

Nota Técnica 555393

Data de conclusão: 10/08/2026 08:30:39

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 01/09/2000

Idade: 25 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Guarulhos/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001821-88.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 555393

CID: C92.0 - Leucemia mielóide aguda

Diagnóstico: Leucemia mieloide aguda

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Relatórios e prescrição médica
- Relatório médico com diagnóstico de leucemia mieloide aguda, tratamentos prévios realizados (daunorrubicina, citarabina, azacitidina, venetoclax, MEC), sem resposta e indicação de tratamento com gentuzumabe como resgate para transplante de medula óssea (quarto arquivo);

Exames complementares
- Exames laboratoriais de 2026 com anemia, leucopenia e plaquetopenia acentuada (páginas 12 a 13; 33 do segundo arquivo);

- Imunofenotipagem de medula óssea de 2026 com 6,5% de células precursores mieloides com expressão de CD33+ (página 14 do segundo arquivo).

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: MYLOTARG I GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Princípio Ativo: GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Via de administração: Intravenosa (IV)

Posologia: 3 mg/m2 (até 5 mg por dose) administrados nos Dias 1, 4 e 7 no ciclo de Indução. Para pacientes que atingem resposta, a Consolidação consiste em 3 mg/m2 no Dia 1.

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: GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: No SUS, o tratamento da Leucemia Mieloide Aguda refratária é heterogêneo e baseia-se em esquemas de quimioterapia de resgate de alta ou intermediária intensidade, a depender da funcionalidade (*performance status*) e idade do paciente. Os esquemas convencionais de resgate incluem combinações baseadas em altas doses de Citarabina (HD-AraC), associadas a antraciclinas ou outros agentes, tais como os regimes FLAG-IDA (Fludarabina, Citarabina, Idarrubicina e G-CSF), MEC (Mitoxantrona, Etoposídeo, Citarabina) ou reindução com Citarabina e Daunorrubicina (\$7+3\$). Para pacientes elegíveis e que atingem remissão, o Transplante de Células-Tronco Hematopoiéticas (TCTH) alogênico permanece como a única consolidação com potencial curativo definitivo. Para pacientes idosos ou inelegíveis à quimioterapia intensiva, o SUS oferece opções de suporte ou agentes hipometilantes associado a venetoclax. Na Saúde Suplementar (ANS), além da quimioterapia intensiva convencional e do TCTH alogênico, há cobertura de diretrizes de utilização para terapias-alvo e agentes hipometilantes como Azacitidina e Decitabina, além de combinações modernas (quando aprovadas em rol) como Venetoclax combinado a agentes hipometilantes, e inibidores de FLT3 (ex.: Midostaurina

no contexto de indução/manutenção em mutados). O gentuzumabe ozogamicina possui registro na ANVISA e, quando indicado conforme rotulagem (incluindo LMA CD33-positiva refratária/recidivada), pode ser objeto de cobertura na rede privada conforme avaliação de rol e diretrizes vigentes.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Laboratório: PFIZER BRASIL LTDA

Marca Comercial: MYLOTARG

Apresentação: 4,5 MG PO LIOF SOL INJ CT FA VD AMB

Preço de Fábrica: 78.764,80

Preço Máximo de Venda ao Governo: 51.299,60

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Dose Diária Recomendada: 3 mg/m2

Preço Máximo de Venda ao Governo: 205.198,40

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: Custo 4 aplicações: R\$ 205.198,40 (CMED; PMVG)

