica de alto risco, como o AZA-001, que mostrou aumento de sobrevida global, redução da transformação leucêmica e melhora hematológica quando comparada a cuidados convencionais. Essa evidência é relevante porque muitos casos de LMA em idosos compartilham biologia próxima às neoplasias mieloides de alto risco, especialmente em contextos de falência medular e persistência clonal.

No cenário específico de doença residual mínima positiva, a evidência é mais heterogênea, mas o racional é consistente: a presença de DRM positiva após tratamento intensivo indica alto risco de recaída, e terapias hipometilantes podem atuar como estratégia de controle clonal em pacientes não candidatos ao transplante. A azacitidina, nesse contexto, não deve ser entendida como terapia curativa, mas como tratamento de controle, com objetivo de reduzir progressão, manter estabilidade hematológica e postergar recaída franca.

Comparativamente às alternativas disponíveis, a paciente já recebeu indução intensiva, reindução, consolidação e terapias de baixa intensidade, sem resposta satisfatória. A repetição de quimioterapia intensiva tende a apresentar risco elevado de toxicidade, infecção, aplasia prolongada e mortalidade relacionada ao tratamento, especialmente em paciente de 69 anos e inelegível ao TMO. O suporte isolado, por sua vez, não modifica a história natural da doença.

Do ponto de vista de segurança, a azacitidina pode causar neutropenia, trombocitopenia, anemia, infecções, fadiga, náuseas, constipação, diarreia e reações locais de aplicação. Essas toxicidades exigem monitorização, suporte transfusional e manejo infeccioso, mas costumam ser mais manejáveis do que nova quimioterapia intensiva. A resposta pode demandar vários ciclos, geralmente de 4 a 6 ciclos, salvo progressão inequívoca ou toxicidade limitante.

Assim, a aplicabilidade ao caso é elevada: trata-se de paciente com LMA, inelegível ao transplante, com falha a múltiplas estratégias terapêuticas e persistência de DRM positiva. A azacitidina representa opção tecnicamente adequada, com respaldo em estudos de LMA do idoso e neoplasias mieloides de alto risco, oferecendo possibilidade de controle da doença com menor intensidade terapêutica.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

- Controle da doença residual
- Retardamento da progressão leucêmica
- Prolongamento da sobrevida
- Estabilização hematológica
- Potencial redução da carga leucêmica residual

6. Conclusão

6.1. Parecer

Favorável

Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

A paciente apresenta LMA em contexto de alto risco, com ausência de resposta satisfatória após múltiplas terapias, incluindo indução intensiva 7+3, reindução, consolidação com citarabina e esquemas de baixa intensidade. A persistência de doença residual mínima positiva demonstra manutenção de doença ativa em nível subclínico, com elevado risco de progressão hematológica.

Por ser inelegível ao transplante, a paciente não dispõe de estratégia curativa consolidada, e a repetição de quimioterapia intensiva apresenta baixa probabilidade de

benefício e risco elevado de toxicidade. Nesse cenário, a azacitidina surge como alternativa racional, de menor intensidade, com potencial de controle clonal e estabilização da doença.

As evidências disponíveis demonstram que a azacitidina pode prolongar sobrevida e controlar a evolução da doença em pacientes idosos ou inelegíveis a terapias intensivas, especialmente em neoplasias mieloides de alto risco. Embora não seja tratamento curativo, é uma opção clinicamente apropriada após falha das estratégias convencionais.

Dessa forma, conclui-se que o uso de azacitidina é tecnicamente indicado, cientificamente fundamentado e clinicamente justificável no presente caso.

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?

() SIM, com potencial risco de vida

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

() NÃO

7. Referências bibliográficas

1. Dombret H et al. Azacitidine Compared with Conventional Care Regimens in Elderly Patients with Newly Diagnosed AML (AZA-AML-001). Blood
2. Fenaux P et al. Azacitidine in Higher-Risk Myelodysplastic Syndromes and AML. Lancet Oncology
3. NCCN Guidelines – Acute Myeloid Leukemia
4. ELN Recommendations – AML
5. ESMO Clinical Practice Guidelines – AML

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.sau.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.