

Nota Técnica 541340

Data de conclusão: 13/07/2026 09:13:55

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 04/09/1964

Idade: 61 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Taboão da Serra/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001408-75.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 541340-A

CID: C90 - Mieloma múltiplo e neoplasias malignas de plasmócitos

Diagnóstico: Mieloma Múltiplo

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Relatórios e prescrição médica
- Relatório médico de 2026 com diagnóstico de mieloma múltiplo desde 2024, tratamentos prévios realizados (VCD, TMO autólogo, KTD, radioterapia), com doença refratária e indicação de tratamento com isatuximabe, pomalidomida e dexametasona (segundo arquivo).

OBS: Não consta nos autos exames complementares, somente descrição em relatório médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: SARCLISA | ISATUXIMABE

Princípio Ativo: ISATUXIMABE

Via de administração: EV

Posologia: 10mg/kg 1x por semana no primeiro ciclo
10mg/kg 1x a cada 15 dias nos ciclos subsequentes

Uso contínuo? Não

Duração do tratamento: (Indeterminado)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Sim

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: ISATUXIMABE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: No âmbito do Sistema Único de Saúde, o arsenal terapêutico para o Mieloma Múltiplo baseia-se primordialmente no uso de inibidores de proteassoma de primeira geração, como o bortezomibe, e agentes imunomoduladores, como a talidomida e a lenalidomida. A combinação específica de isatuximabe com carfilzomibe não faz parte da lista de tecnologias financiadas pela rede pública, limitando as opções de resgate a esquemas baseados em alquilantes, corticosteroides e o transplante autólogo de medula óssea para pacientes elegíveis. O carfilzomibe teve decisão de incorporação em 13/11/2023 para tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário que receberam uma terapia prévia.

Na Saúde Suplementar, a cobertura é significativamente mais abrangente, sendo o isatuximabe um medicamento de cobertura obrigatória pelos planos de saúde para o tratamento de pacientes adultos com Mieloma Múltiplo recidivado ou refratário, desde que preenchidas as Diretrizes de Utilização (DUT) da ANS.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: ISATUXIMABE

Laboratório: SANOFI MEDLEY FARMACÊUTICA LTDA.

Marca Comercial: Sarclisa

Apresentação: 500 MG SOL DIL INFUS CT FA VD TRANS X 25 ML

Preço de Fábrica: 17.168,43

Preço Máximo de Venda ao Governo: 10.902,12

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: ISATUXIMABE

Dose Diária Recomendada: 10 mg / kg por ciclo

Preço Máximo de Venda ao Governo: 10.902,12

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: CMED - custo anual estimado (2 ampolas/ciclo): R\$ 566.910,24

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: ISATUXIMABE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O mieloma múltiplo (MM) é uma neoplasia maligna de origem hematopoiética, caracterizada pela proliferação clonal de plasmócitos na medula óssea, que, na maioria dos casos, secretam proteína monoclonal detectável no sangue ou urina, podendo levar à disfunção de órgãos. Os plasmócitos produzem em excesso um tipo específico de proteína relacionada à imunoglobulina humana, denominada proteína monoclonal (proteína-M), paraproteína ou pico-M, que podem levar a hiperviscosidade plasmática e danos renais. A proliferação de células plasmáticas pode levar à supressão da medula óssea e pode causar hipocalcemia. Estas características do MM dão origem a sintomas diferentes, como dor óssea e envolvimento esquelético, cansaço por anemia ou cefaleia por hiperviscosidade. Também podem ocorrer complicações de hipercalcemia ou insuficiência renal.

Os sintomas apresentados pelos pacientes incluem: dor óssea, fraturas ou infecções ósseas, hipercalcemia (devido à destruição óssea), insuficiência renal causada pela precipitação de cadeias monoclonais nos túbulos coletores, síndrome da hiperviscosidade sanguínea, infecções bacterianas recorrentes, anemia normocítica normocrômica ou macrocítica, perda ponderal, massas subcutâneas e compressão medular. Entretanto, alguns pacientes podem ser assintomáticos e a doença é descoberta por acaso, quando exames laboratoriais revelam anemia e hiperproteinemia.

