

NOTA TÉCNICA Nº 7879/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000113-37.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 25/09/2025
- 1.4. Data da Resposta: 23/10/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 26/03/1961 – 64 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Mielofibrose – CID C94.5

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



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?
JAKAVI 5mg	FOSFATO DE RUXOLITINIBE	1006811210019	NÃO*	Dependente de protocolo do CACON e UNACON*	NÃO

*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*
JAKAVI 5mg	JAKAVI	NOVARTIS BIOCIENTIAS S.A.	5 MG COM CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 60	R\$ 12.348,02	04 cp. de 12/12h	R\$ 605.052,98
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 605.052,98		
MÉDICO PRESCRITOR				SAÚDE SUPLEMENTAR		

* 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 outubro/2025.

4.3. Recomendações da CONITEC: () RECOMENDADO (X) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

Os membros da Conitec presentes na 87ª reunião ordinária, no dia 04 de junho de 2020, deliberaram, por unanimidade, recomendar a não incorporação do ruxolitinibe para tratamento de pacientes com mielofibrose primária, mielofibrose pós policitemia vera ou mielofibrose pós trombocitemia essencial, de risco intermediário-2 ou alto e com contagem de plaquetas superior a 50.000/mm3.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

As Neoplasias Mieloproliferativas (NMPs) são um grupo de doenças que são caracterizadas pela proliferação aumentada das séries mieloides com maturação eficaz, o que leva à leucocitose no sangue periférico, aumento da massa eritrocitária ou trombocitose.

A mielofibrose (MF) tem como principal característica a fibrose medular, além de esplenomegalia, leucoeritroblastose, pancitopenia, hematopoese extramedular, aumento da densidade microvascular da medula e mobilização de células progenitoras hematopoéticas. A mielofibrose mieloproliferativa pode apresentar-se como um transtorno novo (mielofibrose primária - MFP) ou evoluir secundariamente a partir de policitemia vera anterior, ou trombocitemia essencial (Pós- PVMF ou Pós- TEMF).

A principal evidência sobre o uso de ruxolitinibe na mielofibrose provém de dois estudos clínicos randomizados, multicêntricos e de fase III: COMFORT-I e COMFORT-II.

COMFORT-I (Verstovsek et al., 2012): estudo duplo-cego, controlado por placebo, incluiu 309 pacientes com mielofibrose de risco intermediário-2 ou alto. Após 24 semanas, 41,9% dos pacientes no grupo ruxolitinibe tiveram $\geq 35\%$ de redução do volume esplênico (avaliado por ressonância magnética), comparado a 0,7% no grupo placebo. Além disso, observou-se melhora significativa nos sintomas constitucionais e na qualidade de vida. Os eventos adversos mais comuns foram anemia e trombocitopenia, manejáveis com ajustes de dose.

COMFORT-II (Harrison et al., 2012): estudo aberto, comparando ruxolitinibe à melhor terapia disponível (BAT). A 48 semanas, 28% dos pacientes no grupo ruxolitinibe obtiveram redução $\geq 35\%$ do volume esplênico, contra 0% na BAT. A análise de seguimento de longo prazo demonstrou tendência à melhora de sobrevida global no grupo tratado com ruxolitinibe (Passamonti et al., 2017), embora o estudo não tenha sido desenhado para esse desfecho primário.

Além disso, uma meta-análise publicada por Djebbari et al. (2020) incluiu pacientes dos dois estudos COMFORT e reforçou o benefício de ruxolitinibe na redução esplênica, sintomas e possível ganho de sobrevida global, mesmo com limitações quanto à heterogeneidade dos dados.

O perfil de segurança da droga é bem estabelecido, com os principais efeitos adversos hematológicos sendo manejáveis com redução de dose ou suspensão temporária. É especialmente relevante em pacientes com sintomas sistêmicos importantes ou esplenomegalia volumosa.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Melhora dos sintomas constitucionais (fadiga, sudorese noturna, febre, perda de peso);

Redução do volume esplênico e melhora de sintomas compressivos;

Potencial prolongamento da sobrevida global, especialmente em pacientes com risco intermediário;

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

A paciente apresenta mielofibrose classificada como risco intermediário segundo o escore DIPSS, com falha terapêutica ao uso de hidroxiureia. O ruxolitinibe é indicado em diretrizes nacionais e internacionais como tratamento padrão em pacientes com risco intermediário ou alto, refratários ou intolerantes à terapia convencional. A tecnologia é respaldada por estudos clínicos randomizados (COMFORT-I e II), demonstrando melhora sintomática, redução esplênica e benefício potencial de sobrevida. Diante disso, a solicitação está clinicamente indicada e fundamentada em evidência científica.

Portanto este NATJUS manifesta-se **FAVORÁVEL** à demanda, ressaltando que houve recomendação de **não incorporação** ao SUS pela CONITEC, por considerar que, apesar de ter apresentado benefícios na melhoria dos sintomas constitucionais da doença, qualidade de vida e redução do baço, **o medicamento não pode ser considerado como custo-efetivo em comparação com a melhor terapia disponível**.

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”.

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

7. Referências bibliográficas

1. Verstovsek S, et al. COMFORT-I: Ruxolitinib versus placebo. N Engl J Med. 2012;366:799–807. DOI: 10.1056/NEJMoa1110556
2. Harrison C, et al. COMFORT-II: Ruxolitinib versus BAT. J Clin Oncol. 2012;30(20):2325–2331. DOI: 10.1200/JCO.2011.38.8808
3. Passamonti F, et al. Long-term follow-up of COMFORT-II. Leukemia. 2017;31(3):583–590. DOI: 10.1038/leu.2016.246
4. Djebbari F, et al. Systematic review and meta-analysis of ruxolitinib in myelofibrosis. Haematologica. 2020;105(3):520–528. DOI: 10.3324/haematol.2019.216804
5. UpToDate. Treatment of primary myelofibrosis.
6. BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Ruxolitinibe para tratamento de pacientes com mielofibrose primária, mielofibrose pós-policitemia vera ou mielofibrose pós-trombocitemia essencial, de risco intermediário-2 ou alto: relatório de recomendação nº 531. Brasília: Ministério da Saúde, 2020. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2020/ruxolitinibe_mielofibrose_531_2020_final.pdf

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.