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A Leucemia Mieloide Aguda é uma neoplasia hematológica agressiva caracterizada pela proliferação descontrolada de células mieloides imaturas na medula óssea, provocando falência medular grave. O diagnóstico é firmado pela presença marcante de blastos na medula óssea ou no sangue periférico, sendo a imunofenotipagem essencial para caracterizar a linhagem mieloide e demonstrar a expressão de antígenos de superfície, com destaque para a presença do marcador CD33 na vasta maioria dos casos. O tratamento tradicional de primeira linha baseia-se em quimioterapia intensiva de indução; contudo, a refratariedade primária e as recidivas representam desafios expressivos. O manejo da doença refratária é complexo, uma vez que a quimioterapia convencional de resgate frequentemente apresenta resposta limitada e elevada toxicidade. Nesse cenário, a

presença do antígeno CD33 nas células leucêmicas viabilizou o desenvolvimento de terapias direcionadas. O gemtuzumabe ozogamicina é um imunoc conjugado anticorpo-droga que associa um anticorpo monoclonal humanizado contra o CD33 a um agente citotóxico potente. Ao se ligar à superfície da célula blástica, o medicamento é internalizado e liberta o componente citotóxico diretamente no interior celular, induzindo a morte da célula tumoral.

A eficácia do medicamento em monoterapia para casos refratários foi demonstrada em estudos clínicos que avaliaram regimes de doses fracionadas. O fracionamento da dose permitiu manter a atividade antileucêmica do fármaco, reduzindo de forma significativa os riscos de toxicidade hepática grave que eram observados com o esquema original de dose única elevada. Os ensaios clínicos demonstraram capacidade de induzir remissão em parcela relevante dos pacientes previamente tratados.

Em termos de segurança, a principal preocupação associada ao uso do gemtuzumabe ozogamicina refere-se à toxicidade hepática, em especial o risco de desenvolvimento da Síndrome de Oclusão Sinusoidal, complicação que exige monitoramento rigoroso. Outros eventos adversos importantes incluem a supressão prolongada da medula óssea, infecções secundárias e reações relacionadas à infusão do medicamento. (Nível de Evidência: 1B; Grau de Recomendação: B).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: O benefício do gemtuzumabe ozogamicina em monoterapia no cenário refratário está fundamentado em ensaios clínicos e revisões sistemáticas da literatura médica. Estudos com a dose fracionada comprovaram que a tecnologia é capaz de induzir remissões completas e remissões com recuperação hematológica incompleta em pacientes que haviam falhado às linhas anteriores de tratamento, apresentando perfil de tolerabilidade superior aos esquemas históricos de dose única.

Análises de dados agrupados e meta-análises mostram que o benefício do medicamento é mais expressivo nos pacientes que apresentam perfil citogenético de risco favorável ou intermediário, nos quais a adição do agente direcionado proporciona ganho perceptível em sobrevida. Para os pacientes com citogenética de alto risco, a evidência de ganho adicional é mais limitada. Na doença refratária, o ganho de sobrevida livre de progressão e sobrevida global manifesta-se prioritariamente pela capacidade do medicamento em atuar como ponte para o transplante de células-tronco hematopoiéticas.

Quando comparado às opções de resgate convencionais disponíveis no SUS, o gemtuzumabe ozogamicina oferece uma alternativa de tratamento direcionado que pode alcançar taxas de resposta satisfatórias com perfil de toxicidade sistêmica diferente da quimioterapia intensiva tradicional. O impacto clínico traduz-se no aumento da probabilidade de controle da doença e no prolongamento da sobrevida em pacientes elegíveis.

Em suma, o resultado esperado é a obtenção de remissão da doença para viabilizar a realização do transplante alogênico de medula óssea, que permanece como a principal estratégia com potencial curativo para este grupo de pacientes.

A CONITEC não avaliou nem emitiu recomendação de incorporação para o gemtuzumabe ozogamicina para o tratamento da Leucemia Mieloide Aguda no SUS. Não há diretriz ou protocolo nacional do Ministério da Saúde recomendando a tecnologia para esta indicação.

