NOTA TÉCNICA Nº 1912/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

1.1. Solicitante: 2ª Vara Cível - Regional XII - Nossa Senhora do Ó Comarca de São Paulo
1.2. Processo nº 4004753-55.2025.8.26.0001
1.3. Data da Solicitação: 02/03/2026
1.4. Data da Resposta: 26/03/2026
1.5. Requerida: **SAÚDE SUPLEMENTAR**

2. Paciente

2.1. Data de Nascimento/Idade: 20/11/1960 – 65 anos
2.2. Sexo: Masculino
2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
2.4. Histórico da doença: Mielofibrose aguda - CID C94.5

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

Desde logo, fixo como quesito do juízo:
(i) para que se esclareça a diferença entre as duas condições e se a condição SECUNDÁRIA está no rol da ANS;
(ii) caso não esteja no rol, pra que se esclareça se a documentação juntada demonstra que está preenchido o disposto no art. 10, §13º da Lei nº 9.656/98, para autorizar a cobertura pelo plano.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **PROCEDIMENTO**
Transplante de medula óssea
4.2. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS:
Sim. O TMO alogênico é procedimento de alta complexidade realizado no SUS em centros habilitados, mediante regulação/fluxo próprio e critérios clínicos.
4.3. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar:
No SUS (mielofibrose/ NMP):
Tratamento de suporte: transfusões, quelantes quando indicados, antibióticos quando necessários, manejo de complicações.
Eritropoetina para anemia selecionada.
Hidroxiureia (em contexto de citoses/sintomas relacionados, conforme avaliação).
Ruxolitinibe (Jakavi®): disponibilidade pode variar por protocolo/local e via administrativa, usualmente para controle sintomático/esplenomegalia (não curativo).

TMO alogênico: única alternativa com potencial curativo, em centros habilitados.

Na Saúde Suplementar:

Mesmas opções do suporte + acesso ampliado a terapias alvo conforme cobertura contratual e diretrizes clínicas.

Possibilidade de outros inibidores de JAK (dependendo de registro/cobertura e indicação clínica) e terapias de suporte avançadas.

TMO alogênico em rede credenciada ou por reembolso, conforme contrato e rede assistencial.

4.4 Recomendações da CONITEC: **A CONITEC não possui avaliação específica direcionada ao uso de transplante alogênico em mielofibrose no contexto da saúde suplementar. Contudo, o procedimento é reconhecido em protocolos de transplante hematopoético em centros especializados.**

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A mielofibrose secundária à trombocitemia essencial representa uma neoplasia mieloproliferativa crônica caracterizada por fibrose progressiva da medula óssea, citopenias, hematopoiese extramedular e risco de transformação leucêmica. A estratificação prognóstica é realizada por modelos como MIPSS70 (Mutation-Enhanced International Prognostic Scoring System) e GIPSS (Genetically Inspired Prognostic Scoring System), que incorporam fatores clínicos e genéticos para estimar sobrevida e risco de progressão.

Pacientes classificados como alto risco nesses escores apresentam sobrevida significativamente reduzida, frequentemente inferior a 3–5 anos quando tratados apenas com terapias convencionais.

O transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas é atualmente considerado a única estratégia terapêutica com potencial curativo para mielofibrose, pois permite erradicação da medula doente e substituição por hematopoiese normal do doador.

Estudos observacionais e registros internacionais de transplante, incluindo análises da European Society for Blood and Marrow Transplantation (EBMT), demonstraram que pacientes submetidos a transplante alogênico podem alcançar sobrevida global de aproximadamente 50–60% em cinco anos, dependendo de fatores como idade, estado funcional e compatibilidade do doador.

Um estudo multicêntrico publicado por Kroger et al. no Journal of Clinical Oncology avaliou resultados de transplante em pacientes com mielofibrose e demonstrou sobrevida

global em cinco anos em torno de 67% em pacientes selecionados, com evidência de reversão da fibrose medular em parcela significativa dos casos após o transplante.

Outro estudo relevante publicado no Blood (Robin et al.) analisou resultados de transplante em pacientes com mielofibrose e demonstrou que pacientes classificados como alto risco apresentam benefício clínico significativo com transplante quando comparados a tratamento conservador.

