

## **NOTA TÉCNICA Nº 5049/2025 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000737-25.2025.4.03.6109
- 1.3. Data da Solicitação: 24/06/2025
- 1.4. Data da Resposta: 30/07/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 31/07/1942 – 82 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Rio Claro/SP
- 2.4. Histórico da doença: Leucemia Mieloide Aguda – CID C92

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

#### 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?
<b>VENETOCLAX 100mg</b>	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
<b>DECITABINA 34mg</b>	DECITABINA	1468200690019		Dependente de protocolo do CACON e UNACON *	SIM

\* 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*
<b>VENETOCLAX 100mg</b>	VENCLEXTA	ABBVIE FARMACÊUTICA LTDA.	100 MG COM REV CT FR PLAS OPC X 120	R\$ 31.113,29	120 cp. ao mês	R\$ 373.359,48
<b>DECITABINA 34mg</b>	DECITABINA	SUN FARMACÊUTICA DO BRASIL LTDA.	50 MG PÓ LIOF SOL INJ IV CT FA VD TRANS + DIL FA VD TRANS X 10 ML	R\$ 3.268,01	30 doses	R\$ 98.040,30
<b>CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO</b>				<b>R\$ 471.399,78</b>		
<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.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência julho/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: Não avaliado.

Em 2019 houve pedido de análise para incorporação do venetoclax em combinação com azacitidina para tratamento de pacientes recém diagnosticados com leucemia mieloide aguda inelegíveis à quimioterapia intensiva, porém o processo foi encerrado a pedido do demandante.

## **5. Discussão**

### 5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

#### **Sobre a Leucemia Mieloide Aguda**

A leucemia mieloide aguda (LMA) é um tipo de câncer da medula óssea, sendo a principal leucemia aguda em adultos. Decorre de uma proliferação anormal de células tumorais na medula óssea e no sangue, o que causa anemia, sangramentos e infecções. Em idosos, a LMA é muitas vezes uma complicação da SMD.

A LMA é uma doença rapidamente letal se não for tratada. Aproximadamente um terço dos pacientes adultos jovens com LMA são curados com o tratamento. Seu prognóstico depende de vários fatores, tais como idade do paciente e presença de determinadas alterações genéticas nas células cancerígenas.

A base do tratamento da LMA é a quimioterapia. Quimioterapia de alta intensidade, seguida ou não de transplante de medula óssea alogênico, é a única modalidade terapêutica com potencial de cura. No entanto, ela apresenta um alto percentual de complicações. Pacientes não candidatos a quimioterapia de alta intensidade em virtude de sua alta toxicidade (em especial pacientes idosos com LMA) podem receber tratamento paliativo com quimioterapia de baixa intensidade visando o prolongamento da sobrevida, não a cura.

A quimioterapia de baixa intensidade com citarabina em baixas doses apresenta pequeno benefício clínico com taxas de SG muito baixas, somente superiores ao uso de cuidados paliativos básicos. O uso de azacitidina mostrou-se uma terapia com muito melhores taxas de eficácia e quando associado ao venetoclax os resultados foram ainda mais expressivos - o tratamento com venetoclax mais azacitidina reduziu o risco de morte em 34% em comparação com a azacitidina isolada.

#### Tratamento do paciente idoso

As Diretrizes Diagnósticas e Terapêuticas da Leucemia Mieloide Aguda do Adulto do Ministério da Saúde em “Situações especiais” preconiza para o paciente idoso: “Na avaliação inicial do paciente idoso com LMA, deve-se, mesmo antes de realizar exames invasivos, ponderar, de modo criterioso, sobre os parâmetros clínicos, econômicos, sociais e psicológicos para uma determinação precisa do planejamento terapêutico. Pacientes com idade entre 60 e 74 anos e com performance status abaixo do índice 2 de Zubrod e sem comorbidades podem ser tratados como o adulto jovem, resultando em uma taxa de 50% de remissão completa (RC) e de morte pelo tratamento abaixo de 15%. As doses, entretanto, precisam ser individualizadas. Para o subtipo com citogenética de mau prognóstico, a taxa de RC é de apenas 30%, com SG abaixo de 5%. Já para o paciente muito idoso (75 ou mais anos), a alternativa é a utilização da citarabina subcutânea em baixas doses, que é associada a uma sobrevida maior quando comparada a hidroxiureia oral.

