

NOTA TÉCNICA Nº 8069/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000004-23.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 03/10/2025
- 1.4. Data da Resposta: 30/10/2025
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 15/02/1958 – 67 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Neoplasia mielodisplásica IPSS-R baixo risco (CID-10 D46.1)

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? |
|--------------------|-----------------|--------------------|--------------------|---|-----------------------------|
| LUSPATERCEPTE 75mg | LUSPATERCEPTE | 1018004110021 | 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 (1) | Custo Anual* |
|--|-----------------|--|---|----------------|--------------------------|----------------|
| LUSPATERCEPTE 75mg | REBLOZYL | BRISTOL-MYERS SQUIBB FARMACÊUTICA LTDA | 75 MG PO LIOF SOL INJ SC CT FA VD TRANS | R\$ 29.887,87 | 01 frasco a cada 21 dias | R\$ 537.981,66 |
| CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO | | | | R\$ 537.981,66 | | |
| 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.
(1) – Luspatercepte 75mg: aplicar 66mg S.C. 1x a cada 3 semanas, se paciente necessitar de transfusão após pelo menos 2 doses, aumentar para 1,33 mg/kg (88 mg) a cada 3 semanas. Se após pelo menos 2 doses do aumento para 88 mg ainda necessitar de transfusão de sangue, aumentar para 1,75 mg/kg (115 mg). Se não houver redução da carga transfusional após 3 aplicações nessa dose, descontinuar tratamento. Se houver redução da carga transfusional versus início, manter o tratamento. Cálculo do custo anual do tratamento realizado com base no tratamento inicial de 66mg por dose.

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

4.3. Recomendações da CONITEC: Não avaliado.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A síndrome mielodisplásica (SMD) é um grupo heterogêneo de desordens clonais da medula óssea caracterizadas por hematopoese ineficaz e citopenias, particularmente anemia. Em pacientes de baixo risco, o manejo visa reduzir a dependência transfusional e melhorar a qualidade de vida. O tratamento inicial geralmente envolve agentes estimuladores da eritropoese (AEE), como eritropoetina. No entanto, cerca de 60–70% dos pacientes não respondem ou perdem resposta ao longo do tempo, tornando-se dependentes de transfusão crônica e expostos a riscos de sobrecarga de ferro, infecções e insuficiência cardíaca.

O luspatercepte é uma proteína de fusão recombinante que atua como modulador da maturação eritroide. Ele se liga aos ligantes do TGF- β (como GDF11 e activina B), neutralizando seus efeitos inibitórios na eritropoese terminal e promovendo o amadurecimento dos precursores eritroides. Essa ação ocorre a jusante dos agentes estimuladores de eritropoese, justificando seu uso em pacientes refratários à eritropoetina.

A principal evidência clínica vem do estudo pivotal MEDALIST (Fenaux et al., 2020), um ensaio clínico randomizado, duplo-cego, controlado por placebo, que incluiu 229 pacientes com SMD de risco muito baixo, baixo ou intermediário, portadores de deleção do 5q negativa, refratários ou inelegíveis a AEE e com dependência transfusional.

Os resultados mostraram:

- 37,9% dos pacientes tratados com luspatercepte atingiram independência transfusional ≥ 8 semanas, em comparação a 13,2% no grupo placebo ($p < 0,001$).
- A duração média da resposta foi de 30,6 semanas.
- Houve aumento significativo da hemoglobina e redução sustentada da necessidade transfusional.
- Eventos adversos mais comuns: fadiga, diarreia, tontura, hipertensão leve – em sua maioria grau 1–2.
- O benefício foi particularmente evidente em pacientes com SMD com sideroblastos em anel e mutações em SF3B1, mas respostas também foram observadas em casos sem essa alteração genética.

Em 2023, o estudo COMMANDS (Platzbecker et al.) comparou diretamente luspatercepte versus eritropoetina em pacientes com SMD de baixo risco não tratados previamente com AEE. O luspatercepte demonstrou superioridade significativa, com 59% de resposta transfusional duradoura (≥ 12 semanas) versus 31% com eritropoetina, e com maior elevação sustentada da hemoglobina. Esses dados reforçam o papel do luspatercepte tanto em pacientes refratários quanto como possível primeira linha futura.

As diretrizes internacionais são uníssonas:

A NCCN (2025) recomenda o luspatercepte como padrão de tratamento para SMD de baixo risco com anemia refratária aos agentes estimuladores de eritropoese e dependência transfusional, especialmente na presença de mutação SF3B1 ou sideroblastos em anel.

A ESMO (2023) e a ASH (2024) também reconhecem o luspatercepte como opção terapêutica eficaz e segura para redução de transfusões, com melhora clínica significativa e boa tolerabilidade.

A UpToDate (2025) recomenda seu uso após falha dos AEE, destacando que o fármaco reduz em até 50% a carga transfusional em 1 ano.

No contexto brasileiro, o SUS não dispõe de alternativa terapêutica equivalente para pacientes refratários a AEE. O manejo transfusional isolado apenas controla sintomas, sem impacto na eritropoese ou sobrevida.

Portanto, considerando as evidências robustas de eficácia, o mecanismo fisiopatológico racional, o perfil de segurança e as recomendações internacionais, o luspatercepte representa a melhor opção terapêutica disponível para este paciente refratário à eritropoetina e dependente de transfusão crônica.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Redução ou suspensão da necessidade de transfusões de concentrado de hemácias.

Melhora sustentada dos níveis de hemoglobina.

Redução de complicações relacionadas à sobrecarga de ferro e melhora da qualidade de vida.

Diminuição da morbimortalidade associada à anemia transfusional crônica.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

O paciente apresenta SMD de baixo risco refratária à eritropoetina, com dependência transfusional persistente e anemia grave. O luspatercepte é respaldado por ensaios clínicos randomizados e diretrizes internacionais como terapia eficaz, segura e específica para esse perfil de paciente. Não há alternativas disponíveis no SUS com eficácia semelhante.

Diante do exposto este NATJUS manifesta-se **FAVORÁVEL** à demanda, ressaltando que o tratamento proposto não foi avaliado pela CONITEC, portanto **não há avaliação de custo-efetividade e impacto econômico**.

Ressalta-se ainda 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”.

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. Fenaux P, et al. Luspatercept in patients with lower-risk myelodysplastic syndromes. N Engl J Med. 2020;382:140-151. doi:10.1056/NEJMoa1908892
2. Platzbecker U, et al. Luspatercept versus epoetin alfa for anemia in myelodysplastic syndromes (COMMANDS): a randomized, phase 3 trial. Lancet. 2023;402(10401):1443-1456. doi:10.1016/S0140-6736(23)01245-3

3. National Comprehensive Cancer Network (NCCN). Myelodysplastic Syndromes – Clinical Practice Guidelines. Version 2.2025.
4. ESMO Guidelines Committee. Myelodysplastic syndromes: ESMO Clinical Practice Guidelines. Ann Oncol. 2023;34(7):568-583. doi:10.1016/j.annonc.2023.02.013
5. Greenberg PL, et al. ASH Clinical Practice Guidelines for Myelodysplastic Syndromes. Blood Adv. 2024;8(1):45-68. doi:10.1182/bloodadvances.2023008732

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://bvsms.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.