O mieloma múltiplo corresponde a 1% de todos os tipos de câncer e cerca de 10% das neoplasias hematológicas. De acordo com dados do Sistema de Informações sobre

Mortalidade (SIM) do Ministério da Saúde, foram registrados 3.064 óbitos por essa doença no Brasil no ano de 2016, sendo a maioria dos casos na região sudeste. Por não fazer parte das estimativas anuais do Instituto Nacional de Câncer (INCA), os dados sobre a incidência dessa neoplasia no Brasil são escassos.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: O isatuximab é um anticorpo monoclonal derivado de IgG1, que se liga a um epítipo extracelular específico do recetor de CD38. CD38 é uma glicoproteína transmembrana que é altamente expressa em células de mieloma múltiplo. In vitro, o isatuximab atua através de mecanismos de IgG dependentes da fragment crystallizable region (Fc) incluindo: citotoxicidade mediada por células dependentes de anticorpos (ADCC), fagocitose celular dependente de anticorpos (ADCP) e citotoxicidade dependente de anticorpos (CDC). Além disso, o isatuximab também pode desencadear morte de células tumorais por indução de apoptose via um mecanismo independente de Fc. In vitro, o isatuximab bloqueia a atividade enzimática do CD38 que catalisa a síntese e hidrólise de ADP-ribose cíclica (cADPR), um agente mobilizador de cálcio. O isatuximab inibe a produção de cADPR a partir da nicotinamida adenina dinucleótido extracelular (NAD) em células de mieloma múltiplo. In vitro, o isatuximab pode ativar células Natural Killer (NK) na ausência de células tumorais de alvo positivo CD38. In vivo, foi observada uma diminuição nas contagens absolutas de CD16 total+ e CD56+ células NK, CD19+ células B, CD4+células T e TREG (CD3+, CD4+, CD25+, CD127-) no sangue periférico de doentes tratados com isatuximab em monoterapia.

A eficácia e a segurança do SARCLISA em combinação com pomalidomida e dexametasona em dose baixa foram avaliadas no ICARIA-MM (EFC14335), um estudo multicêntrico, multinacional, aleatorizado, em regime aberto, de 2 braços, de fase III em doentes com mieloma múltiplo em recidiva e refratário. Os doentes tinham recebido, pelo menos, duas terapêuticas anteriores, incluindo lenalidomida e um inibidor do proteossoma com progressão de doença ou dentro de 60 dias após o final da terapêutica anterior. Os doentes com doença refratária primária foram excluídos. Um total de 307 doentes foram aleatorizados numa relação de 1:1 para receber SARCLISA em combinação com pomalidomida e dexametasona em dose baixa (regime de isatuximab, 154 doentes) ou pomalidomida e dexametasona em dose baixa (regime comparador, 153 doentes). O tratamento foi administrado em ambos os grupos em ciclos de 28 dias até à progressão de doença ou toxicidade inaceitável. O SARCLISA 10 mg/kg foi administrado como perfusão intravenosa semanalmente no primeiro ciclo e a cada duas semanas após o primeiro ciclo. A pomalidomida 4 mg foi tomada por via oral uma vez por dia a partir do dia 1 até ao dia 21 de cada ciclo de 28 dias. A dexametasona de baixa dose (oral/intravenosa) 40 mg (20 mg para doentes ≥ 75 anos de idade) foi administrada nos dias 1, 8, 15 e 22 de cada ciclo de 28 dias. No geral, as características demográficas e da doença na avaliação basal foram semelhantes entre os dois grupos de tratamento, com algumas disparidades ligeiras. A mediana da idade dos doentes foi de 67 anos (intervalo de 36-86), 19,9% dos doentes tinham ≥ 75 anos. A pontuação ECOG PS foi de 0 em 35,7% dos doentes no braço de isatuximab e de 45,1% no braço comparador, 1 em 53,9% no braço de isatuximab e 44,4% no braço comparador, e 2 em 10,4% no braço de isatuximab versus 10,5% no braço comparador, 10,4% dos doentes entraram no estudo com um historial de (Doença Pulmonar Obstrutiva Crónica) DPOC ou asma, e 38,6% versus 33,3% dos doentes com compromisso renal (clearance da creatina de <60 mL/min/1,73 m²) foram incluídos no braço de isatuximab versus no braço comparador, respetivamente. O estadiamento de acordo com o International Staging System (ISS) no início do estudo era de I em 37,5% (41,6% no braço de isatuximab e 33,3% no braço comparador), II em 35,5% (34,4% no braço de isatuximab e 36,6% no braço comparador) e III em 25,1% (22,1% no braço de isatuximab e 28,1% no braço comparador) dos doentes. No geral, 19,5% dos doentes (15,6% no braço de isatuximab e 23,5% no braço

