

Nota Técnica 549337

Data de conclusão: 28/07/2026 14:58:44

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 05/07/1993

Idade: 33 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Joanópolis/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001630-43.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 549337

CID: C92.0 - Leucemia mielóide aguda

Diagnóstico: Leucemia Mielóide Aguda

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): relatórios médicos
Laudos de Mielograma e Imunofenotipagem
Pesquisa de mutação FLT3

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: XOSPATA I HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Princípio Ativo: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Via de administração: VO

Posologia: 120mg 1x ao dia

Uso contínuo? Sim

Duração do tratamento: dia(s)

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: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: No âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), o tratamento de resgate para pacientes com Leucemia Mieloide Aguda recidivada ou refratária baseia-se primordialmente em protocolos de quimioterapia de alta intensidade, como o regime HiDAC (altas doses de citarabina), FLAG-Ida (fludarabina, citarabina e idarrubicina) ou MEC (mitoxantrona, etoposídeo e citarabina). Não existem inibidores de tirosina quinase direcionados à mutação FLT3 incorporados na rede pública, o que limita as opções de tratamento a quimioterápicos citotóxicos convencionais. Na Saúde Suplementar, o gilteritinibe possui cobertura obrigatória conforme o Rol de Procedimentos e Eventos em Saúde da ANS. A cobertura assegura o acesso à tecnologia para pacientes adultos com LMA recidivada ou refratária que apresentem a mutação FLT3, confirmada por exames de biologia molecular. Diferente do sistema público, o setor privado oferece a possibilidade de terapia alvo-específica,

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Laboratório: ASTELLAS FARMA BRASIL IMPORTAÇÃO E DISTRIBUIÇÃO DE MEDICAMENTOS LTDA.

Marca Comercial: Xospata

Apresentação: 40 MG COM REV CT BL AL AL X 84

Preço de Fábrica: 141.438,30

Preço Máximo de Venda ao Governo: 92.118,93

Preço Máximo ao Consumidor: 157.479,63

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Dose Diária Recomendada: 3 comprimidos/dia

Preço Máximo de Venda ao Governo: 92.118,93

Preço Máximo ao Consumidor: 157.479,63

Fonte do custo da tecnologia: Custo anual estimado (3 cps/dia): R\$ 1.200.836,05 (CMED - PMVG)

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A Leucemia Mieloide Aguda é uma neoplasia hematológica caracterizada pela proliferação clonal de precursores mieloides imaturos na medula óssea, com acúmulo de blastos derivados de células-tronco hematopoéticas. Esse processo leva à substituição da hematopoiese normal, resultando em anemia, trombocitopenia, neutropenia e, conseqüentemente, maior risco de infecções, sangramentos e falência medular. Trata-se de uma doença de evolução agressiva, associada a elevadas taxas de mortalidade, especialmente em pacientes idosos e naqueles com fatores de risco intermediário ou alto, nos quais a sobrevida sem tratamento é extremamente limitada. Em pacientes idosos ou considerados inaptos para quimioterapia intensiva, o tratamento padrão atual consiste na associação de agentes hipometilantes, como azacitidina ou decitabina, ao venetoclax, um inibidor da proteína BCL2 que promove apoptose das células leucêmicas. Essa combinação tem demonstrado taxas de resposta global em torno de 60–70%, com melhora significativa na sobrevida livre de progressão e perfil de toxicidade mais favorável quando comparado à quimioterapia convencional, tornando-se uma estratégia amplamente adotada nesse grupo de pacientes.

O fumarato de gilteritinib é um inibidor seletivo de tirosina-quinase que atua principalmente sobre FLT3 e AXL. Seu mecanismo de ação envolve a inibição da sinalização mediada pelo receptor FLT3, incluindo mutações do tipo FLT3-ITD e FLT3-TKD (como D835Y), levando à redução da proliferação celular e indução de apoptose em células leucêmicas dependentes dessa via. Dessa forma, representa terapia-alvo no tratamento da leucemia mieloide aguda com mutação FLT3, particularmente nos cenários de recaída ou refratariedade.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Os resultados esperados são ganhos de sobrevida livre de progressão. A medicação gilteritinibe recentemente recebeu aprovação pela Anvisa como nova opção terapêutica para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mieloide aguda (LMA) recidivada (LMA R/R) ou refratária (resistente ao tratamento) e com

mutação no gene FLT3 (FLT3mut+) com administração oral uma vez ao dia como monoterapia. A LMA é um câncer raro e os pacientes com mutação FLT3 (cerca de 25% a 30% dos casos) têm um prognóstico particularmente ruim, com sobrevida mediana de menos de seis meses após o tratamento com quimioterapia de resgate.