Além disso, diretrizes internacionais — incluindo NCCN, ESMO e recomendações da EBMT indicam o transplante alogênico para pacientes com mielofibrose de risco intermediário-2 ou alto risco, particularmente em pacientes com idade inferior a 70 anos e bom estado funcional.

No presente caso, o paciente apresenta mielofibrose secundária com classificação prognóstica de alto risco (MIPSS70 e GIPSS), além de sinais de progressão hematológica, incluindo citopenias e necessidade transfusional. O tratamento com ruxolitinibe, terapia padrão para controle sintomático da doença, foi interrompido devido à trombocitopenia significativa, evento adverso conhecido desse medicamento.

Importante destacar que os inibidores de JAK, como ruxolitinibe, não possuem efeito curativo, sendo utilizados apenas para controle sintomático e redução do tamanho do baço. Assim, em pacientes de alto risco, a estratégia terapêutica recomendada é encaminhamento precoce para avaliação de transplante alogênico.

Portanto, diante do perfil prognóstico desfavorável e da ausência de terapias curativas alternativas, o transplante alogênico constitui estratégia terapêutica apropriada para tentativa de cura da doença.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

A realização do transplante alogênico pode proporcionar:

potencial cura da doença

reversão da fibrose medular

restauração da hematopoiese normal

aumento da sobrevida global em pacientes de alto risco.

5.3. Parecer

(X) Favorável

( ) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O paciente de 65 anos apresenta mielofibrose secundária à trombocitemia essencial, classificada como alto risco pelos escores MIPSS70 e GIPSS, o que implica prognóstico desfavorável, maior probabilidade de progressão clínica e risco aumentado de

transformação leucêmica. Há evidências de falência medular progressiva, expressa por anemia sintomática com necessidade de eritropoetina e histórico de transfusões sanguíneas (3 episódios), caracterizando impacto clínico relevante e doença biologicamente agressiva.

O tratamento com ruxolitinibe (Jakavi®), embora seja terapia padrão para controle sintomático (especialmente esplenomegalia e sintomas constitucionais), foi interrompido por trombocitopenia expressiva, evento adverso conhecido e limitante do uso, particularmente em pacientes já com citopenias. Importante ressaltar que inibidores de JAK não são terapias curativas; mesmo quando eficazes, atuam predominantemente em controle de sintomas e redução de baço, sem eliminar o clone neoplásico, mantendo risco de progressão e transformação leucêmica, sobretudo em pacientes de alto risco.

À luz das diretrizes internacionais e da prática consolidada em hematologia, o transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas (TMO alogênico) é a única estratégia com potencial curativo para mielofibrose e é especialmente indicado em pacientes com risco intermediário-2/alto e idade/condição clínica compatíveis. No caso analisado, a classificação de alto risco, a dependência transfusional e a limitação ao uso de ruxolitinibe por toxicidade hematológica reforçam que manter apenas tratamento farmacológico de suporte é insuficiente para modificar o curso natural da doença, tornando o TMO alogênico a alternativa com maior potencial de ganho em sobrevida e controle duradouro.

Dessa forma, considerando (i) alto risco prognóstico (MIPSS70/GIPSS), (ii) evidência de progressão medular com citopenias e transfusão, (iii) limitação terapêutica ao JAK-inibidor por trombocitopenia, e (iv) ser o TMO alogênico a única modalidade com potencial curativo, conclui-se que o procedimento solicitado apresenta adequação clínica e fundamentação técnico-científica, sendo **favorável a sua realização, desde que observados os critérios usuais de elegibilidade (performance status, comorbidades, avaliação cardiopulmonar), disponibilidade de doador e realização em centro habilitado.**

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

5.5. Referências bibliográficas:

1. Kroger N et al. Allogeneic Stem Cell Transplantation for Myelofibrosis. Journal of Clinical Oncology.
2. Robin M et al. Outcome after transplantation for myelofibrosis. Blood.
3. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology – Myeloproliferative Neoplasms.

4. ESMO Clinical Practice Guidelines – Myelofibrosis.

5.6. 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, norteada 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 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.