Manejo da LMA em pacientes com mais de 60 anos conforme guideline da The National Comprehensive Cancer Network® (NCCN®):

Terapia de indução

A criação de diretrizes separadas para pacientes com idade >60 anos reconhece os desfechos ruins neste grupo tratado com citarabina padrão e antraciclina. Embora estudos no Registro Sueco de Leucemia Aguda tenham documentado melhora nos resultados para pacientes com <60 anos nas últimas 3 décadas, nenhuma melhora semelhante foi observada para pacientes com >60 anos. A mortalidade relacionada ao tratamento frequentemente excede qualquer resposta transitória esperada neste grupo, particularmente em pacientes com >75 anos de idade ou que tenham comorbidades significativas ou um status de desempenho ECOG >2.

Para pacientes com idade >60 anos com LMA, o painel recomenda o uso da capacidade funcional do paciente, além de características adversas (p. ex., LMA de novo sem citogenética ou marcadores moleculares favoráveis; LMA-t; distúrbio hematológico antecedente) e comorbidades, para selecionar opções de tratamento em vez de confiar apenas na idade cronológica do paciente. Avaliações geriátricas abrangentes são complementares à avaliação de comorbidades clínicas e estão emergindo como melhores ferramentas preditivas do estado funcional. Um algoritmo de tomada de decisão de tratamento para pacientes idosos com idade  $\geq 60$  anos, não tratados anteriormente e clinicamente aptos com LMA, foi desenvolvido pelo grupo cooperativo alemão de LMA. Com base em dados de um grande estudo em pacientes idosos ( $n = 1.406$ ), foram identificados fatores do paciente e da doença significativamente associados à RC e/ou morte precoce e os escores de risco foram desenvolvidos com base na análise de regressão multivariada. O modelo preditivo foi posteriormente validado em uma coorte independente de pacientes idosos ( $n = 801$ ) tratados com 2 ciclos de terapia de indução com citarabina e daunorrubicina. O algoritmo, com ou sem conhecimento de fatores de risco citogenéticos ou moleculares, prevê a probabilidade de atingir uma RC e o risco de morte prematura para pacientes idosos com LMA não tratada que estão clinicamente aptos e, portanto, considerados elegíveis para tratamentos padrão. Os fatores incluídos no algoritmo são os seguintes: temperatura corporal ( $\leq 38^\circ\text{C}$  e  $> 38^\circ\text{C}$ ), níveis de hemoglobina ( $\leq 10,3$  e  $> 10,3$  g / dL), contagem de plaquetas ( $\leq 28$  K,  $> 28$  K a  $\leq 53$  K,  $> 53$  K a  $\leq 104$  K e  $> 104$  K / mL), níveis de fibrinogênio ( $\leq 150$  e  $> 150$  mg / dL), idade ao diagnóstico (60-64, > 64-67, > 67-72, e > 72 anos) e tipo de leucemia (de novo e secundária). O algoritmo pode ser acessado online em <http://www.aml-score.org/>.

Um modelo preditivo abrangente para morte precoce após indução em pacientes com LMA recém-diagnosticada sugere que a idade pode ser um reflexo de outras covariantes, e a avaliação desses fatores pode fornecer um modelo preditivo mais preciso. O modelo

inclui escore de desempenho, idade, contagem de plaquetas, albumina sérica, presença ou ausência de LMA secundária, contagem de leucócitos, porcentagem de blastos de sangue periférico e creatinina sérica. Esses fatores, quando tomados em conjunto, resultam em uma precisão preditiva com base na área sob a curva (AUC) de 0,82 (uma correlação perfeita é uma AUC de 1,0). Este modelo é complexo e atualmente não existe uma ferramenta disponível para implementar este modelo. Uma forma abreviada do modelo foi baseada em covariantes que incluem idade, status de desempenho e contagem de plaquetas. O modelo simplificado fornece uma AUC de 0,71, que é menos precisa do que o modelo complexo, mas pode ser mais precisa do que as estratégias de tomada de decisão baseadas apenas na idade. Em um estudo de coorte retrospectivo de pacientes adultos com LMA (n = 1.100; variação, 20 a 89 anos), um modelo preditivo composto examinou o impacto das comorbidades na mortalidade em 1 ano após o tratamento de indução. Essa análise incorporou características específicas do paciente (ou seja, idade, comorbidades) e específicas da LMA (ou seja, riscos citogenéticos e moleculares) e resultou em uma estimativa preditiva de 0,76 com base na AUC.75 Este modelo pode ser acessado online em <http://www.amlcompositemodel.org/>.