Esta validação se deve pelos resultados do estudo de fase III ADMIRAL, publicado em outubro de 2019 no periódico New England Journal of Medicine, que recrutou 371 pacientes adultos com LMA recidivante ou refratária com uma mutação FLT3 ITD, D835 ou I836. Como resultado principal, os pacientes tratados com gilteritinibe apresentaram sobrevida global (SG) significativamente maior do que aqueles que receberam quimioterapia de resgate. A SG mediana foi de 9,3 meses versus 5,6 meses, respectivamente. Já a taxa de sobrevida em um ano foi de 37% para os pacientes que receberam gilteritinibe versus 17% para os pacientes que receberam quimioterapia de resgate.

Além de proporcionar maior realização do transplante de células tronco hematopoiéticas comparado à quimioterapia de resgate (25,5% vs. 15,3%), também se observou menor incidência de eventos adversos quando ajustada à exposição, assim como menor mortalidade decorrente do tratamento nos primeiros 30 e 60 dias (2,0% e 7,7%, respectivamente, no grupo gilteritinibe enquanto 10,2% e 19,2% no grupo que recebeu a quimioterapia).

Estudo ADMIRAL (2215-CL-0301)

O estudo ADMIRAL é um estudo clínico de Fase 3, aberto, multicêntrico e randomizado de pacientes adultos com LMA recidivada ou refratária com mutação do FLT3 identificada por teste diagnóstico. Neste estudo 371 pacientes foram randomizados em uma proporção de 2:1 para receber gilteritinibe ou uma das seguintes quimioterapias de resgate (247 no grupo de gilteritinibe e 124 no grupo de [quimioterapia](#) de resgate).

O desfecho primário de eficácia da análise final foi a sobrevida global (SG) da população ITT (intenção de tratar), mensurada desde a data da randomização até o óbito por qualquer causa (número de eventos analisados = 261). Os pacientes randomizados para o grupo de gilteritinibe apresentaram uma sobrevida consideravelmente mais longa, quando comparados ao grupo de quimioterapia (HR 0,637; IC de 95% 0,490– 0,830; valor de p unilateral: 0,0004. A sobrevida global mediana foi de 9,3 meses para os pacientes que estavam recebendo gilteritinibe e de 5,6 meses para os que estavam recebendo quimioterapia

Estudo CHRYSALIS (2215-CL-0101)

O estudo CHRYSALIS é um estudo clínico aberto, multicêntrico e com escalonamento de dose que investiga a segurança, tolerabilidade, farmacocinética e farmacodinâmica da terapia com gilteritinibe em pacientes com LMA recidivada ou refratária com mutação no gene FLT3. As mutações no gene FLT3 foram identificadas por resultados locais.

IC: intervalo de confiança; NE: não estimável; NR: não alcançado; NA: não disponível

a. RC foi definida como contagem absoluta de neutrófilos $> 1,0 \times 10^9 /L$, plaquetas $\geq 100 \times 10^9 /L$, contagem diferencial normal da medula com $< 5\%$ de blastos, independência de transfusão de glóbulos vermelhos e plaquetas e nenhuma evidência de leucemia extramedular.

b. A taxa de IC de 95% foi calculada com o uso do método exato, com base na distribuição binomial.

c. DOR foi definida como o tempo desde a data da primeira RC ou RCh até a data de uma recidiva documentada de qualquer tipo.

d. RCh foi definida como blastos da medula $< 5\%$, recuperação hematológica parcial, contagem absoluta de neutrófilos $\geq 0,5 \times 10^9 /L$ e plaquetas $\geq 50 \times 10^9 /L$, nenhuma evidência de leucemia extramedular e não poderia ter sido classificada como RC.

e. Com base nas estimativas de Kaplan-Meier.

Para os pacientes que obtiveram RC/RCh, o tempo mediano até a primeira resposta de RC/RCh foi de 1,9 meses (intervalo: 0,9 a 4,6 meses) no grupo de 80 mg e 1,9 meses

(intervalo: 1 a 9,2 meses) no grupo de 120 mg. O tempo mediano até a melhor resposta de RC/RCh foi de 1,9 meses (intervalo: 0,9 a 10,4 meses) no grupo de 80 mg e 2,1 meses (intervalo: 1 a 12 meses) no grupo de 120 mg.