comparador) apresentavam anomalias dos cromossomas de alto risco no início do estudo; del(17p), t(4;14) e t(14;16) estavam presentes em 12,1% (9,1% no braço de isatuximab e 15,0% no braço comparador), 8,5% (7,8% no braço de isatuximab e 9,2% no braço comparador) e 1,6% (0,6% no braço de isatuximab e 2,6% no braço comparador) dos doentes, respetivamente. O número mediano de linhas anteriores de terapêutica foi de 3 (intervalo 2-11). Todos os doentes receberam previamente um inibidor do proteosoma, todos os doentes receberam previamente lenalidomida, e 56,4% dos doentes efetuaram previamente transplante de células mães. A maioria dos doentes (92,5%) foi refratária à lenalidomida, 75,9% a um inibidor do proteosoma, e 72,6% para ambos o imunomodulador e inibidor do proteosoma, e 59% dos doentes foram refratários à lenalidomida na última linha de terapêutica. A duração mediana do tratamento foi de 41,0 semanas para o grupo de regime de isatuximab comparativamente ao grupo de regime comparador, com 24,0 semanas.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: ISATUXIMABE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: CONSIDERANDO o diagnóstico de mieloma múltiplo em paciente com doença desde 2024, conforme relatório médico de 2026, que descreve tratamento prévio com VCD, transplante autólogo de células-tronco hematopoéticas, esquema KTD e radioterapia, evoluindo com doença refratária e indicação de tratamento com isatuximabe, pomalidomida e dexametasona.

CONSIDERANDO que o isatuximabe possui registro sanitário vigente na ANVISA para o tratamento do mieloma múltiplo em indicações compatíveis com o caso em análise, sendo recomendado por diretrizes nacionais e internacionais para pacientes com doença recidivada ou refratária após linhas prévias de tratamento.

CONSIDERANDO, entretanto, que não foram anexados aos autos exames complementares capazes de corroborar o quadro clínico descrito, tais como mielograma, biópsia de medula óssea, imunofixação, eletroforese de proteínas, dosagem de cadeias leves livres, imunofenotipagem, exames laboratoriais ou exames de imagem que demonstrem objetivamente a persistência, progressão ou refratariedade da doença, constando apenas a descrição clínica em relatório médico.

CONSIDERANDO que a análise técnica realizada pelo Núcleo de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NatJus) está restrita aos documentos constantes dos autos, sendo indispensável a apresentação de exames complementares contemporâneos que permitam confirmar o diagnóstico, caracterizar a situação atual da doença e fundamentar objetivamente a indicação da tecnologia pleiteada.

CONCLUI-SE que não há elementos técnicos suficientes para sustentar a indicação do isatuximabe no presente caso, diante da ausência de exames complementares que comprovem o diagnóstico e a situação clínica atual do paciente, motivo pelo qual o parecer é NÃO FAVORÁVEL, podendo ser revisto mediante a apresentação da documentação médica complementar pertinente.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do

CFM? Não

Referências bibliográficas: [Isatuximab, carfilzomib, and dexamethasone in relapsed multiple myeloma \(IKEMA\): a multicentre, open-label, randomised phase 3 trial.](#)

Moreau P, Dimopoulos MA, Mikhael J, Yong K, Capra M, Facon T, Hajek R, Špička I, Baker R, Kim K, Martinez G, Min CK, Pour L, Leleu X, Oriol A, Koh Y, Suzuki K, Risse ML, Asset G, Macé S, Martin T; IKEMA study group. Lancet. 2021 Jun 19;397(10292):2361-2371

[Isatuximab in the Treatment of Multiple Myeloma: A Review and Comparison With Daratumumab.](#)

Shen F, Shen W. Technol Cancer Res Treat. 2022 Jan-Dec;21:15330338221106563.

