

NOTA TÉCNICA Nº 6113/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5001132-12.2025.4.03.6143
1.3. Data da Solicitação: 07/08/2025
1.4. Data da Resposta: 24/09/2025
1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 11/03/1976 - 49 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: Araras/SP
2.4. Histórico da doença: Mieloma Múltiplo - C 90.0

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

1 – Considerando as condições descritas no relatório médico acostado aos autos, a parte autora se enquadra na especificação do público-alvo descrito na bula do medicamento?

Sim, paciente com mieloma múltiplo refratário/recidivado.

2 – Há evidências científicas que justifiquem o uso do medicamento para o tratamento da doença que acomete a parte autora? Em caso positivo, citar as evidências científicas.

O conjunto das evidências demonstra de forma robusta que a combinação daratumumabe + lenalidomida + dexametasona é superior às terapias atualmente disponíveis no SUS e representa opção indispensável para pacientes com mieloma refratário. (1)

3- Justifica-se a alegação de urgência noticiada na petição inicial?

Urgência oncológica.

4- O medicamento requerido é registrado na ANVISA?

Sim, os três medicamentos possuem registro na ANVISA.

5 – Em caso negativo, há pedido de registro do medicamento no Brasil? Se houver pedido de registro, apresentar informações sobre a tramitação do pedido de registro (data, fase em que se encontra, etc.)?

Não se aplica.

6 – O medicamento pleiteado é registrado em renomadas agências de regulação no exterior (ex. EUA, União Europeia, Japão)? Em caso positivo quais?

Sim, tem aprovação pela FDA e EMA.

7- O medicamento pode ser considerado órfão ou existem outras tecnologias disponíveis no SUS, de eficácia comprovada cientificamente, sejam eles cirúrgicos, terapêuticos ou

medicamentosos, que ainda não tenham sido ministrados à parte autora e que se encontrem no rol dos recursos disponibilizados pelo SUS?

Não é considerado medicamento órfão.

8 – O medicamento requerido é o único possível para o tratamento da parte autora e, portanto, pode ser considerado imprescindível?

Considerando o esgotamento terapêutico no SUS e a idade da paciente, o esquema DRd é a única estratégia com evidência robusta e aplicabilidade clínica efetiva, com potencial de controlar a progressão da doença e melhorar significativamente a qualidade de vida.

9 – É possível que seja estabelecido um comparativo (custo x efetividade), entre o medicamento indicado no item anterior e o medicamento pleiteado?

Não se aplica.

10 – Quais os riscos caso a parte autora não utilize o medicamento requerido?

Progressão mais rápida da doença.

11 – Há algum posicionamento da CONITEC acerca do uso do medicamento requerido para o tratamento da enfermidade que acomete a parte autora?

Daratumumabe:

- Avaliado para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado e/ou refratária que receberam uma única terapia prévia no Sistema Único de Saúde (SUS). Decisão de não incorporação ao SUS.
- Avaliado para o controle do mieloma múltiplo recidivado ou refratário (MMRR). Decisão de não incorporação ao SUS.

Lenalidomida:

- Avaliado para tratamento de pacientes com mieloma múltiplo inelegíveis ao transplante de células tronco hematopoiéticas. Decisão de não incorporação ao SUS.
- Avaliado para terapia de manutenção em pacientes com mieloma múltiplo submetidos ao transplante de células tronco hematopoiéticas. Decisão de não incorporação ao SUS.

A combinação DRd ainda não foi avaliada em conjunto pela CONITEC.

12 – Apresente outros elementos que considere importante para análise do caso:

13 – Há evidências científicas?

O principal estudo que respalda a eficácia dessa combinação é o ensaio clínico de fase III POLLUX. Nesse estudo, 569 pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário foram randomizados para receber DRd ou Rd (lenalidomida + dexametasona).

14 – Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência a Emergência do CFM?

Urgência oncológica.