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

Conclusão

Tecnologia: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: CONSIDERANDO o diagnóstico de Leucemia Mielóide Aguda conforme relatório médico anexado e laudos de Mielograma e pesquisa de mutação do gene FLT3 CONSIDERANDO que o paciente já foi submetido a todas as medicações disponíveis no SUS (protocolos Citarabina e Idarrubicina) sendo refratário a todas elas. CONSIDERANDO que a medicalção solicitada está aprovada e liberada no Brasil para essa indicação clínica

CONCLUI-SE, sob a ótica técnico-científica, clínica e de medicina baseada em evidências, como **FAVORÁVEL** a indicação do **gilteritinibe** para tratamento de **Leucemia Mieloide Aguda recidivada ou refratária com mutação FLT3**, diante do benefício comprovado em sobrevida e da ausência de alternativas terapêuticas equivalentes nesse cenário, em regime de urgência, com a ressalva que a droga ainda não foi avaliada pela CONITEC nesse contexto.

Há evidências científicas? Sim

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

Justificativa: Com risco potencial de vida

Referências bibliográficas: **Gilteritinib** or Chemotherapy for Relapsed or Refractory FLT3-Mutated **AML**. Perl AE, Martinelli G, Cortes JE, Neubauer A, Berman E, Paolini S, Montesinos P, Baer MR, Larson RA, Ustun C, Fabbiano F, Erba HP, Di Stasi A, Stuart R, Olin R, Kasner M, Ciceri F, Chou WC, Podoltsev N, Recher C, Yokoyama H, Hosono N, Yoon SS, Lee JH, Pardee T, Fathi AT, Liu C, Hasabou N, Liu X, Bahceci E, Levis MJ.N Engl J Med. 2019 Oct 31;381(18):1728-1740.

Follow-up of patients with R/R FLT3-mutation-positive **AML** treated with **gilteritinib** in the phase 3 ADMIRAL trial. Perl AE, Larson RA, Podoltsev NA, Strickland S, Wang ES, Atallah E, Schiller GJ, Martinelli G, Neubauer A, Sierra J, Montesinos P, Récher C, Yoon SS, Hosono N, Onozawa M, Chiba S, Kim HJ, Hasabou N, Lu Q, Tiu R, Levis MJ.Blood. 2022 Jun 9;139(23):3366-3375.

Azacitidine, Venetoclax, and **Gilteritinib** in Newly Diagnosed and Relapsed or Refractory FLT3-Mutated **AML**. Short NJ, Daver N, Dinardo CD, Kadia T, Nasr LF, Macaron W, Yilmaz M, Borthakur G, Montalban-Bravo G, Garcia-Manero G, Issa GC, Chien KS, Jabbour E, Nasnas C, Huang X, Qiao W, Matthews J, Stojanik CJ, Patel KP, Abramova R, Thankachan J, Konopleva M, Kantarjian H, Ravandi F.J Clin Oncol. 2024 May 1;42(13):1499-1508.

Phase 3 trial of **gilteritinib** plus azacitidine vs azacitidine for newly diagnosed FLT3mut+ **AML** ineligible for intensive chemotherapy. Wang ES, Montesinos P, Minden MD, Lee JH, Heuser M, Naoe T, Chou WC, Laribi K, Esteve J, Altman JK, Havelange V, Watson AM,

Gambacorti-Passerini C, Patkowska E, Liu S, Wu R, Philipose N, Hill JE, Gill SC, Rich ES, Tiu RV. *Blood*. 2022 Oct 27;140(17):1845-1857.

ANVISA. **Gilteritinibe aprovado para leucemia mieloide aguda recidivada/refratária com mutação FLT3**. Oncologia Brasil; 31 Mar 2020.

Stancioaica MC, et al. **FLT3 inhibitors and AML: status and advances**. *Cancers* 2025.

Conselho de Saúde Suplementar (ANS). **Atualização do Rol de Procedimentos — gilteritinibe para LMA FLT3mut**. Gov.br; Jul 2022.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: Hospital Israelita Albert Einstein

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: 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

Não Foram acostados documentos visando comprovar a hipossuficiência financeira da paciente

NÃO foram acostados documentos visando comprovar a negativa de fornecimento da medicação por órgão oficial vinculado ao SUS

"Venho em atenção aos quesitos colocados por Vossa Excelência (p. 44) responder conforme exposto à seguir:"

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

R: O medicamento não é incorporado

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?

R: Não Há manifestação da CONITEC

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

R: A parte autora esgotou todo o PCDT e todas as alternativas disponíveis no SUS

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

R: As indicações aprovadas pela ANVISA é apenas Leucemia Aguda refratária

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

R: SIM

6. A medicação apresenta uso de acordo com a indicação em bula

7. Existem estudos de fase III que corroboram o uso da medicação

8. Os estudos demonstram superioridade em relação às medicações disponíveis no SUS em termos de sobrevida global

9. O esquema está aprovada de acordo com estudos internacionais e bula aprovada pela ANVISA

10. A sobrevida global é superior em torno de 13 meses

11. A sobrevida é superior em torno de 13 meses