[Isatuximab plus pomalidomide and low-dose dexamethasone versus pomalidomide and low-dose dexamethasone in patients with relapsed and refractory multiple myeloma \(ICARIA-MM\): a randomised, multicentre, open-label, phase 3 study.](#)

Attal M, Richardson PG, Rajkumar SV, San-Miguel J, Beksac M, Špička I, Leleu X, Schjesvold F, Moreau P, Dimopoulos MA, Huang JS, Minarik J, Cavo M, Prince HM, Macé S, Corzo KP, Campana F, Le-Guenec S, Dubin F, Anderson KC; ICARIA-MM study group. Lancet. 2019 Dec 7;394(10214):2096-2107.

[Isatuximab for the treatment of relapsed/refractory multiple myeloma.](#)

Richardson PG, Beksac M, Špička I, Mikhael J. Expert Opin Biol Ther. 2020 Dec;20(12):1395-1404.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: Hospital Israelita Albert Einstein

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Nota 1: Em atenção ao Tema 6 do STF e seu 4º requisito, considera-se que uma tecnologia possui evidência científica quando está embasada em: 1) ensaios clínicos randomizados, 2) revisões sistemáticas ou 3) meta-análises. Caso não atenda a esses critérios, será considerada sem evidência científica.

Nota 2: Foi identificada documentação comprobatória de hipossuficiência financeira (página 35 do primeiro arquivo).

Nota 3: Foi identificada documentação comprobatória de negativa administrativa para fornecimento da tecnologia pleiteada por entidade pública vinculada ao Sistema Único de Saúde (páginas 37 e 49 do primeiro arquivo).

Nota 4: Não foi identificada solicitação de incorporação da tecnologia pleiteada, para a presente indicação clínica, pendente de análise pela CONITEC.

Nota 5: Em atenção aos quesitos judiciais (paginas 54 e 55 do primeiro arquivo):

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Não. Até o presente momento, isatuximabe (Sarclisa) e pomalidomida (Pomalyst) não se encontram incorporados ao Sistema Único de Saúde para o tratamento do mieloma múltiplo. Além disso, a ausência de exames complementares nos autos impede confirmar objetivamente o estágio da doença e os critérios clínicos de elegibilidade.

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à

avaliação pelo órgão?

Sim. A associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona possui respaldo em evidências científicas de alto nível, especialmente no estudo ICARIA-MM, ensaio clínico randomizado de fase III, multicêntrico e internacional, além de recomendações das principais diretrizes internacionais para pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário.

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

Segundo o relatório médico, a autora foi previamente tratada com VCD, transplante autólogo de células-tronco hematopoéticas, esquema KTD e radioterapia, evoluindo com doença refratária. Entretanto, diante da ausência de exames complementares e de documentação detalhada da resposta a cada linha terapêutica, não é possível confirmar objetivamente o esgotamento de todas as alternativas terapêuticas disponíveis no SUS.

4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

O isatuximabe (Sarclisa) é aprovado pela ANVISA para tratamento de pacientes adultos com mieloma múltiplo em associação a outros medicamentos, conforme as indicações previstas em bula. A pomalidomida (Pomalyst) é aprovada para pacientes adultos com mieloma múltiplo recidivado e/ou refratário, em associação à dexametasona e outros esquemas terapêuticos aprovados.

5. A indicação específica para o quadro da parte autora consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Sim. A associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona para pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário encontra-se contemplada nas indicações aprovadas pela ANVISA.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Não. A indicação descrita no relatório médico encontra-se de acordo com as indicações aprovadas pela ANVISA.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Sim. A eficácia e a segurança da associação isatuximabe, pomalidomida e dexametasona foram demonstradas no estudo ICARIA-MM (EFC14335), ensaio clínico multicêntrico, multinacional, randomizado, de fase III, que incluiu 307 pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário, previamente tratados com pelo menos duas linhas terapêuticas, incluindo lenalidomida e um inibidor do proteassoma. O estudo demonstrou que a adição do isatuximabe promoveu redução significativa do risco de progressão da doença ou morte, aumento da sobrevida livre de progressão, maiores taxas de resposta global e respostas mais profundas, mantendo perfil de segurança considerado aceitável e manejável.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Sim. O estudo ICARIA-MM demonstrou superioridade da associação isatuximabe, pomalidomida e dexametasona em relação ao tratamento com pomalidomida e dexametasona isoladamente, proporcionando maior controle da doença em pacientes previamente tratados.