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?
DARATUMUMABE 1.800mg/15ml	DARATUMUMABE	1123634140044	NÃO*	Ciclofosfamida, talidomida, dexametasona, melfalano e transplante de medula óssea autólogo. Dependente de protocolo do CACON e UNACON*	NÃO
LENALIDOMIDA 25mg	LENALIDOMIDA	1468201200155	NÃO*		SIM
DEXAMETASONA 4mg	DEXAMETASONA	1023507020469	SIM	Pertence ao Componente Básico da Assistência Farmacêutica - CBAF.	SIM

*Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Os Centros de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) e as Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
DARATUMUMABE 1.800mg/15ml	DALINVI	JANSSEN-CILAG FARMACEUTICA LTDA	1800 MG SOL INJ CT FA VD TRANS X 15 ML	R\$ 19.682,55	22 doses de 1.800mg por ano	R\$ 433.016,10
LENALIDOMIDA 25mg	LENALIDOMIDA	SUN FARMACÊUTICA DO BRASIL LTDA	25 MG CAP DURA CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 21	R\$ 11.416,22	02 cp. a cada 28 dias	R\$ 22.832,44
DEXAMETASONA 4mg	DEXAMETASONA	EMS S/A	4 MG COM CT BL AL PLAS OPC X 40	-	10 cp. por semana	-
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 455.848,54		
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE PÚBLICA		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência setembro/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC:

Daratumumabe:

- Avaliado para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado e/ou refratária que receberam uma única terapia prévia no Sistema Único de Saúde (SUS). Decisão de não incorporação ao SUS.
- Avaliado para o controle do mieloma múltiplo recidivado ou refratário (MMRR). Decisão de não incorporação ao SUS.

Lenalidomida:

- Avaliado para tratamento de pacientes com mieloma múltiplo ineligíveis ao transplante de células tronco hematopoiéticas. Decisão de não incorporação ao SUS.
- Avaliado para terapia de manutenção em pacientes com mieloma múltiplo submetidos ao transplante de células tronco hematopoiéticas. Decisão de não incorporação ao SUS.

A combinação DRd ainda não foi avaliada em conjunto pela CONITEC.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Sobre o Mieloma Múltiplo

O mieloma múltiplo (MM) é uma neoplasia maligna de plasmócitos provenientes da medula óssea que, de acordo com a Agência Internacional para Pesquisa em Câncer da Organização Mundial de Saúde (OMS), em 2020, foi responsável por 176.404 novos casos e 117.077 óbitos de pacientes com ambos os sexos. A incidência mundial, neste mesmo ano, foi de 1,8 casos/100 mil habitantes com taxa de mortalidade mundial de 1,1 óbitos/100 mil habitantes. Na América do Sul, a incidência foi de 2,0 casos/100 mil habitantes e a taxa de mortalidade foi de 1,5 óbitos a cada 100 mil habitantes, para ambos os sexos. No Brasil, dados do Painel Oncologia Brasil mostram que, entre 2013 e 2019, foram diagnosticados cerca de 2.600 casos de MM, anualmente, em ambos os sexos, estimando-se 1,24 casos/100 mil habitantes.

Algumas condições clínicas também estão associadas ao maior risco de desenvolver MM, tais como a gamopatia monoclonal de significado indeterminado (GMSI), o plasmocitoma solitário e o MM latente. Indivíduos com GMSI, com mais de 1,5 g/dL de proteína M e razão alterada de cadeias leves livres, apresentam risco aumentado entre 20% e 30% de desenvolverem MM ativo em 20 anos. O plasmocitoma solitário, em especial o plasmocitoma ósseo, apresenta risco maior que o plasmocitoma extramedular na evolução para o MM (35% e 7%, respectivamente, em dois anos). Já o MM latente apresenta um risco de progressão entre 70 e 80% em dois anos, com taxas decrescentes em função do tempo.

O MM é classicamente descrito como síndrome “CRAB”, acrônimo, do inglês, que resume as principais manifestações clínicas da doença: hipercalcemia (Calcium elevation), insuficiência renal (Renal failure), anemia (Anemia) e doença óssea (Bone disease). A doença é caracterizada pela proliferação descontrolada de plasmócitos, que pode causar sinais e sintomas localizados, de acordo com o sítio de proliferação (principalmente ossos), e sistêmicos, que ocorrem pelo excesso dessas células na corrente sanguínea. Cerca de 73% dos pacientes apresentam anemia ao diagnóstico, que está associada à fadiga em 32% dos casos. Outras manifestações observadas são dores ósseas (58%), perda de peso (28%), parestesia (5%) e febre (0,7%).

