

Nota Técnica 560365

Data de conclusão: 18/08/2026 16:46:30

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 18/09/1970

Idade: 55 anos

Sexo: Masculino

Cidade: São Bernardo do Campo/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001641-72.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 560365

CID: C92.1 - Leucemia mielóide crônica

Diagnóstico: Leucemia Mielóide Crônica

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudos apensos ao processo

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: NILOTINIBE

Via de administração: oral

Posologia: 200mg 2x 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? Sim

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: SIGTAP

Oncológico? Sim

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: NILOTINIBE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: No Sistema Único de Saúde (SUS), o tratamento da leucemia mieloide crônica inclui o uso de inibidores de tirosina quinase, como o imatinibe, além da possibilidade de transplante de células-tronco hematopoéticas em casos selecionados, especialmente em situações de falha terapêutica, progressão da doença ou resistência medicamentosa.

No âmbito da saúde suplementar, além do imatinibe, encontram-se disponíveis outros inibidores de tirosina quinase de segunda geração, como dasatinibe e nilotinibe, que podem ser utilizados conforme indicação clínica, especialmente em casos de intolerância ou resistência ao tratamento de primeira linha.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: NILOTINIBE

Laboratório: NOVARTIS BIOCIENCIAS S.A

Marca Comercial: TASIGNA

Apresentação: 200 MG CAP DURA CT BL AL PLAS PVC/PVDC TRANS X 112

Preço de Fábrica: 17.219,46

Preço Máximo de Venda ao Governo: 13.512,11

Preço Máximo ao Consumidor: 23.804,89

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: NILOTINIBE

Dose Diária Recomendada: 200 mg 2 x dia

Preço Máximo de Venda ao Governo: 13.512,11

Preço Máximo ao Consumidor: 23.804,89

Fonte do custo da tecnologia: CMED - custo anual estimado R\$162.145,32

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: NILOTINIBE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A leucemia mieloide crônica (LMC) é uma neoplasia hematológica que acomete as células-tronco hematopoiéticas, caracterizada pela proliferação clonal da linhagem mieloide. Do ponto de vista clínico, os pacientes podem apresentar anemia, plaquetopenia ou plaquetose, hiperleucocitose e esplenomegalia, além de risco de progressão para fases mais avançadas da doença, incluindo transformação para leucemia aguda, condição associada a pior prognóstico.

Embora a única modalidade terapêutica com potencial curativo seja o transplante de células-tronco hematopoéticas, a introdução dos inibidores de tirosina quinase (ITQs) modificou de forma significativa a história natural da doença, permitindo controle prolongado e eficaz na maioria dos casos. Esses agentes atuam inibindo a atividade da proteína BCR-ABL1, responsável pela fisiopatologia da LMC, possibilitando controle hematológico, citogenético e molecular da doença com administração oral contínua.

Entretanto, uma parcela dos pacientes apresenta resistência ou intolerância aos ITQs de primeira geração, como o imatinibe, evoluindo com resposta terapêutica inadequada ou efeitos adversos limitantes. Nesses casos, torna-se necessária a utilização de terapias de segunda geração, como o nilotinibe, que apresentam maior potência de inibição da tirosina quinase e perfil farmacológico distinto.

O uso do nilotinibe nesses cenários está associado a elevadas taxas de resposta terapêutica, com resposta global superior a 85% em pacientes previamente tratados, além de maior profundidade de resposta molecular e redução do risco de progressão da doença. Dessa forma, o benefício esperado da tecnologia consiste no resgate terapêutico de pacientes refratários ou intolerantes à primeira linha, promovendo melhor controle da doença e impactando positivamente sua evolução clínica.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: O nilotinibe, inibidor de tirosina quinase de segunda geração, tem como principal benefício promover inibição mais potente e seletiva da proteína BCR-ABL1, responsável pela fisiopatologia da leucemia mieloide crônica. Como resultado, espera-se maior eficácia no controle da doença em comparação aos inibidores de primeira geração, especialmente em pacientes com resposta subótima, resistência ou intolerância ao imatinibe.

Do ponto de vista clínico, o uso do nilotinibe está associado a elevadas taxas de resposta hematológica, citogenética e molecular, frequentemente mais rápidas e profundas, o que se traduz em melhor controle da carga tumoral. Essa resposta mais robusta está relacionada à redução do risco de progressão para fases avançadas da doença, como fase acelerada ou crise blástica, que apresentam pior prognóstico e maior complexidade terapêutica. Além disso, em pacientes previamente expostos ao tratamento de primeira linha, o nilotinibe demonstra elevada taxa de resposta global, superior a 85%, configurando importante alternativa terapêutica de resgate. Esse efeito contribui para manutenção da doença em fase crônica, prolongamento do tempo livre de progressão e potencial impacto positivo na sobrevida. Dessa forma, o resultado esperado com a utilização do nilotinibe é o restabelecimento do controle da doença em pacientes com falha terapêutica prévia, com melhora dos parâmetros laboratoriais, redução da atividade da doença em nível molecular e prevenção de desfechos adversos relacionados à progressão da leucemia mieloide crônica.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: NILOTINIBE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Considerando o diagnóstico de Leucemia Mielóide Crônica refratária, conforme relatório médico

Considerando que relato de que o paciente apresentou efeitos colaterais graves e/ ou refratariedade com as medicações Imatinibe e Dasatinibe

Considerando que a medicação solicitada está aprovada e liberada no Brasil para essa indicação clínica.