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?

As análises demonstraram tendência favorável à sobrevida global, embora o principal benefício estatisticamente comprovado tenha ocorrido na sobrevida livre de progressão.

c) Ganho de sobrevida livre de progressão?

Sim. O estudo demonstrou aumento estatisticamente significativo da sobrevida livre de progressão com a associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona.

d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

Os resultados evidenciaram maior controle da doença e prolongamento da sobrevida livre de progressão, com perfil de segurança manejável, contribuindo para manutenção da qualidade de vida durante o tratamento.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos?

Sim. A associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona é recomendada pelas principais diretrizes internacionais para pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário.

b) Bula aprovada pela ANVISA?

Sim.

c) Literatura científica de qualidade?

Sim. O esquema é respaldado por ensaios clínicos randomizados de fase III, revisões sistemáticas e diretrizes clínicas internacionais.

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Os estudos demonstram benefício clínico da associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona, com tendência de melhora da sobrevida global e aumento significativo da sobrevida livre de progressão em pacientes previamente tratados. Entretanto, não existem comparações diretas com todas as alternativas terapêuticas atualmente disponíveis no SUS.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Não existem estudos comparando diretamente a associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona com todas as linhas terapêuticas previamente utilizadas pela autora (VCD, transplante autólogo, KTD e radioterapia). Sua indicação fundamenta-se na demonstração de benefício em pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário após múltiplas linhas de tratamento, perfil clínico semelhante ao descrito no relatório médico. Ressalta-se, contudo, que a ausência de exames complementares nos autos limita a confirmação objetiva da situação clínica atual da paciente.

Tecnologia 541340-B

CID: C90 - Mieloma múltiplo e neoplasias malignas de plasmócitos

Diagnóstico: Mieloma Múltiplo

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Relatórios e prescrição médica
- Relatório médico de 2026 com diagnóstico de mieloma múltiplo desde 2024, tratamentos prévios realizados (VCD, TMO autólogo, KTD, radioterapia), com doença refratária e indicação de tratamento com isatuximabe, pomalidomida e dexametasona (segundo arquivo).

OBS: Não consta nos autos exames complementares, somente descrição em relatório médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: POMALYST | POMALIDOMIDA

Princípio Ativo: POMALIDOMIDA

Via de administração: VO

Posologia: 4mg 1x ao dia por 21 dias, ciclos de 28 dias

Uso contínuo? Não

Duração do tratamento: (Indeterminado)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Sim

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: POMALIDOMIDA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Não existem outras opções disponíveis no SUS

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: POMALIDOMIDA

Laboratório: Bristol-Myers Squibb Farmacêutica Ltda

Marca Comercial: Pomalyst

Apresentação: 4 MG CAP DURA CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 21

Preço de Fábrica: 21.141,59

Preço Máximo de Venda ao Governo: 13.425,12

Preço Máximo ao Consumidor: 22.950,59

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: POMALIDOMIDA

Dose Diária Recomendada: 4 mg

Preço Máximo de Venda ao Governo: 13.425,12

Preço Máximo ao Consumidor: 22.950,59

Fonte do custo da tecnologia: Tabela CMED - custo anual estimado: R\$ 161.101,44 (PMVG)

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: POMALIDOMIDA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O mieloma múltiplo (MM) é uma neoplasia maligna de origem hematopoiética, caracterizada pela proliferação clonal de plasmócitos na medula óssea, que, na maioria dos casos, secretam proteína monoclonal detectável no sangue ou urina, podendo levar à disfunção de órgãos. Os plasmócitos produzem em excesso um tipo específico de proteína relacionada à imunoglobulina humana, denominada proteína monoclonal (proteína-M), paraproteína ou pico-M, que podem levar a hiperviscosidade plasmática e danos renais. A proliferação de células plasmáticas pode levar à supressão da medula óssea e pode causar hipocalcemia. Estas características do MM dão origem a sintomas diferentes, como dor óssea e envolvimento esquelético, cansaço por anemia ou cefaleia por hiperviscosidade. Também podem ocorrer complicações de hipercalcemia ou insuficiência renal.