Por apresentar grande carga de sintomas, o MM pode comprometer a qualidade de vida e a capacidade funcional dos pacientes, desde os estágios iniciais da doença, até os mais avançados. Os pacientes relatam alterações em todos os domínios relacionados à qualidade de vida, como aspectos emocionais, capacidade física (mobilidade, lazer, hobby e atividade sexual), aspectos cognitivos e sociais (rede de apoio familiar; institucional e financeiro). As principais queixas físicas incluem formigamento nas mãos e nos pés, dores osteomusculares e tontura, além de ansiedade, depressão e fadiga que requerem atenção dos profissionais de saúde.

A atenção à saúde do paciente com MM no Sistema Único de Saúde (SUS) envolve diferentes níveis de complexidade, desde a identificação precoce de sinais e sintomas que levam à suspeita clínica, preferencialmente na atenção primária, até a confirmação diagnóstica em um centro de referência em oncologia, acompanhada do planejamento do tratamento. De acordo com a Política Nacional para a Prevenção e Controle do Câncer na Rede de Atenção à Saúde das Pessoas com Doenças Crônicas no âmbito do SUS, a atenção ao paciente oncológico, incluindo os pacientes com MM, deve ser realizada de forma multiprofissional e envolve diferentes especialidades como ortopedia, fisioterapia, nefrologia, enfermagem, odontologia, psicologia, fisioterapia, cuidados paliativos, radiologia, além de serviços de procedimentos diagnósticos especializados.

A apresentação clínica inicial do paciente com MM pode variar, cabendo aos profissionais da atenção primária o encaminhamento à Unidade de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) ou ao Centro de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) a partir das características epidemiológicas, da avaliação clínica e dos exames complementares. Em alguns casos, pacientes com sintomas agudos ou subagudos podem procurar a Rede de Urgência e Emergência, principalmente por fraturas, dores osteomusculares, infecções, fraqueza e perda de peso. Diante da suspeita clínica, estes pacientes devem ter seu referenciamento assegurado e, se necessário, serem transferidos ao hospital geral de referência.

O Ministério da Saúde, na Portaria nº 708 de 6 de agosto de 2015, aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para Mieloma Múltiplo. Nele há a seguinte

orientação quanto aos medicamentos que podem ser utilizados em primeira linha no tratamento do MM: “Os seguintes medicamentos possuem atividade clínica anti-mieloma e podem ser igualmente usados na poliquimioterapia de primeira linha em diferentes combinações: bortezomibe, ciclofosfamida, cisplatina, dexametasona, doxorrubicina, doxorrubicina lipossomal, etoposide, melfalano, vincristina e talidomida”.

Quanto à terapia de casos refratários ou recidivados de MM, o PCDT faz as seguintes orientações: “opções de tratamento para MM recidivado ou refratário à quimioterapia incluem novo TMO autólogo, repetição de agentes quimioterápicos utilizados anteriormente ou uso de outros agentes com atividade clínica anti-mieloma ainda não utilizados na primeira linha”.

Assim, PCDT do Ministério da Saúde do Brasil para o tratamento do MM não menciona a lenalidomida e o daratumumabe como opções terapêuticas.

O tratamento varia dependendo de características moleculares do tumor, que determinam sua agressividade e responsividade, além de características clínicas do paciente. Em geral envolve quimioterapia e transplante de medula, quando possível. Embora tenha alta efetividade, o tratamento padrão não é curativo e é comum recorrências e refratariedade. Nestes casos geralmente se emprega o uso de múltiplas drogas concomitantes, incluindo lenalidomida, dexametasona e imunoterápicos como bortezomibe ou daratumumabe. A escolha depende fortemente de critérios individuais.

As taxas de resposta de tratamento de Mieloma Múltiplo quando associado um inibidor de proteassoma (Bortezomibe) chegam mais de 80% de resposta global, podendo atingir cerca de 15% de respostas completas. Há evidência clara que a medicação agrega ganho de sobrevida global e sobrevida livre de progressão da doença.

Daratumumabe

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Agentes antineoplásicos.