CONSIDERANDO não ter sido identificados na documentação apensa ao processo laudos de exames confirmatórios do diagnóstico (biópsia com anatomopatológico e imuno-histoquímica, ou imunofenotipagem ou marcadores moleculares ou biomarcadores ou perfil genético quando aplicáveis), de exames complementares de estadiamento e detalhamento dos tratamentos previamente utilizados na documentação enviada para análise, contendo dados clínicos relevantes que permitam avaliar a demanda pleiteada.

CONCLUI-SE que não há elementos técnicos suficientes para sustentar a indicação pleiteada em regime de urgência, sendo imprescindível que a parte autora junte documentos médicos atualizados, a fim de possibilitar uma melhor avaliação do caso em tela.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas: Long-term outcomes with frontline **nilotinib** versus imatinib in newly diagnosed chronic myeloid leukemia in chronic phase: ENESTnd 10-year analysis. Kantarjian HM, Hughes TP, Larson RA, Kim DW, Issaragrisil S, le Coutre P, Etienne G, Boquimpani C, Pasquini R, Clark RE, Dubruille V, Flinn IW, Kyrz-Krzemien S, Medras E, Zanichelli M, Bendit I, Cacciatore S, Titorenko K, Aimone P, Saglio G, Hochhaus A. Leukemia. 2021 Feb;35(2):440-453

Long-term benefits and risks of frontline **nilotinib** vs imatinib for chronic myeloid leukemia in chronic phase: 5-year update of the randomized ENESTnd trial.Hochhaus A, Saglio G, Hughes TP, Larson RA, Kim DW, Issaragrisil S, le Coutre PD, Etienne G, Dorlhiac-Llacer PE, Clark RE, Flinn IW, Nakamae H, Donohue B, Deng W, Dalal D, Menssen HD, Kantarjian HM.Leukemia. 2016 May;30(5):1044-54.

Nilotinib versus imatinib for newly diagnosed chronic myeloid leukemia.Saglio G, Kim DW, Issaragrisil S, le Coutre P, Etienne G, Lobo C, Pasquini R, Clark RE, Hochhaus A, Hughes TP, Gallagher N, Hoenekopp A, Dong M, Haque A, Larson RA, Kantarjian HM; ENESTnd Investigators.N Engl J Med. 2010 Jun 17;362(24):2251-9.

A phase 2 study of **nilotinib** in pediatric patients with **CML**: long-term update on growth retardation and safety.Hijiya N, Maschan A, Rizzari C, Shimada H, Dufour C, Goto H, Kang HJ, Guinipero T, Karakas Z, Bautista F, Ducassou S, Yoo KH, Zwaan CM, Millot F, Patterson B, Samis J, Aimone P, Allepuz A, Titorenko K, Sosothikul D.Blood Adv. 2021 Jul 27;5(14):2925-2934

Clinical Pharmacokinetic and Pharmacodynamic Overview of **Nilotinib**, a Selective Tyrosine Kinase Inhibitor.Tian X, Zhang H, Heimbach T, He H, Buchbinder A, Aghoghovbia M, Hourcade-Potelleret F.J Clin Pharmacol. 2018 Dec;58(12):1533-1540

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: Hospital Israelita Albert Einstein

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: NÃO FORAM IDENTIFICADOS NOS ANEXOS DOCUMENTOS INDICATIVOS DA CONDIÇÃO ECONÔMICA DO (DA) SOLICITANTE.

NÃO FOI IDENTIFICADO NOS ANEXOS DOCUMENTAÇÃO COMPROBATÓRIA DE NEGATIVA ADMINISTRATIVA DE FORNECIMENTO DA TECNOLOGIA SOLICITADA POR ENTIDADE PÚBLICA VINCULADA AO SUS.

NÃO FOI IDENTIFICADA SOLICITAÇÃO DE INCORPORAÇÃO AO SUS PENDENTE DE ANÁLISE PELA CONITEC PARA A PRESENTE TECNOLOGIA NO CONTEXTO CLÍNICO DESCRITO.

"Venho em atenção aos quesitos colocados por Vossa Excelência (p.26) responder conforme exposto à seguir:"

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

R: SIM

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores 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: Sim, esgotou todo o PCDT e segue sem alternativas disponíveis no SUS

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

R: Apenas para Leucemia Mielóide Crônica refratária

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

R: SIM

6. Não se trata de uso off label

7. Sim, existem estudos randomizados de fase 3
- 8.. Os estudos apresentados apresentam superioridade de taxas de resposta, sobrevida livre de progressão, porém não apresentam melhora de sobrevida global
9. Os estudos estão de acordo com protocolos internacionais, bula aprovada pela Anvisa e literatura médica de qualidade
10. Não existe comparação em termos de sobrevida global
11. a taxa de sobrevida global acima de 85% em 10 anos