Idosos com estado funcional intacto (ou seja, escore ECOG 0–2), comorbidade mínima e LMA de novo sem citogenética ou marcadores moleculares desfavoráveis, sem distúrbio hematológico antecedente e sem LMA relacionada à terapia podem se beneficiar da terapia intensiva baseada em citarabina, independentemente da idade cronológica.

### **Sobre a Decitabina**

#### **a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)**

Agente antioplásico.

#### **b. Indicações**

O medicamento decitabina é indicado para o tratamento de pacientes:

- adultos com síndromes mielodisplásicas (SMD), tratados e não tratados previamente, SMD “de novo” e secundárias de todos os subtipos da classificação FAB (FrancoAmericano - Britânica) e grupos Intermediário-1, Intermediário-2 e de Alto Risco do Sistema de Escore Prognóstico Internacional (IPSS);
- adultos com leucemia mieloide aguda (LMA) “de novo” ou secundária, recém-diagnosticada, de acordo com a classificação da Organização Mundial de Saúde (OMS).

A eficácia da decitabina não foi completamente demonstrada em pacientes com idade inferior a 65 anos

#### **c. Informações sobre o medicamento**

Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Em relação a

assistência oncológica, o medicamento decitabina não está citado nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas em Oncologia do Ministério da Saúde. Entretanto, 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.

**d. Informações sobre o financiamento**

Cabe informar que os medicamentos oncológicos, devido sua forma de financiamento, não fazem parte da lista de medicamentos especiais de Alto Custo do Ministério da Saúde (GRUPOS 1A, 1B, 2 do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF), não existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

**e. Recomendação da CONITEC**

Não avaliado.

**Sobre o Venetoclax**

**a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)**

Agentes antineoplásicos

**b. Indicações**

O medicamento venetoclax está indicado para:

- Leucemia Linfocítica Crônica: no tratamento da Leucemia Linfocítica Crônica (LLC) em pacientes adultos (acima de 18 anos);
- Leucemia Mieloide Aguda: em combinação com um agente hipometilante, ou em combinação com citarabina em baixa dose, **é indicado para pacientes recém diagnosticados com Leucemia Mieloide Aguda (LMA) e que são inelegíveis para quimioterapia intensiva, a critério do médico.**

**c. Informações sobre o medicamento**

Venetoclax é o primeiro de uma nova classe de medicamentos que seletivamente inibe a proteína BCL-2. Em alguns tipos de câncer do sangue e outros tumores, a BCL-2 impede o processo natural de morte das células do câncer, ou processo de autodestruição chamado de apoptose. Venetoclax tem como alvo esta proteína, BCL-2, e atua para restaurar o processo de apoptose.

Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Em relação a assistência oncológica, o medicamento venetoclax não está citado nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas em Oncologia do Ministério da Saúde. Entretanto, 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.

De acordo com a Resolução Normativa - RN nº 465, de 24 de fevereiro de 2021 os Planos de Saúde devem fornecer obrigatoriamente aos seus beneficiados, no mínimo, o descrito nesta RN e seus Anexos podendo oferecer cobertura maior por sua iniciativa ou mediante expressa previsão no instrumento contratual referente ao plano privado de assistência à saúde.

Dentre as Terapias Antineoplásicas Orais para Tratamento do Câncer, que pertencem à referência básica para cobertura mínima obrigatória, encontra-se o medicamento venetoclax indicado para o tratamento de LMA - Leucemia mielóide aguda Em combinação com um Agente hipometilante ou em combinação com Citarabina em baixa dose, para o tratamento de pacientes recém-diagnosticados com LMA e que são inelegíveis para quimioterapia intensiva e LLC - Leucemia linfocítica crônica Em combinação com Rituximabe, para o tratamento da leucemia linfocítica crônica (LLC) em pacientes que tenham recebido pelo menos uma terapia prévia. Sendo, portanto, sua cobertura obrigatória pelas operadoras de planos de saúde.