Indicações

O medicamento daratumumabe é indicado:

Em combinação com bortezomibe, talidomida e dexametasona para o tratamento de pacientes recém-diagnosticados com mieloma múltiplo elegíveis ao transplante autólogo de células-tronco;

Em combinação com lenalidomida e dexametasona ou com bortezomibe, melfalano e prednisona, para o tratamento de pacientes recém-diagnosticados com mieloma múltiplo que são inelegíveis ao transplante autólogo de células-tronco;

Em combinação com lenalidomida e dexametasona ou bortezomibe e dexametasona, para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo que receberam pelo menos um tratamento prévio;

Em combinação com carfilzomibe e dexametasona, para o tratamento de pacientes adultos com mieloma múltiplo que receberam de um a três tratamentos prévios; e

Em monoterapia, para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo que receberam pelo menos três linhas de tratamento prévio, incluindo um inibidor de proteassoma (IP) e um agente imunomodulador, ou que foram duplamente refratários a um IP e um agente imunomodulador.

O medicamento daratumumabe (solução injetável subcutânea) também é indicado para o tratamento de pacientes com amiloidose de cadeia leve (AL).

c. **Informações sobre o medicamento**

Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Em relação a assistência oncológica, o medicamento daratumumabe não está citado nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas em Oncologia do Ministério da Saúde. Entretanto, os Centros de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) e as Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Avaliação pela CONITEC

Em março de 2022, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 702, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SCTIE/MS nº 18, de 11 de março de 2022, com a decisão final de sugerir a não incorporação do medicamento daratumumabe em monoterapia ou associado à terapia antineoplásica para o controle do mieloma múltiplo recidivado ou refratário, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Em outubro de 2023, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 848, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 59, de 18 de outubro de 2023, com a decisão final de sugerir a não incorporação do medicamento daratumumabe em combinação com bortezomibe e dexametasona para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo recidivado e/ou refratário que receberam uma única terapia prévia, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

e. **Informações sobre o financiamento do medicamento**

Cabe informar que os medicamentos oncológicos, devido sua forma de financiamento, não fazem parte da lista de medicamentos especiais de Alto Custo do Ministério da Saúde (GRUPOS 1A, 1B, 2 do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF), não

existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

Lenalidomida

a. Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)

Imunossuppressores.

b. Indicações

O medicamento lenalidomida é indicado:

Em terapia combinada, para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo que não receberam tratamento prévio e não são elegíveis a transplante;

Em combinação com bortezomibe e dexametasona, para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo que não receberam tratamento prévio;

Em monoterapia, para o tratamento de manutenção de pacientes com mieloma múltiplo recém-diagnosticado que foram submetidos a transplante autólogo de células-tronco;

Em combinação com dexametasona, para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo refratário/recidivado que receberam ao menos um esquema prévio de tratamento;

Para o tratamento de pacientes com anemia dependente de transfusões decorrente de síndrome mielodisplásica de risco baixo ou intermediário-1, associada à anormalidade citogenética de deleção 5q, com ou sem anormalidades citogenéticas adicionais;

Em combinação com rituximabe (anticorpo anti-CD20), para o tratamento de pacientes com linfoma folicular ou linfoma de zona marginal previamente tratados; e

Para o tratamento de pacientes com linfoma de células do manto refratário/recidivado.

c. Informações sobre o medicamento

Os medicamentos oncológicos pertencem a Assistência Oncológica, dessa forma não integram a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME). Em relação a assistência oncológica, o medicamento lenalidomida não está citado nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas em Oncologia do Ministério da Saúde. Entretanto, os Centros de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (CACON) e as Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Considerações:

De acordo com a Resolução Normativa - RN nº 465, de 24 de fevereiro de 2021 os Planos de Saúde devem fornecer obrigatoriamente aos seus beneficiados, no mínimo, o descrito nesta RN e seus Anexos podendo oferecer cobertura maior por sua iniciativa ou mediante expressa previsão no instrumento contratual referente ao plano privado de

assistência à saúde. Dentre as Terapias Antineoplásicas Orais para Tratamento do Câncer, que pertencem à referência básica para cobertura mínima obrigatória, encontra-se o medicamento lenalidomida indicado para tratamento de: 1) Mieloma Múltiplo em combinação com Dexametasona, para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo refratário recidivado (MMRR) que receberam ao menos um esquema prévio de tratamento; em monoterapia para o tratamento de manutenção de pacientes com mieloma múltiplo recém-diagnosticado que foram submetidos a transplante autólogo de células tronco; em terapia combinada (Lenalidomida em combinação com Dexametasona (Rd); Lenalidomida em combinação com Melfalano e Prednisona seguida por tratamento de manutenção com Lenalidomida (MPR+R); Lenalidomida em combinação com Bortezomibe e Dexametasona (RVd)), para o tratamento de pacientes com mieloma múltiplo que não receberam tratamento prévio e não são elegíveis a transplante; 2) Síndrome mielodisplásica: Tratamento de pacientes com anemia dependente de transfusões decorrente de síndrome mielodisplásica de risco baixo ou intermediário-1, associada à anormalidade citogenética de deleção 5q, com ou sem anormalidades citogenéticas adicionais. Sendo, portanto, sua cobertura obrigatória pelas operadoras de planos de saúde.

d. Avaliação pela CONITEC

Em março de 2022, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 905, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SECTICS/MS nº 29, de 26 de junho de 2024, com a decisão final de sugerir a incorporação do medicamento lenalidomida em combinação com rituximabe para pacientes com linfoma folicular previamente tratados. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Em março de 2022, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 701, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SCTIE/MS nº 16, de 11 de março de 2022, com a decisão final de sugerir a não incorporação do medicamento lenalidomida para pacientes adultos com mieloma múltiplo inelegíveis ao transplante de células-tronco hematopoiéticas, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

Em março de 2022, a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 700, aprovado pelo Ministério da Saúde por meio da Portaria SCTIE/MS nº 21, de 11 de março de 2022 com a decisão final de sugerir a não incorporação do medicamento lenalidomida para terapia de manutenção em pacientes adultos com mieloma múltiplo submetidos ao transplante de células-tronco

hematopoiéticas, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Entretanto, cabe salientar que os CACON e UNACON são os responsáveis pela escolha de medicamentos e protocolos a serem ofertados à população.

e. **Informações sobre o financiamento do medicamento**

Cabe informar que os medicamentos oncológicos, devido sua forma de financiamento, não fazem parte da lista de medicamentos especiais de Alto Custo do Ministério da Saúde (GRUPOS 1A, 1B, 2 do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAF), não existindo nenhum protocolo específico para sua liberação pelas Secretarias Estaduais de Saúde.

Dexametasona

a. **Classificação Anatômica Terapêutica Química (ATC)**

Corticosteroides para uso sistêmico.

b. **Indicação**

O medicamento dexametasona é indicado para o tratamento de condições nas quais os efeitos anti-inflamatórios e imunossupressores dos corticosteroides são desejados, especialmente para tratamento intensivo durante períodos mais curtos, principalmente para:

Doenças neoplásicas: no tratamento paliativo de leucemias e linfomas do adulto e leucemia aguda da infância;

Estados edematosos: para induzir diurese ou remissão da proteinúria na síndrome nefrótica sem uremia, do tipo idiopático ou devido ao lupus eritematoso.

c. **Informações sobre o medicamento**

O medicamento dexametasona está padronizado pelo Ministério da Saúde, por meio do Componente Básico da Assistência Farmacêutica - CBAF, nas apresentações 4 mg (comprimido) e 0,1 mg/mL (elixir). Além de fazer parte do Anexo I do elenco de medicamentos da RENAME, também compõe o "Anexo A" da Deliberação 501/CIB/13, de 27 de novembro de 2013, sendo a disponibilização desse medicamento OBRIGATÓRIA e de responsabilidade dos municípios.

