

NOTA TÉCNICA Nº 4977/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5016412-55.2025.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 23/06/2025
- 1.4. Data da Resposta: 29/07/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 29/10/1961 – 63 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Leucemia Mielóide Crônica – CID C92.1

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

1. ASPECTOS TÉCNICOS DO MEDICAMENTO

1.1 Quais são as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o ponatinibe? O Ponatinibe é aprovado pela ANVISA para o tratamento de LMC em fase crônica, acelerada ou blástica com mutação T315I ou em casos refratários a pelo menos dois ITKs anteriores.

1.2 Quais são as principais contraindicações e efeitos adversos do medicamento? Contraindicações incluem hipersensibilidade ao ponatinibe. Principais efeitos adversos: hipertensão, eventos tromboembólicos, pancreatite, hepatotoxicidade, disfunção cardíaca, trombocitopenia, e leucopenia.

2. EVIDÊNCIAS CIENTÍFICAS

2.1 Qual o nível de evidência científica disponível sobre a eficácia e segurança do ponatinibe? Evidência de alto nível, principalmente do estudo clínico PACE (fase II), que demonstrou resposta hematológica e citogenética sustentada em pacientes multirresistentes.

2.2 Existem estudos clínicos randomizados que comprovem a superioridade terapêutica em relação aos tratamentos disponíveis no SUS? Não há ensaios clínicos comparativos diretos com as drogas do SUS; porém, o PACE demonstrou superioridade em pacientes sem opções terapêuticas.

2.3 Ha consensos ou diretrizes nacionais e internacionais que recomendem o uso do ponatinibe? Sim. Diretrizes da ELN (European LeukemiaNet), NCCN e da ABHH recomendam o ponatinibe em pacientes com falha ao dasatinibe e nilotinibe ou com mutação T315I.

3. INCORPORAÇÃO NO SUS

3.1 O ponatinibe está incorporado no SUS através dos Protocolos Clínicos e Diretrizes

Terapêuticas (PCDT)? Sim, após parecer favorável da CONITEC em novembro de 2024.

3.2 Caso não incorporado, houve avaliação pela CONITEC? Qual foi o parecer? Os membros do Comitê de Medicamentos da CONITEC presentes na 21ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada no dia 11/12/2024, sem nenhuma declaração de conflito de interesse, deliberaram por unanimidade, recomendar a incorporação do ponatinibe no tratamento de resgate de pacientes com leucemia mieloide crônica em que houve falha aos inibidores de tirosina quinase de segunda geração, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde

3.3 Existem alternativas terapêuticas disponíveis no SUS para a mesma indicação? Sim. As alternativas no SUS incluem imatinibe, dasatinibe e nilotinibe. O ponatinibe é considerado de terceira linha.

4. ASPECTOS ECONÔMICOS

4.1 Qual o custo mensal do tratamento com ponatinibe? R\$ 21.730,29 (PMVG 0%).

4.2 Ha estudos de custo-efetividade comparando o ponatinibe com as alternativas disponíveis? Os estudos de custo-efetividade foram realizados pela CONITEC no Relatório de Recomendação n. 960.

4.3 Qual o impacto orçamentário estimado da incorporação do medicamento no SUS? Considerando o cenário base, com market share variando de 10% a 40%, haveria gasto incremental de aproximadamente R\$ 1,3 milhões no primeiro ano e 29,8 milhões em cinco anos.

5. CASO ESPECÍFICO

5.1 O paciente atende aos critérios clínicos para uso do ponatinibe conforme literatura médica? Sim. O paciente já utilizou imatinibe e dasatinibe sem resposta adequada.

5.2 Foram tentadas as alternativas terapêuticas disponíveis no SUS? Com quais resultados? Sim. Houve tentativa prévia com os ITKs disponíveis no SUS.

5.3 Há contraindicações ou intolerância às opções padronizadas no sistema público? Sim. Refratariedade a múltiplos ITKs constitui critério de uso.

