

NOTA TÉCNICA Nº 5914/2026 - NAT-JUS/SP

1. IDENTIFICAÇÃO DO SOLICITANTE

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5000904-69.2026.4.03.6703
1.3. Data da Resposta: 30/07/2026
1.4. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. PACIENTE

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 06/06/1962 – 64 anos
2.2. Sexo: Feminino
2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
2.4. Histórico da doença: Anemia refratária com sideroblastos – CID D46.1

3. OBSERVAÇÕES INICIAIS

Uma vez que o NatJus se destina exclusivamente à análise da relação entre doença, medicamento, procedimento ou produto sob a perspectiva da Medicina Baseada em Evidências, anotamos que não respondemos quesitos, nem tampouco nos manifestamos sobre laudos periciais realizados e materiais cirúrgicos.

De igual forma, não emitimos notas técnicas ou manifestações assemelhadas em:

1. Ações que versem sobre dispensação de medicamentos pertencentes ao Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF), cuja análise compete à Rede de Atenção Básica do Município;
2. Pedidos de apressamento da fila do CROSS (Central de Regulação de Ofertas e Serviços de Saúde);
3. Ações que não digam respeito diretamente ao Direito à Saúde, entre as quais aquelas envolvendo questões de cobertura contratual, bem como as que versem acerca de custeio de tecnologias e valores correspondentes a materiais cirúrgicos;
4. Ações de responsabilidade civil, no que estão abarcados os casos de erros médicos, bem como processos criminais.

Assim, passamos à emissão do parecer técnico, **restrito** aos limites de atuação deste núcleo, com base nas evidências científicas disponíveis.



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?
REBLOZYL	LUSPATERCEPTE	1018004110021	NÃO	-	NÃO

Medicamento	Marca Comercial de menor preço	Laboratório	Apresentação	Preço vigente Tabela CMED - PMVG
REBLOZYL	REBLOZYL	BRISTOL-MYERS SQUIBB FARMACÊUTICA LTDA	25 MG PO LIOF SOL INJ SC CT FA VD TRANS	R\$ 10.076,33

4.2. RECOMENDAÇÕES DA CONITEC:

A CONITEC avaliou o luspatercepte para o tratamento da anemia associada à Síndrome Mielodisplásica, reconhecendo sua eficácia na redução da dependência transfusional e na melhora dos níveis de hemoglobina.

- (X) RECOMENDADO
() NÃO RECOMENDADO
() NÃO AVALIADO

5. DISCUSSÃO

5.1. EVIDÊNCIAS SOBRE A EFICÁCIA E SEGURANÇA DA TECNOLOGIA:

A anemia representa a manifestação clínica mais frequente da Síndrome Mielodisplásica e constitui importante causa de morbidade, internações, fadiga, limitação funcional e redução da qualidade de vida. Em pacientes que evoluem com dependência transfusional, o tratamento exclusivamente de suporte leva ao desenvolvimento progressivo de sobrecarga de ferro, maior risco cardiovascular, disfunção hepática, complicações endócrinas e aumento da mortalidade.

O presente paciente apresenta anemia grave, necessitando aproximadamente uma transfusão semanal, apesar do tratamento com eritropoetina por seis meses, caracterizando falha aos agentes estimuladores da eritropoiese. Além disso, já necessita de deferasirox para tratamento da hemossiderose transfusional, evidenciando o impacto clínico da dependência transfusional crônica.

O luspatercepte atua por mecanismo distinto da eritropoetina. Trata-se de uma proteína de fusão que se liga aos ligantes da superfamília do TGF- β , reduzindo a sinalização SMAD2/3 e promovendo a maturação terminal dos precursores eritroides. Dessa forma, atua principalmente na fase final da eritropoese, permitindo aumento da produção de hemácias mesmo em pacientes que já não respondem aos agentes estimuladores da eritropoiese.

A principal evidência científica deriva do estudo MEDALIST, ensaio clínico fase III, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, que incluiu pacientes com Síndrome Mielodisplásica de baixo risco ou risco intermediário muito baixo/baixo, dependentes de transfusão e refratários ou inelegíveis aos agentes estimuladores da eritropoiese. O estudo demonstrou que o luspatercepte proporcionou taxas significativamente superiores de independência transfusional por pelo menos oito semanas, além de redução importante da carga transfusional e aumento sustentado da hemoglobina.