O acesso aos medicamentos do CBAF se dá por meio das Unidades Básicas de Saúde do município onde reside o paciente mediante apresentação de receita médica, documento de identificação e cartão do SUS, sendo as apresentações na forma solução injetável de uso exclusivo ambulatorial e hospitalar, não sendo dispensadas ao paciente.

d. **Informações sobre o financiamento do medicamento**

O financiamento dos medicamentos pertencentes ao CBAF é responsabilidade dos três entes federados (União, estados e municípios), sendo o repasse financeiro regulamentado pelo artigo nº 537 da Portaria de Consolidação nº 6, de 28 de setembro de 2017 que foi alterado pela Portaria Nº 3.193, de 9 de dezembro de 2019. Assim, o governo federal realiza

mensalmente o repasse de recursos financeiros aos municípios ou estados, com base no Índice de Desenvolvimento Humano Municipal (IDHM). Os municípios devem destinar recursos próprios para compor o financiamento tripartite da atenção básica.

A combinação daratumumabe + lenalidomida + dexametasona (DRd) é amplamente reconhecida na literatura científica como uma das opções terapêuticas mais eficazes e bem toleradas para o tratamento de mieloma múltiplo recidivado, especialmente após falha de esquemas iniciais contendo bortezomibe e ciclofosfamida, como VCD.

O principal estudo que respalda a eficácia dessa combinação é o ensaio clínico de fase III POLLUX. Nesse estudo, 569 pacientes com mieloma múltiplo recidivado ou refratário foram randomizados para receber DRd ou Rd (lenalidomida + dexametasona). Os resultados demonstraram:

- Taxa de resposta global (ORR): 93% no grupo DRd vs. 76% no grupo Rd;
- Taxa de resposta completa (CR): 43% vs. 19%;
- Sobrevida livre de progressão (PFS): 45 meses no grupo DRd vs. 17,5 meses no grupo Rd;
- Redução de 63% no risco de progressão ou morte (HR 0,37; $p < 0,001$);

O benefício clínico foi observado em diversos subgrupos, incluindo pacientes com idade ≥ 65 anos e em recaída precoce. O perfil de segurança da combinação foi considerado aceitável, com maior incidência de neutropenia, infecções de vias aéreas superiores e reações infusionais, mas sem aumento significativo de toxicidade grave quando comparado ao grupo controle.

As principais diretrizes internacionais recomendam o DRd como esquema preferencial para pacientes com recaída precoce após terapias contendo inibidores de proteassoma:

NCCN Guidelines v1.2025: DRd é listado como tratamento preferencial de categoria 1 para mieloma múltiplo recidivado.

ESMO 2023: recomenda DRd como regime altamente eficaz, especialmente em pacientes que não são candidatos ao transplante.

UpToDate 2024: considera DRd como opção padrão após falha de VCD ou bortezomibe.

Assim, o conjunto das evidências demonstra de forma robusta que a combinação daratumumabe + lenalidomida + dexametasona é superior às terapias atualmente disponíveis no SUS e representa opção indispensável para pacientes com mieloma refratário, como no caso do paciente em questão.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O uso da combinação DRd em pacientes com mieloma múltiplo refratário apresenta os seguintes benefícios clínicos esperados:

- Aumento expressivo da sobrevida livre de progressão (PFS) em relação à lenalidomida isolada, com ganho médio de 27 meses;
- Alta taxa de resposta objetiva (acima de 90%), mesmo em pacientes com múltiplas recaídas;
- Maior probabilidade de resposta completa (CR) e resposta muito boa parcial (VGPR);
- Melhora sintomática rápida, com redução de dores ósseas, anemia e risco de hipercalcemia e fraturas;
- Toxicidade compatível com idade avançada, com baixo risco de hospitalizações;
- Administração subcutânea do daratumumabe e uso oral da lenalidomida, permitindo tratamento ambulatorial e maior adesão;

Considerando o esgotamento terapêutico no SUS e a idade da paciente, o esquema DRd é a única estratégia com evidência robusta e aplicabilidade clínica efetiva, com potencial de controlar a progressão da doença e melhorar significativamente a qualidade de vida.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Do ponto de vista técnico-científico, é favorável o fornecimento da combinação daratumumabe + lenalidomida + dexametasona à paciente de 76 anos com mieloma múltiplo refratário, atendida pelo SUS, em progressão de doença após múltiplas linhas terapêuticas convencionais (incluindo melfalano, prednisona, ciclofosfamida, betametasona e talidomida).

O paciente apresenta falência terapêutica documentada a pelo menos quatro linhas de tratamento, situação clínica compatível com mieloma múltiplo refratário, condição de elevada morbimortalidade quando não tratada com agentes de alta eficácia.

