

## **NOTA TÉCNICA Nº 5120/2025 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5001475-05.2025.4.03.6144
- 1.3. Data da Solicitação: 26/06/2025
- 1.4. Data da Resposta: 01/08/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 09/07/1969 – 55 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Barueri/SP
- 2.4. Histórico da doença:  
Mieloma múltiplo cadeia leve lambda – R-ISS III (B2M e DHL elevados) I Duran Salmon IIIB  
– CID C90.0

### **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?
CARFILZOMIBE	CARFILZOMIBE	1826100210015	NÃO	CONFORME CACON E UNACON	NÃO
POMALIDOMIDA	POMALIDOMIDA	1018004120017	NÃO	CONFORME CACON E UNACON	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
CARFILZOMIBE	CARFILZOMIBE	NATCOFARMA DO BRASIL LTDA	60 MG PO LIOF SOL INFUS IV CT FA VD TRANS	R\$ 3.348,16	- aplicar 20mg/m <sup>2</sup> (30mg) endovenoso diluído em SG5% 100ml em 30 minutos no D1 e D2 no ciclo 1. Se bem tolerado, aumentar para 27mg/m <sup>2</sup> (42mg) endovenoso diluído em SG5% 100ml em 30 minutos no D8, D9, D15 e D16 do ciclo 1. A partir do ciclo 2, aplicar 42mg diluído em SG5% 100ml endovenoso em 30 minutos no D1, D2, D8, D9, D15 e D16.	R\$ 33.481,60
POMALIDOMIDA	POMALYST	BRISTOL-MYERS SQUIBB FARMACÊUTICA LTDA	1 MG CAP DURA CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 14	R\$ 6.083,52	Tomar 1 comprimido via oral 1 vez ao dia do D1 ao D21 – ciclos de 28 dias	R\$ 146.004,48
<b>CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO</b>				R\$ 179.486,08		
<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 07/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: Em novembro de 2023, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) por meio do Relatório de Recomendação nº 847, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 65, de 9 de novembro de 2023, tornou pública a decisão de sugerir a incorporação do medicamento carfilzomibe para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário que receberam uma terapia prévia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha dos medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

## **5. Discussão**

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

O mieloma múltiplo (MM) é um tipo de câncer do sistema hematológico que acomete principalmente idosos. É causado pela proliferação descontrolada, principalmente na medula óssea, de um tipo de célula produtora de imunoglobulinas denominada plasmócito. É uma doença incurável, que, quando sintomática, levará a maioria dos pacientes ao óbito em menos de um ano se não for adequadamente tratada. Por envolver principalmente a medula óssea e o sistema hematológico, e por levar à produção excessiva de imunoglobulinas, que podem ser tóxicas para os rins, o MM manifesta-se principalmente por meio de dores e/ou fraturas ósseas, anemia, hipercalcemia (elevação do Cálcio no sangue) e insuficiência renal. Infecções recorrentes também são comuns nos pacientes com MM.

O diagnóstico é feito através de exames laboratoriais, mielograma identificando as cadeias anômalas de anticorpos e plasmócitos em excesso.

O Ministério da Saúde, na Portaria nº 708 de 6 de agosto de 2015, aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Mieloma Múltiplo. Nele há a seguinte orientação quanto aos medicamentos que podem ser utilizados em primeira linha no tratamento do MM: “Os seguintes medicamentos possuem atividade clínica anti-mieloma e podem ser igualmente usados na poliquimioterapia de primeira linha em diferentes combinações: bortezomibe, ciclofosfamida, cisplatina, dexametasona, doxorubicina, doxorubicina lipossomal, etoposide, melfalano, vincristina e talidomida”.

Quanto à terapia de casos refratários ou recidivados de MM, o PCDT faz as seguintes orientações: “opções de tratamento para MM recidivado ou refratário à quimioterapia incluem novo TMO autólogo, repetição de agentes quimioterápicos utilizados anteriormente ou uso de outros agentes com atividade clínica anti-mieloma ainda não utilizados na primeira linha”.

Assim, PCDT do Ministério da Saúde do Brasil para o tratamento do MM não menciona a lenalidomida e o daratumumabe como opções terapêuticas.

O tratamento varia dependendo de características moleculares do tumor, que determinam sua agressividade e responsividade, além de características clínicas do paciente. Em geral envolve quimioterapia e transplante de medula, quando possível. Embora tenha alta efetividade, o tratamento padrão não é curativo e é comum recorrências e refratariedade. Nestes casos geralmente se emprega o uso de múltiplas drogas concomitantes, incluindo lenalidomida, dexametasona e imunoterápicos como bortezomibe ou daratumumabe. A escolha depende fortemente de critérios individuais.

As taxas de resposta de tratamento de Mieloma Múltiplo quando associado um inibidor de proteassoma (Bortezomibe) chegam mais de 80% de resposta global, podendo

atingir cerca de 15% de respostas completas. Há evidência clara que a medicação agrega ganho de sobrevida global e sobrevida livre de progressão da doença.

### **Carfilzomibe**

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

Agentes antineoplásicos.

#### **Nomes comerciais**

Kyprolis®

#### **Indicações**

O medicamento carfilzomibe em combinação com daratumumabe e dexametasona, lenalidomida e dexametasona, ou com dexametasona isolada é indicado para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado que receberam de uma a três terapias prévias.

O medicamento carfilzomibe como um agente isolado, está indicado para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário que tenham recebido pelo menos duas terapias prévias que incluíram bortezomibe e um agente imunomodulador.

#### **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 carfilzomibe 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.