Os sintomas apresentados pelos pacientes incluem: dor óssea, fraturas ou infecções ósseas, hipercalcemia (devido à destruição óssea), insuficiência renal causada pela precipitação de cadeias monoclonais nos túbulos coletores, síndrome da hiperviscosidade sanguínea, infecções bacterianas recorrentes, anemia normocítica normocrômica ou macrocítica, perda ponderal, massas subcutâneas e compressão medular. Entretanto, alguns pacientes podem ser assintomáticos e a doença é descoberta por acaso, quando exames laboratoriais revelam anemia e hiperproteinemia.

O mieloma múltiplo corresponde a 1% de todos os tipos de câncer e cerca de 10% das neoplasias hematológicas. De acordo com dados do Sistema de Informações sobre Mortalidade (SIM) do Ministério da Saúde, foram registrados 3.064 óbitos por essa doença no Brasil no ano de 2016, sendo a maioria dos casos na região sudeste. Por não fazer parte das estimativas anuais do Instituto Nacional de Câncer (INCA), os dados sobre a incidência dessa neoplasia no Brasil são escassos.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: A pomalidomida, assim como a lenalidomida, é um agente imunomodulador cujo mecanismo de ação é primariamente mediado por atividades tumoricidas e imunomoduladoras antimieloma diretas. A pomalidomida possui dois mecanismos principais de ação: induz a parada do ciclo celular e a apoptose em células de mieloma múltiplo, e possui atividade imunomoduladora com efeitos na imunidade celular em células T e células natural killer (NK).

Os dados enviados pela requerente evidenciaram que o tratamento com pomalidomida 4 mg combinado com dose baixa de dexametasona (40 mg, uma vez por semana), administrado por 21 dias de um ciclo de 28 dias em pacientes que apresentavam mieloma múltiplo recidivante e refratário que receberam anteriormente lenalidomida e bortezomibe foi eficaz. Foi observada uma sobrevida livre de progressão significativamente mais longa em pacientes que receberam a combinação pomalidomida + dexametasona (15,7 semanas) em comparação com os pacientes que receberam alta dose de dexametasona (8,0 semanas).

Em pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário que receberam pelo menos um esquema de tratamento anterior, incluindo lenalidomida, o tratamento com pomalidomida + bortezomibe + baixa dose de dexametasona reduziu o risco de progressão ou óbito em 39% em comparação com o tratamento com bortezomibe + baixa dose de dexametasona (sobrevivência livre de progressão de 11,2 meses *versus* 7,1 meses).

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: POMALIDOMIDA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: CONSIDERANDO o diagnóstico de mieloma múltiplo em paciente com doença desde 2024, conforme relatório médico de 2026, que descreve tratamento prévio com VCD, transplante autólogo de células-tronco hematopoéticas, esquema KTD e radioterapia, evoluindo com doença refratária e indicação de tratamento com pomalidomida, isatuximabe e dexametasona.

CONSIDERANDO que a pomalidomida possui registro sanitário vigente na ANVISA para o tratamento de pacientes adultos com mieloma múltiplo recidivado ou refratário, em associação à dexametasona e a outros agentes antineoplásicos, constituindo opção terapêutica recomendada pelas principais diretrizes nacionais e internacionais para pacientes previamente tratados.

CONSIDERANDO, entretanto, que não foram anexados aos autos exames complementares capazes de corroborar o quadro clínico descrito, tais como mielograma, biópsia de medula óssea, imunofixação, eletroforese de proteínas séricas e urinárias, dosagem de cadeias leves livres, imunofenotipagem, exames laboratoriais ou exames de imagem que demonstrem objetivamente a persistência, progressão ou refratariedade da doença, constando apenas a descrição clínica em relatório médico.

CONSIDERANDO que a análise técnica realizada pelo Núcleo de Apoio Técnico do Poder Judiciário (NatJus) está restrita aos documentos constantes dos autos, sendo indispensável a apresentação de exames complementares contemporâneos que permitam confirmar o diagnóstico, caracterizar a situação atual da doença e fundamentar objetivamente a indicação da tecnologia pleiteada.