#### **d. Informações sobre o financiamento do medicamento**

Cabe informar que os medicamentos oncológicos, devido sua forma de financiamento, não fazem parte da lista de medicamentos especiais de Alto Custo do Ministério da Saúde (GRUPOS 1A, 1B, 2 do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF), não existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

A principal evidência científica que fundamenta o uso dessa combinação é o estudo multicêntrico de fase Ib/II M14-358, publicado por DiNardo et al., que avaliou a segurança e eficácia da associação venetoclax + decitabina ou azacitidina em pacientes com LMA recém-diagnosticada, inelegíveis à quimioterapia intensiva devido à idade  $\geq 75$  anos ou presença de comorbidades. A coorte tratada com venetoclax + decitabina incluiu 80 pacientes, com uma taxa de resposta global de 74%, incluindo 36% de remissão completa (RC) e 38% de remissão completa com recuperação hematológica incompleta (RCi). O tempo mediano para resposta foi de 1,9 mês.

Além disso, o estudo randomizado de fase III VIALE-A, que incluiu 431 pacientes com LMA sem elegibilidade para quimioterapia intensiva, comparou venetoclax + azacitidina versus azacitidina isolada. A combinação foi significativamente superior, com sobrevida global mediana de 14,7 meses contra 9,6 meses no braço controle. Embora o estudo tenha utilizado azacitidina e não decitabina, ambas drogas são hipometilantes de efeito equivalente e intercambiáveis em diversos protocolos internacionais.

As diretrizes internacionais da National Comprehensive Cancer Network (NCCN, versão 2024) recomendam o uso de venetoclax em associação com decitabina ou azacitidina como primeira escolha para pacientes com LMA idosos ou com comorbidades, inelegíveis à

quimioterapia intensiva. A diretriz da European LeukemiaNet (ELN, 2022) também classifica essa combinação como uma das principais abordagens para indução em idosos frágeis, com base em evidências de eficácia e aceitabilidade clínica.

Em relação à segurança, os principais efeitos adversos observados foram neutropenia febril (42%), trombocitopenia, infecções oportunistas, e síndrome de lise tumoral (em menor proporção), manejáveis com monitoramento intensivo nas primeiras semanas. O protocolo requer escalonamento de dose do venetoclax nos primeiros 3 dias e, em geral, internação hospitalar para indução.

#### 5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

- Aumentar a sobrevida global em comparação ao tratamento hipometilante isolado;
- Obter maiores taxas de remissão clínica e hematológica;
- Oferecer controle clínico e melhora da qualidade de vida em pacientes com contraindicação a quimioterapia intensiva;
- Possibilitar resposta clínica com tratamento ambulatorial supervisionado;

## **6. Conclusão**

### 6.1. Parecer

- ( ) Favorável  
( X ) Desfavorável

### 6.2. Conclusão Justificada:

O paciente tem 82 anos e apresenta leucemia mieloide aguda diagnosticada em 02/09/2024, foi submetido a 5 ciclos de azacitidina sem resposta ao tratamento. O médico assistente optou pela indicação da associação venetoclax + decitabina devido à idade avançada (82 anos) e presença de comorbidades.

As Diretrizes Diagnósticas e Terapêuticas da Leucemia Mieloide Aguda do Adulto do Ministério da Saúde em “Situações especiais” preconiza para o paciente idoso: “Na avaliação inicial do paciente idoso com LMA, deve-se, mesmo antes de realizar exames invasivos, ponderar, de modo criterioso, sobre os parâmetros clínicos, econômicos, sociais e psicológicos para uma determinação precisa do planejamento terapêutico. Pacientes com idade entre 60 e 74 anos e com performance status abaixo do índice 2 de Zubrod e sem comorbidades podem ser tratados como o adulto jovem, resultando em uma taxa de 50% de remissão completa (RC) e de morte pelo tratamento abaixo de 15%. As doses, entretanto, precisam ser individualizadas. Para o subtipo com citogenética de mau prognóstico, a taxa de RC é de apenas 30%, com SG abaixo de 5%. Já para o paciente muito idoso (75 ou mais anos), a alternativa é a utilização da citarabina subcutânea em baixas doses, que é associada a uma sobrevida maior quando comparada a hidroxiureia oral.