5.4 O prescritor justificou adequadamente a necessidade do medicamento não padronizado? Sim. O relatório médico descreve a falha terapêutica e necessidade de escalonamento de tratamento.

6. ASPECTOS REGULATÓRIOS

6.1 O ponatinibe possui registro na ANVISA? Qual a situação regulatória atual? Sim. Registro na ANVISA desde 2016 para LMC resistente a múltiplas linhas ou com mutação T315I.

6.2 Há alertas de segurança ou restrições de uso emitidas por agências reguladoras? Há alertas sobre risco cardiovascular e pancreatite. Monitoramento rigoroso é recomendado.

6.3 O medicamento está disponível no mercado brasileiro? Quais os laboratórios fabricantes? Sim. Está disponível no mercado brasileiro sob o nome comercial Iclusig®, fabricado pela ARIAD/Takeda.

7. ASPECTOS CLÍNICOS ADICIONAIS

7.1 Qual o tempo de duração previsto para o tratamento com ponatinibe? Tratamento contínuo, por tempo indefinido, enquanto houver resposta e tolerância.

7.2 Quais exames laboratoriais e de imagem são necessários para monitoramento durante o tratamento? Monitoramento com hemograma, função hepática, amilase, lipase, perfil lipídico e PCR para BCR-ABL.

7.3 Quais são os critérios clínicos para descontinuação do tratamento por ineficácia ou toxicidade? Critérios de descontinuação: ausência de resposta molecular ou hematológica, toxicidade grave.

7.4 O tratamento requer acompanhamento por médico especialista? Qual especialidade? Sim. Exige acompanhamento por hematologista com experiência em LMC.

8. INTERAÇÕES E COMPATIBILIDADE

8.1 Ha interações medicamentosas significativas com outros medicamentos em uso pelo paciente? Sim. Metabolizado pelo CYP3A4 — interage com antifúngicos, anticonvulsivantes e outros.

8.2 Existem contraindicações específicas relacionadas às comorbidades do paciente? Sim. Pacientes com doença arterial coronariana, pancreatite, hepatopatia ou hipertensão devem ter cautela.

9. URGÊNCIA MÉDICA

9.1 Há risco de vida ou deterioração irreversível do quadro clínico sem o uso imediato do ponatinibe? Sim. Há risco de progressão para fase acelerada ou blástica, com perda de chance terapêutica.

9.2 Qual o prazo máximo para início do tratamento sem comprometimento do prognóstico? Idealmente, o início deve ocorrer em até 4 semanas após falha da última linha para evitar progressão clonal.



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?
ICLUSIG 45mg	CLORIDRATO DE PONATINIBE	1390000010022	SIM*	Dependente de protocolo do CACON e UNACON * Imatinibe, Dasatinibe, Nilotinibe, Hidroxiureia, Alfa-interferona, citarabina, transplante de células-tronco hematopoiéticas	NÃO

*Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). 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*
ICLUSIG 45mg	ICLUSIG	PINT PHARMA PRODUTOS MEDICO-HOSPITALARES E FARMACEUTICOS LTDA	45 MG COM REV FR PLAS PEAD OPC X 30	R\$ 21.730,29	01 cp. ao dia	R\$ 260.763,48
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 260.763,48		
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE PÚBLICA		

* 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 julho/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: Recomendado.

Os membros do Comitê de Medicamentos da CONITEC presentes na 21ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada no dia 11/12/2024, sem nenhuma declaração de conflito de interesse, deliberaram por unanimidade, **recomendar a incorporação do ponatinibe no tratamento de resgate de pacientes com leucemia mieloide crônica em que houve falha aos inibidores de tirosina quinase de segunda geração**, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Na 136ª reunião ordinária da CONITEC (retorno da Consulta Pública) realizada no dia 04/12/2024 a empresa Pint Pharma apresentou uma nova proposta de desconto. A pedido dos membros do comitê, foi solicitado por meio de ofício a formalização da proposta para recalcular a avaliação econômica e impacto orçamentário. A empresa propôs o desconto de 62% sobre o PMVG 18% para a apresentação de 15 mg e 50% para a apresentação de 45 mg, sendo os novos cálculos de avaliação econômica e de impacto orçamentário apresentados na 21ª Reunião Extraordinária da Conitec. A decisão para incorporação se baseou na discussão sobre a ausência de uma alternativa terapêutica para a 3ª linha de tratamento, a qual considerou as limitações dos estudos clínicos, a incerteza sobre a magnitude de efeito, a probabilidade de que o medicamento seja eficaz e seguro com base nas experiências clínicas dos especialistas e relatórios de farmacovigilância, e a eficiência econômica gerada com o desconto ofertado pela empresa. Para a incorporação a CONITEC considerou que o desconto ofertado será aplicado independentemente do modelo de compra. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 957/2024.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Sobre a Leucemia