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

Conclusão

Tecnologia: GENTUZUMABE OZOGAMICINA

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: CONSIDERANDO o diagnóstico de leucemia mieloide aguda, com persistência de doença após múltiplas linhas de tratamento, incluindo daunorrubicina, citarabina, azacitidina, venetoclax e esquema MEC, sem resposta adequada, conforme relatório médico acostado aos autos;

CONSIDERANDO a indicação médica de gemtuzumabe ozogamicina como terapia de resgate, com objetivo de obtenção de resposta para posterior realização de transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas;

CONSIDERANDO a presença de anemia, leucopenia e plaquetopenia acentuada em exames laboratoriais de 2026 (páginas 12 a 13 e página 33 do segundo arquivo), compatíveis com importante comprometimento hematopoiético;

CONSIDERANDO a imunofenotipagem de medula óssea de 2026 demonstrando população de precursores mieloides com expressão de CD33 em 6,5% das células avaliadas (página 14 do segundo arquivo);

CONSIDERANDO que o gemtuzumabe ozogamicina possui registro sanitário na Anvisa e indicação para pacientes com LMA CD33-positiva em determinados cenários de doença recidivada ou refratária;

CONSIDERANDO a existência de evidências científicas favoráveis ao uso do gemtuzumabe em LMA CD33-positiva;

CONSIDERANDO que a tecnologia não se encontra incorporada ao SUS pela CONITEC para o cenário clínico apresentado;

CONCLUI-SE, FAVORAVELMENTE, COM RESSALVAS, à indicação de gemtuzumabe ozogamicina no presente caso, considerando a LMA refratária após múltiplas linhas terapêuticas, a expressão de CD33 documentada e o objetivo de obtenção de resposta para posterior transplante alogênico. Ressalva-se que a tecnologia não foi incorporada pela CONITEC ao SUS para esta situação clínica.

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:

- Lambert J, Pautas C, Terré C, et al. Gemtuzumab ozogamicin for *de novo* acute myeloid leukemia: final efficacy and safety updates from the open-label, phase III ALFA-0701 trial. *Haematologica*. 2019;104(1):113-119. doi:10.3324/haematol.2018.188888
- Hills RK, Castaigne S, Appelbaum FR, et al. Addition of gemtuzumab ozogamicin to induction chemotherapy in adult patients with acute myeloid leukaemia: a meta-analysis of individual patient data from randomised controlled trials. *Lancet Oncol*. 2014;15(9):986-996. doi:10.1016/S1470-2045(14)70281-5
- Taksin AL, Legrand O, Raffoux E, et al. High efficacy and safety profile of fractionated doses of Mylotarg as induction therapy in patients with relapsed acute myeloblastic leukemia: a prospective study of the alfa group. *Leukemia*. 2007;21(1):66-71. doi:10.1038/sj.leu.2404434

- Pollyea DA, Altman JK, Assi R, et al. NCCN Guidelines® Insights: Acute Myeloid Leukemia, Version 3.2026. *J Natl Compr Canc Netw*. 2026;24(6):222-229. doi:10.6004/jnccn.2026.0028
- Lambert J, Pautas C, Terré C, et al. Gemtuzumab ozogamicin for *de novo* acute myeloid leukemia: final efficacy and safety updates from the open-label, phase III ALFA-0701 trial. *Haematologica*. 2019;104(1):113-119. doi:10.3324/haematol.2018.188888

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 28 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 29 a 31 do primeiro arquivo).

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

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

O paciente apresenta leucemia mieloide aguda com expressão de CD33, doença persistente após múltiplas linhas de tratamento e indicação de gemtuzumabe como terapia de resgate visando à obtenção de resposta para posterior transplante alogênico. Portanto, apresenta características clínicas compatíveis com o perfil de paciente para o qual o medicamento possui atividade terapêutica documentada. O medicamento, contudo, não está incorporado ao SUS.

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?

Não há recomendação específica da CONITEC para incorporação do gemtuzumabe ozogamicina para o tratamento da LMA no SUS. Existem evidências científicas provenientes de estudos clínicos e análises posteriores que demonstram atividade antileucêmica do medicamento em pacientes com LMA CD33-positiva.

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

Conforme documentação apresentada, o paciente já foi submetido a múltiplas estratégias terapêuticas, incluindo daunorrubicina, citarabina, azacitidina, venetoclax e esquema MEC, sem resposta satisfatória. O relatório médico informa ainda ausência de doadores não aparentados compatíveis, permanecendo como possibilidade o transplante haploidêntico após obtenção de resposta com terapia de resgate.