A guideline da The National Comprehensive Cancer Network® (NCCN®) recomenda que, para pacientes com idade >60 anos com LMA, o uso da capacidade funcional do paciente, além de características adversas (p. ex., LMA de novo sem citogenética ou marcadores moleculares favoráveis; LMA-t; distúrbio hematológico antecedente) e comorbidades, para selecionar opções de tratamento em vez de confiar apenas na idade cronológica do paciente.

Idosos com estado funcional intacto (ou seja, escore ECOG 0–2), comorbidade mínima e LMA de novo sem citogenética ou marcadores moleculares desfavoráveis, sem distúrbio hematológico antecedente e sem LMA relacionada à terapia podem se beneficiar da terapia intensiva baseada em citarabina, independentemente da idade cronológica.

A bula do medicamento venetoclax prevê sua indicação para Leucemia Mieloide Aguda em combinação com um agente hipometilante, ou em combinação com citarabina em baixa dose, **para pacientes recém diagnosticados e que são inelegíveis para quimioterapia intensiva, a critério do médico.**

O autor obteve o diagnóstico em setembro de 2024 e já foi submetido a primeira linha de tratamento, portanto não pode ser considerado com recém diagnosticado. Não há nos relatórios médicos encaminhados a este núcleo técnico escala de Zubrod, exames ou maiores informações clínicas do paciente que possam embasar uma melhor indicação de tratamento, visto que conforme os guidelines, para pacientes idosos a indicação terapêutica é complexa e multifatorial.

Segundo o PCDT da doença, pacientes idosos sem indicação de quimioterapia intensiva podem se beneficiar com o tratamento com citarabina.

Não há análise da CONITEC a respeito da incorporação do tratamento pleiteado, em 2019 houve pedido de análise para incorporação do venetoclax em combinação com azacitidina para tratamento de pacientes recém diagnosticados com leucemia mieloide aguda inelegíveis à quimioterapia intensiva, porém o processo foi encerrado a pedido do demandante, portanto não há análise custo-efetividade e de impacto econômico.

Diante do exposto, este NATJUS manifesta-se **DESFAVORÁVEL** 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. DiNardo CD, Pratz K, Pullarkat V, et al. Venetoclax combined with decitabine or azacitidine in treatment-naive, elderly patients with acute myeloid leukemia. *Blood*. 2019;133(1):7–17.

2. Wei AH, et al. Venetoclax with azacitidine versus azacitidine alone in patients with newly diagnosed AML (VIALE-A): a phase 3, randomized, double-blind, placebo-controlled trial. *N Engl J Med.* 2020;383:617–629.
3. Tallman, M. S., Wang, E. S., Altman, J. K., Appelbaum, F. R., Bhatt, V. R., Bixby, D., Coutre, S. E., De Lima, M., Fathi, A. T., Fiorella, M., Foran, J. M., Hall, A. C., Jacoby, M., Lancet, J., LeBlanc, T. W., Mannis, G., Marcucci, G., Martin, M. G., Mims, A., O'Donnell, M. R., Olin, R., Peker, D., Perl, A., Pollyea, D. A., Pratz, K., Prebet, T., Ravandi, F., Shami, P. J., Stone, R. M., Strickland, S. A., Wieduwilt, M., Gregory, K. M., OCN, Hammond, L., & Ogba, N. (2019). Acute Myeloid Leukemia, Version 3.2019, NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. *Journal of the National Comprehensive Cancer Network J Natl Compr Canc Netw*, 17(6), 721-749. Retrieved Jul 30, 2025, from <https://doi.org/10.6004/jnccn.2019.0028>
4. Döhner H, et al. Diagnosis and management of AML in adults: 2022 ELN recommendations. *Blood.* 2022;140(12):1345–1377.
5. BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Diretrizes Diagnósticas e Terapêuticas da Leucemia Mieloide Aguda do Adulto. Brasília: Ministério da Saúde, 2014. Disponível em: <https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/pcdt/l/leucemia-mieloide-aguda-do-adulto-diretrizes-diagnosticas-e-terapeuticas>.

## **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.**