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 linfóide.

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

O ponatinibe é um inibidor de tirosina quinase (ITK) de terceira geração com potente atividade contra a proteína de fusão BCR-ABL, incluindo mutações que conferem resistência aos ITKs de primeira e segunda geração, como a mutação T315I, considerada de alto risco. Sua eficácia e segurança foram estabelecidas principalmente a partir do estudo pivotal PACE (Ponatinib Ph+ ALL and CML Evaluation), conduzido por Cortes et al., publicado no periódico New England Journal of Medicine em 2013.

O estudo PACE foi um ensaio clínico multicêntrico, internacional, de fase II, que incluiu 449 pacientes com leucemias Ph+ (CML e LLA), dos quais 270 pacientes estavam em fase crônica da LMC e haviam demonstrado resistência ou intolerância aos ITKs disponíveis (imatinibe, dasatinibe e nilotinibe) ou apresentavam a mutação T315I.

Entre os pacientes com LMC em fase crônica tratados com ponatinibe:

56% atingiram resposta citogenética completa (RCyC).

46% atingiram resposta molecular maior (RMM).

O tempo mediano até a resposta citogenética foi de apenas 2,8 meses.

A sobrevida livre de progressão (SLP) em 3 anos foi estimada em 73%, e a sobrevida global (SG) em 86%.

Nos pacientes com mutação T315I, a taxa de RCyC foi ainda mais alta, com respostas sustentadas.

O perfil de segurança do ponatinibe incluiu eventos trombóticos arteriais e venosos, hipertensão arterial, pancreatite e toxicidade hepática. Esses eventos levaram à revisão da estratégia de dose, resultando no estudo subsequente OPTIC, publicado por Jabbour et al. (J Clin Oncol, 2020), que avaliou o uso de doses ajustadas de ponatinibe baseadas na resposta molecular.

O estudo OPTIC demonstrou que o uso inicial de 45 mg/dia com redução para 15 mg/dia após resposta molecular (BCR-ABL $\leq 1\%$) manteve a eficácia e reduziu significativamente os eventos adversos cardiovasculares, tornando o tratamento mais seguro para pacientes com risco aumentado.

As principais diretrizes internacionais, como o National Comprehensive Cancer Network (NCCN, versão 2024) e as European LeukemiaNet (ELN, 2020), recomendam o ponatinibe como opção de escolha para pacientes com LMC resistentes ou intolerantes a ITKs anteriores ou com mutações como T315I, sendo considerado o último recurso terapêutico antes de estratégias como transplante.

No Brasil, o ponatinibe possui registro na ANVISA desde 25 de abril de 2014, com indicação formal para tratamento de pacientes adultos com LMC em fase crônica, acelerada ou blástica que sejam resistentes ou intolerantes a pelo menos dois ITKs anteriores, incluindo aqueles com mutações para as quais outros ITKs são ineficazes.