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

medicamento pretendido?

O gemtuzumabe ozogamicina é indicado para tratamento de pacientes com leucemia mieloide aguda CD33-positiva em contextos terapêuticos específicos, conforme registro sanitário vigente.

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

A indicação pleiteada corresponde ao tratamento de leucemia mieloide aguda com expressão de CD33, característica documentada na imunofenotipagem de medula óssea do paciente.

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

A utilização do gemtuzumabe ozogamicina para leucemia mieloide aguda CD33-positiva encontra respaldo em sua indicação terapêutica para LMA, sendo o paciente portador de doença com expressão documentada de CD33 por imunofenotipagem.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Existem ensaios clínicos randomizados demonstrando benefício do gemtuzumabe em determinados cenários de LMA CD33-positiva, incluindo melhora de sobrevida global e sobrevida livre de eventos em associação à quimioterapia. Para doença recidivada ou refratária, também existem estudos clínicos demonstrando atividade antileucêmica e possibilidade de obtenção de remissão, embora não haja comparação randomizada específica com os múltiplos esquemas previamente utilizados pelo paciente.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Há demonstração de benefício do gemtuzumabe em determinados cenários de LMA quando associado à quimioterapia, porém não há estudo comparativo direto com todos os esquemas de resgate previamente utilizados pelo paciente. No caso concreto, seu principal potencial benefício é a obtenção de resposta após falha de múltiplas linhas, possibilitando posterior transplante.

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?

Sim, houve benefício estatisticamente significativo em sobrevida global com a adição do gemtuzumabe à quimioterapia na LMA CD33+.

c) Ganho de sobrevida livre de progressão?

Os estudos demonstraram benefício em sobrevida livre de eventos/recaída em determinados cenários de LMA, especialmente quando o gemtuzumabe é incorporado à terapia inicial. No cenário refratário, o principal desfecho demonstrado é a obtenção de resposta antileucêmica.

d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

Os estudos disponíveis não permitem estabelecer benefício consistente e específico em qualidade de vida para pacientes com LMA refratária após múltiplas linhas terapêuticas.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos? Sim. O gemtuzumabe é reconhecido em diretrizes internacionais como opção terapêutica para pacientes selecionados com LMA CD33-positiva.

b) Bula aprovada pela ANVISA? Sim. O gemtuzumabe está aprovado para tratamento de LMA CD33-positiva.

c) Literatura científica de qualidade? Sim. Há estudos clínicos randomizados, estudos prospectivos e análises posteriores que sustentam a atividade antileucêmica do gemtuzumabe em LMA CD33-positiva.

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

Não é possível estabelecer uma taxa comparativa direta de sobrevida global entre o gemtuzumabe e os tratamentos disponíveis no SUS no cenário específico de LMA refratária após múltiplas linhas, pois não existem estudos randomizados comparando diretamente essas estratégias. Os dados disponíveis demonstram benefício de sobrevida em determinados cenários de LMA, mas não permitem extrapolar uma taxa específica para este paciente.

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

Não há dados que permitam estabelecer comparação direta de sobrevida global entre o gemtuzumabe e os esquemas previamente utilizados pelo paciente, incluindo daunorrubicina/citarabina, azacitidina/venetoclax e MEC. Considerando a ausência de resposta às terapias anteriores, o objetivo clínico do gemtuzumabe neste caso é a obtenção de resposta suficiente para viabilizar o transplante alogênico.

Síntese

No presente caso, trata-se de paciente jovem, de 25 anos, com LMA refratária após múltiplas linhas de tratamento, incluindo quimioterapia intensiva e terapia com azacitidina/venetoclax, sem resposta satisfatória, apresentando expressão de CD33 e com estratégia de transplante alogênico condicionada à obtenção de resposta. A evidência científica sustenta atividade antileucêmica do gemtuzumabe em LMA CD33-positiva, com benefícios em remissão e, em determinados cenários, em sobrevida global e sobrevida livre de eventos.