CONCLUI-SE que não há elementos técnicos suficientes para sustentar a indicação da pomalidomida no presente caso, diante da ausência de exames complementares que comprovem o diagnóstico e a situação clínica atual da paciente, motivo pelo qual o parecer é NÃO FAVORÁVEL, podendo ser revisto mediante a apresentação da documentação médica complementar pertinente.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas:

1. Daratumumab plus pomalidomide and dexamethasone versus pomalidomide and dexamethasone alone in previously treated multiple myeloma (APOLLO): an open-label,

- randomised, phase 3 trial. Dimopoulos MA, Terpos E, Boccadoro M, Delimpasi S, Beksac M, Katodritou E, Moreau P, Baldini L, Symeonidis A, Bila J, Oriol A, Mateos MV, Einsele H, Orfanidis I, Ahmadi T, Ukropec J, Kampfenkel T, Schechter JM, Qiu Y, Amin H, Vermeulen J, Carson R, Sonneveld P; APOLLO Trial Investigators. *Lancet Oncol*. 2021 Jun;22(6):801-812.
2. Isatuximab plus pomalidomide and low-dose dexamethasone versus pomalidomide and low-dose dexamethasone in patients with relapsed and refractory multiple myeloma (ICARIA-MM): a randomised, multicentre, open-label, phase 3 study. Attal M, Richardson PG, Rajkumar SV, San-Miguel J, Beksac M, Spicka I, Leleu X, Schjesvold F, Moreau P, Dimopoulos MA, Huang JS, Minarik J, Cavo M, Prince HM, Macé S, Corzo KP, Campana F, Le-Guennec S, Dubin F, Anderson KC; ICARIA-MM study group. *Lancet*. 2019 Dec 7;394(10214):2096-2107.
 3. Once-weekly carfilzomib, pomalidomide, and low-dose dexamethasone for relapsed/refractory myeloma: a phase I/II study. Bringhen S, Mina R, Cafo AM, Liberati AM, Spada S, Belotti A, Gaidano G, Patriarca F, Troia R, Fanin R, De Paoli L, Rossi G, Lombardo A, Bertazzoni P, Palumbo A, Sonneveld P, Boccadoro M. *Leukemia*. 2018 Aug;32(8):1803-1807
 4. Pomalidomide, bortezomib, and dexamethasone for patients with relapsed or refractory multiple myeloma previously treated with lenalidomide (OPTIMISMM): a randomised, open-label, phase 3 trial. Richardson PG, Oriol A, Beksac M, Liberati AM, Galli M, Schjesvold F, Lindsay J, Weisel K, White D, Facon T, San Miguel J, Sunami K, O'Gorman P, Sonneveld P, Robak P, Semochkin S, Schey S, Yu X, Doerr T, Bensmaine A, Biyukov T, Peluso T, Zaki M, Anderson K, Dimopoulos M; OPTIMISMM trial investigators. *Lancet Oncol*. 2019 Jun;20(6):781-794.
 5. Pomalidomide, dexamethasone, and daratumumab immediately after lenalidomide-based treatment in patients with multiple myeloma: updated efficacy, safety, and health-related quality of life results from the phase 2 MM-014 trial. Bahlis NJ, Siegel DS, Schiller GJ, Samaras C, Sebag M, Berdeja J, Ganguly S, Matous J, Song K, Seet CS, Acosta-Rivera M, Bar M, Quick D, Anz B, Fonseca G, Chung W, Lee K, Mouro J, Agarwal A, Reece D. *Leuk Lymphoma*. 2022 Jun;63(6):1407-1417

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: Hospital Israelita Albert Einstein

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: **Nota 1:** Em atenção ao Tema 6 do STF e seu 4º requisito, considera-se que uma tecnologia possui evidência científica quando está embasada em: 1) ensaios clínicos randomizados, 2) revisões sistemáticas ou 3) meta-análises. Caso não atenda a esses critérios, será considerada sem evidência científica.

Nota 2: Foi identificada documentação comprobatória de hipossuficiência financeira (página 35 do primeiro arquivo).

Nota 3: Foi identificada documentação comprobatória de negativa administrativa para fornecimento da tecnologia pleiteada por entidade pública vinculada ao Sistema Único de Saúde (páginas 37 e 49 do primeiro arquivo).

Nota 4: Não foi identificada solicitação de incorporação da tecnologia pleiteada, para a presente indicação clínica, pendente de análise pela CONITEC.