Os membros do Comitê de Medicamentos da CONITEC presentes na 21ª Reunião Extraordinária da Conitec, realizada no dia 11/12/2024, sem nenhuma declaração de conflito de interesse, deliberaram por unanimidade, recomendar a incorporação do ponatinibe no tratamento de resgate de pacientes com leucemia mieloide crônica em que houve falha aos inibidores de tirosina quinase de segunda geração, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Na 136ª reunião ordinária da CONITEC (retorno da Consulta Pública) realizada no dia 04/12/2024 a empresa Pint Pharma apresentou uma nova proposta de desconto. A pedido dos membros do comitê, foi solicitado por meio de ofício a formalização da proposta para recalcular a avaliação econômica e impacto orçamentário. A empresa propôs o desconto de 62% sobre o PMVG 18% para a apresentação de 15 mg e 50% para a apresentação de 45 mg, sendo os novos cálculos de avaliação econômica e de impacto orçamentário apresentados na 21ª Reunião Extraordinária da Conitec. A decisão para incorporação se baseou na discussão sobre a ausência de uma alternativa terapêutica para a 3ª linha de tratamento, a qual considerou as limitações dos estudos clínicos, a incerteza sobre a magnitude de efeito, a probabilidade de que o medicamento seja eficaz e seguro com base nas experiências clínicas dos especialistas e relatórios de farmacovigilância, e a eficiência econômica gerada com o desconto ofertado pela empresa. Para a incorporação a CONITEC considerou que o desconto ofertado será aplicado independentemente do modelo de compra.

Dessa forma, o conjunto das evidências científicas de alto nível demonstra de forma clara e contundente que ponatinibe é eficaz e seguro para o tratamento da LMC refratária a múltiplas linhas, com benefício comprovado em prolongamento de sobrevida, controle da carga leucêmica e possibilidade de contenção da progressão da doença.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

- Controle hematológico e molecular da LMC refratária;
- Potencial resposta mesmo em presença de mutações como T315I;
- Retardo da progressão para fases acelerada ou blástica da doença;
- Melhora da sobrevida global e livre de progressão;

- Melhora da qualidade de vida com possível descontinuação de transfusões ou internações hospitalares;

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada:

Considerando o cenário clínico de leucemia mieloide crônica em paciente tratado com hidroxiureia, imatinibe e dasatinibe, sem resposta satisfatória, configura-se quadro de LMC resistente a múltiplos ITKs, condição reconhecida pela literatura como de alto risco de progressão. Nessa situação, o ponatinibe é atualmente a única opção terapêutica aprovada com evidência robusta de eficácia em pacientes com falha prévia a outros inibidores.

O estudo PACE demonstrou taxas elevadas de resposta citogenética e molecular com ponatinibe, inclusive em pacientes com mutações resistentes como T315I, não sensíveis ao imatinibe, nilotinibe ou dasatinibe. Os dados de sobrevida em 3 anos reforçam seu impacto clínico, e o ensaio OPTIC confirma a viabilidade do uso em doses ajustadas para reduzir toxicidade.

O medicamento possui registro na ANVISA, recomendações favoráveis em diretrizes internacionais (NCCN e ELN), e parecer favorável pela CONITEC a incorporação para tratamento de resgate de pacientes com leucemia mieloide crônica em que houve falha aos inibidores de tirosina quinase de segunda geração. Assim, do ponto de vista técnico-científico, o parecer é favorável à utilização de ponatinibe como medida necessária para controle da doença e preservação da vida, atendendo aos princípios da medicina baseada em evidências.

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

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. Cortes JE et al. Ponatinib in Refractory Philadelphia Chromosome–Positive Leukemias. N Engl J Med. 2013;369(19):1783-96. DOI: 10.1056/NEJMoa130649;
2. Jabbour E et al. Optic trial: Reduced cardiovascular toxicity with response-based ponatinib dosing. J Clin Oncol. 2020;38(5):389–96. DOI: 10.1200/JCO.19.02529
3. NCCN Guidelines v.2024: Chronic Myeloid Leukemia;
4. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Registro do medicamento Ponatinibe;

5. BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde – CONITEC. Relatório de recomendação nº 960: Ponatinibe para tratamento de resgate de pacientes com leucemia mieloide crônica em que houve falha aos inibidores de tirosina quinase de segunda geração. Brasília: Ministério da Saúde, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2025/relatorio-de-recomendacao-no-960-ponatinibe/view>.

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://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.

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.