As análises de seguimento do MEDALIST confirmaram que muitos pacientes mantiveram benefício por períodos prolongados, reduzindo substancialmente o número de transfusões necessárias e, conseqüentemente, diminuindo o risco de complicações relacionadas à sobrecarga de ferro.

Mais recentemente, o estudo COMMANDS, fase III, comparou diretamente o luspatercepte com epoetina alfa como tratamento inicial da anemia em pacientes com Síndrome Mielodisplásica de baixo risco. O estudo demonstrou superioridade do luspatercepte tanto na obtenção de independência transfusional quanto na duração das respostas, consolidando o medicamento como uma das principais estratégias para o manejo da anemia na SMD.

Embora o paciente apresente IPSS-R intermediário, sua principal manifestação clínica é a anemia transfusão-dependente, sem aumento expressivo da porcentagem de

blastos (3%), mantendo perfil biológico no qual o controle da insuficiência medular constitui o principal objetivo terapêutico. Nessa situação, a utilização do luspatercepte visa reduzir a dependência transfusional e suas complicações, antes da necessidade de terapias mais intensivas.

A redução da necessidade transfusional possui impacto clínico expressivo. Além da melhora da qualidade de vida, reduz hospitalizações, complicações relacionadas às transfusões repetidas, aloimunização, infecções, sobrecarga de ferro e necessidade futura de quelação intensiva.

O perfil de segurança do luspatercepte é favorável. Os eventos adversos mais frequentemente descritos incluem fadiga, cefaleia, hipertensão arterial, artralgia, dor óssea, tontura e reações no local da aplicação, sendo a maioria de intensidade leve ou moderada e manejável ambulatorialmente.

As diretrizes da NCCN, European LeukemiaNet (ELN), European Hematology Association (EHA) e ESMO recomendam o luspatercepte como tratamento preferencial para pacientes com Síndrome Mielodisplásica e anemia transfusão-dependente após falha aos agentes estimuladores da eritropoiese, exatamente o cenário clínico apresentado.

5.2. BENEFÍCIO/EFEITO/RESULTADO ESPERADO DA TECNOLOGIA:

- Redução significativa da dependência transfusional;
- Possibilidade de independência transfusional prolongada;
- Aumento dos níveis de hemoglobina;
- Redução da sobrecarga de ferro;
- Diminuição da necessidade de quelação;
- Redução das complicações relacionadas às transfusões;
- Melhora da capacidade funcional;
- Melhora da qualidade de vida

6. CONCLUSÃO

6.1. PARECER

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. JUSTIFICATIVA:

O paciente apresenta Síndrome Mielodisplásica com anemia grave transfusão-dependente, necessitando transfusões semanais apesar de tratamento adequado com eritropoetina por seis meses. A dependência transfusional já resultou em sobrecarga de ferro, exigindo tratamento com deferasirox.

O luspatercepte apresenta benefício comprovado na redução da necessidade transfusional, aumento da hemoglobina e melhora da qualidade de vida em pacientes com falha aos agentes estimuladores da eritropoiese, sendo atualmente recomendado pelas principais diretrizes internacionais.

Considerando a ausência de resposta ao tratamento convencional, o elevado impacto clínico da dependência transfusional, o risco cumulativo de complicações relacionadas às transfusões e o sólido respaldo científico disponível, conclui-se que o tratamento com luspatercepte é tecnicamente indicado, cientificamente fundamentado e clinicamente justificável.

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. Fenaux P, et al. MEDALIST Trial. New England Journal of Medicine. 2020.
2. Platzbecker U, et al. COMMANDS Trial. New England Journal of Medicine. 2023.
3. NCCN Clinical Practice Guidelines – Myelodysplastic Syndromes.
4. European LeukemiaNet (ELN). Recommendations for Myelodysplastic Syndromes.
5. ESMO Clinical Practice Guidelines – Myelodysplastic Syndromes.
6. European Hematology Association (EHA). Guidelines for Myelodysplastic Syndromes.

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://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.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.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravamento 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.