#### **Avaliação pela CONITEC**

Em novembro de 2023, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) por meio do Relatório de Recomendação nº 847, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 65, de 9 de novembro de 2023, tornou pública a decisão de sugerir a incorporação do medicamento carfilzomibe para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário que receberam uma terapia prévia, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha dos medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

### **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

### **Pomalidomida**

A **pomalidomida** é um agente imunomodulador oral de terceira geração, indicado para o tratamento de mieloma múltiplo recidivado/refratário (MMRR) em pacientes previamente expostos à lenalidomida e bortezomibe. A associação com carfilzomibe, inibidor irreversível da proteassoma, tem demonstrado alta atividade antitumoral mesmo em populações com doença refratária de alto risco.

O estudo MM-003, ensaio clínico randomizado de fase III, avaliou o uso de pomalidomida + dexametasona versus altas doses de dexametasona em pacientes com MMRR previamente expostos a lenalidomida e bortezomibe. Os resultados demonstraram benefício significativo em sobrevida livre de progressão (4,0 vs 1,9 meses) e sobrevida global (12,7 vs 8,1 meses). A taxa de resposta global foi de 31%.

O estudo EMN011/HOVON 114, um ensaio clínico de fase II, investigou a combinação de carfilzomibe + pomalidomida + dexametasona (Kpd) em pacientes com MMRR com até 3 linhas prévias. A taxa de resposta global foi de 79%, com remissão completa ou muito boa resposta parcial em 56% dos pacientes. O esquema demonstrou eficácia robusta mesmo em pacientes refratários à lenalidomida e foi considerado seguro e bem tolerado.

Importante ressaltar que ambos os medicamentos são considerados seguros em pacientes com insuficiência renal, inclusive em diálise. A pomalidomida não requer ajuste de dose em pacientes dialíticos e pode ser administrada com monitoramento padrão. O carfilzomibe também pode ser usado com ajuste de dose, e os estudos mostram que sua farmacocinética não é significativamente alterada pela diálise, o que o torna preferível ao bortezomibe ou lenalidomida em alguns contextos.

As diretrizes da NCCN (2024) e da European Myeloma Network (EMN) reconhecem a combinação de carfilzomibe + pomalidomida + dexametasona como opção terapêutica viável em pacientes com mieloma múltiplo recidivado/refratário, especialmente quando lenalidomida é contraindicada ou ineficaz. A associação é citada como tratamento de escolha em pacientes refratários a duas ou mais linhas, em uso de hemodiálise e com intenção de consolidar resposta para transplante.

No caso da paciente em questão, com doença refratária, candidata ao transplante e com contraindicação formal à lenalidomida, o uso de carfilzomibe e pomalidomida representa a única opção terapêutica com potencial de controle eficaz antes da coleta de células-tronco, permitindo viabilizar o transplante com melhor resposta de doença.

O principal benefício clínico esperado com o uso de carfilzomibe + pomalidomida + dexametasona é induzir uma nova resposta hematológica em paciente com mieloma refratário a múltiplos esquemas, viabilizando a mobilização de células-tronco e a realização do transplante autólogo como estratégia de consolidação.

A combinação tem como objetivo:

- Reduzir a carga tumoral e controlar o clone plasmocitário ativo;
- Minimizar os efeitos imunossupressores da doença ativa, prevenindo infecções oportunistas;
- Melhorar a função hematológica e clínica da paciente, permitindo adequada tolerância ao transplante;
- Evitar o uso de lenalidomida, cuja excreção renal e necessidade de monitoramento rigoroso tornam seu uso desaconselhado em pacientes em diálise.
- Dessa forma, o esquema proposto não apenas representa uma alternativa eficaz, como é clinicamente indicado e individualizado diante das limitações específicas da paciente. A combinação apresenta perfil de segurança gerenciável, com neutropenia e trombocitopenia como principais toxicidades, controláveis com suporte e redução de dose.

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

Induzir uma nova resposta hematológica em paciente com mieloma refratário a múltiplos esquemas, viabilizando a mobilização de células-tronco e a realização do transplante autólogo como estratégia de consolidação.

## **6. Conclusão**

### **6.1. Parecer**

( X ) Favorável

( ) Desfavorável

### **6.2. Conclusão Justificada:**

A paciente apresenta mieloma múltiplo refratário, com insuficiência renal dialítica e falha aos esquemas VTD, VCD e DCEP, sendo candidata ao transplante autólogo de medula óssea. O uso de lenalidomida está contraindicado por comprometimento da função renal e alto risco de toxicidade acumulada. A combinação de carfilzomibe + pomalidomida

é reconhecida em literatura científica e diretrizes internacionais como opção válida para indução em pacientes refratários e dialíticos.

Do ponto de vista técnico-científico, o parecer é favorável à concessão judicial dos medicamentos carfilzomibe e pomalidomida, sob critério de uso excepcional e fundamentado, com o objetivo de viabilizar o transplante em paciente refratária e sem alternativas terapêuticas eficazes no SUS.

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. Dimopoulos MA, et al. Pomalidomide plus low-dose dexamethasone versus high-dose dexamethasone in refractory or relapsed and refractory multiple myeloma (MM-003). *Lancet Oncol.* 2013;14(11):1055–1066.
2. Zweegman S, et al. Carfilzomib, pomalidomide, and dexamethasone in relapsed multiple myeloma: the EMN011/HOVON114 trial. *Blood Adv.* 2020;4(3):589–598.
3. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology – Multiple Myeloma. Version 3.2024.
4. Richardson PG, et al. Management of treatment-emergent adverse events during carfilzomib combination therapy. *Leukemia.* 2017;31:1253–1264.

#### **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.**



TRIBUNAL DE JUSTIÇA DE SÃO PAULO  
■ SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS  
SGP 5 – Diretoria da Saúde

---