Nota 5: Em atenção aos quesitos judiciais (paginas 54 e 55 do primeiro arquivo):

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Não. Até o presente momento, isatuximabe (Sarclisa) e pomalidomida (Pomalyst) não se encontram incorporados ao Sistema Único de Saúde para o tratamento do mieloma múltiplo. Além disso, a ausência de exames complementares nos autos impede confirmar objetivamente o estágio da doença e os critérios clínicos de elegibilidade.

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?

Sim. A associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona possui respaldo em evidências científicas de alto nível, especialmente no estudo ICARIA-MM, ensaio clínico randomizado de fase III, multicêntrico e internacional, além de recomendações das principais diretrizes internacionais para pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário.

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

Segundo o relatório médico, a autora foi previamente tratada com VCD, transplante autólogo de células-tronco hematopoéticas, esquema KTD e radioterapia, evoluindo com doença refratária. Entretanto, diante da ausência de exames complementares e de documentação detalhada da resposta a cada linha terapêutica, não é possível confirmar objetivamente o esgotamento de todas as alternativas terapêuticas disponíveis no SUS.

4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

O isatuximabe (Sarclisa) é aprovado pela ANVISA para tratamento de pacientes adultos com mieloma múltiplo em associação a outros medicamentos, conforme as indicações previstas em bula. A pomalidomida (Pomalyst) é aprovada para pacientes adultos com mieloma múltiplo recidivado e/ou refratário, em associação à dexametasona e outros esquemas terapêuticos aprovados.

5. A indicação específica para o quadro da parte autora consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Sim. A associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona para pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário encontra-se contemplada nas indicações aprovadas pela ANVISA.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Não. A indicação descrita no relatório médico encontra-se de acordo com as indicações aprovadas pela ANVISA.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Sim. A eficácia e a segurança da associação isatuximabe, pomalidomida e dexametasona foram demonstradas no estudo ICARIA-MM (EFC14335), ensaio clínico multicêntrico, multinacional, randomizado, de fase III, que incluiu 307 pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário, previamente tratados com pelo menos duas linhas terapêuticas, incluindo lenalidomida e um inibidor do proteassoma. O estudo demonstrou que a adição do isatuximabe promoveu redução significativa do risco de progressão da doença ou morte, aumento da sobrevida livre de progressão, maiores taxas de resposta global e respostas mais profundas, mantendo perfil de segurança considerado aceitável e manejável.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Sim. O estudo ICARIA-MM demonstrou superioridade da associação isatuximabe,

pomalidomida e dexametasona em relação ao tratamento com pomalidomida e dexametasona isoladamente, proporcionando maior controle da doença em pacientes previamente tratados.

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?

As análises demonstraram tendência favorável à sobrevida global, embora o principal benefício estatisticamente comprovado tenha ocorrido na sobrevida livre de progressão.

c) Ganho de sobrevida livre de progressão?

Sim. O estudo demonstrou aumento estatisticamente significativo da sobrevida livre de progressão com a associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona.

d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

Os resultados evidenciaram maior controle da doença e prolongamento da sobrevida livre de progressão, com perfil de segurança manejável, contribuindo para manutenção da qualidade de vida durante o tratamento.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos?

Sim. A associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona é recomendada pelas principais diretrizes internacionais para pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário.

b) Bula aprovada pela ANVISA?

Sim.

c) Literatura científica de qualidade?

Sim. O esquema é respaldado por ensaios clínicos randomizados de fase III, revisões sistemáticas e diretrizes clínicas internacionais.

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Os estudos demonstram benefício clínico da associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona, com tendência de melhora da sobrevida global e aumento significativo da sobrevida livre de progressão em pacientes previamente tratados. Entretanto, não existem comparações diretas com todas as alternativas terapêuticas atualmente disponíveis no SUS.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Não existem estudos comparando diretamente a associação de isatuximabe, pomalidomida e dexametasona com todas as linhas terapêuticas previamente utilizadas pela autora (VCD, transplante autólogo, KTD e radioterapia). Sua indicação fundamenta-se na demonstração de benefício em pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário após múltiplas linhas de tratamento, perfil clínico semelhante ao descrito no relatório médico. Ressalta-se, contudo, que a ausência de exames complementares nos autos limita a confirmação objetiva da situação clínica atual da paciente.