A solicitação encontra suporte robusto em evidência científica de alto nível, especialmente no ensaio clínico fase III POLLUX, que demonstrou superioridade significativa da associação DRd em termos de resposta completa, sobrevida livre de progressão, controle sintomático e qualidade de vida, inclusive em pacientes idosos. O perfil de toxicidade é compatível com idade avançada, e a combinação tem aprovação regulatória pela ANVISA, sendo considerada padrão internacional pelas diretrizes da NCCN, ESMO e UpToDate.

Cabe destacar que não há no SUS terapias disponíveis com eficácia semelhante para pacientes refratários à talidomida, melfalano e ciclofosfamida, nem alternativas com capacidade de impedir a rápida progressão do mieloma nesta fase avançada.

Portanto este NATJUS manifesta-se **FAVORÁVEL** à demanda.

Ressalta-se que o Ministério da Saúde e as Secretarias de Saúde não distribuem nem fornecem medicamentos contra o câncer, assim como a tabela de procedimentos quimioterápicos do SUS não se refere a medicamentos, mas sim, situações tumorais e indicações terapêuticas especificadas em cada procedimento descrito e independentes de esquema terapêutico utilizado (a tabela pode ser acessada em <http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/inicio.jsp>). O SUS prevê a organização da atenção oncológica por meio da criação e manutenção de Unidades de Assistência de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) e Centros de Assistência Especializada em Oncologia (CACON). A responsabilidade de incorporação e fornecimento de medicamentos é de cada hospital credenciado, seja ele público ou privado, com ou sem fins lucrativos. A portaria nº 140, de 27 de fevereiro de 2014 normatiza sobre o funcionamento de UNACON e CACON e informa que cada instância “deve, obrigatoriamente, ser a porta de entrada deste usuário, responsabilizando-se pela prescrição e avaliação do usuário que será atendido também no serviço adicional”.

Observa-se que o financiamento de medicamentos oncológicos não se dá por meio dos Componentes da Assistência Farmacêutica. O Ministério da Saúde e as Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde não disponibilizam diretamente medicamentos contra o câncer. O fornecimento destes medicamentos ocorre por meio da sua inclusão nos procedimentos quimioterápicos registrados no subsistema APAC-SIA (Autorização de Procedimento de Alta Complexidade do Sistema de Informação Ambulatorial) do SUS, devendo ser oferecidos pelos hospitais credenciados no SUS e habilitados em Oncologia, sendo ressarcidos pelo Ministério da Saúde conforme o código do procedimento registrado na APAC.

Os hospitais credenciados para atendimento em oncologia devem, por sua responsabilidade, dispor de protocolo clínico institucional complementar, destinado a orientar a tomada de decisão por pacientes e médicos, avaliar e garantir qualidade na assistência, orientar a destinação de recursos na assistência à saúde e fornecer elementos de boa prática médica.

A tabela de procedimentos do SUS não refere medicamentos oncológicos, mas situações tumorais específicas, que orientam a codificação desses procedimentos e são descritos independentemente de qual esquema terapêutico seja adotado. Os estabelecimentos habilitados em Oncologia pelo SUS são os responsáveis pelo fornecimento dos medicamentos necessários ao tratamento do câncer que, livremente,

padronizam, adquirem e prescrevem, devendo observar protocolos e diretrizes terapêuticas do Ministério da Saúde, quando existentes.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

() SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

(X) NÃO

7. Referências bibliográficas

1. Dimopoulos MA et al. Daratumumab, lenalidomide, and dexamethasone for multiple myeloma. N Engl J Med. 2016;375:1319–1331. DOI: 10.1056/NEJMoa1607751
2. NCCN Guidelines – Multiple Myeloma. Version 1.2025.
3. ESMO Clinical Practice Guidelines – Multiple Myeloma. 2023.
4. UpToDate. Treatment of relapsed/refractory multiple myeloma. Updated 2024.
5. CONITEC. Relatório de recomendação n.º 592 – Daratumumabe. 2020.
6. Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME 2024. Brasília: Ministério da Saúde, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/centrais-de-conteudo/biblioteca-virtual/renome-2024>

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.

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.

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