Nota Técnica 441431

Data de conclusão: 05/12/2025 08:58:50

Paciente

Idade: 82 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Cruz Alta/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 2° Núcleo de Justiça 4.0 - RS

Tecnologia 441431

CID: D46.7 - Outras síndromes mielodisplásicas

Diagnóstico: Outras síndromes mielodisplásicas (D46.7)

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): laudo médico

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: DECITABINA

Via de administração: IV

Posologia: decitabina 50 mg/ml 30 ampolas. Aplicar 34 mg, 1x, por 5 dias e após intervalo de 28 dias e aplicar por pelo menos 6 meses.

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Sim

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: DECITABINA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Os medicamentos oncológicos não estão previstos nos Componentes da Assistência Farmacêutica e não são fornecidos diretamente pelo SUS. Sua dispensação é feita pela rede credenciada habilitada em oncologia, que é ressarcida através da inclusão desses fármacos no procedimento de quimioterapia, registrado no sistema APAC-SIA (Autorização de Procedimento de Alta Complexidade do Sistema de Informação Ambulatorial). Dessa forma, cada prestador é responsável pela aquisição, padronização e prescrição dos medicamentos oncológicos.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: DECITABINA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: DECITABINA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: DECITABINA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A decitabina é um agente hipometilante, uma vez incorporado ao DNA ele inibe a atividade das metiltransferases, com consequente hipometilação do DNA (e ativação destes genes) que desencadeiam morte celular (3). O efeito adverso de maior preocupação é a mielossupressão prolongada associada a neutropenia, infecções oportunistas (em especial por fungos) e necessidade de transfusões de hemácias e plaquetas (4).

Em um estudo de análise de custo-utilidade que comparou azacitidina e decitabina no tratamento da síndrome mielodisplásica, foi utilizado um modelo de Markov com horizonte temporal de 10 anos e ciclos de 28 dias, baseado em coorte multicêntrica. Os resultados mostraram que a azacitidina, em comparação à decitabina, proporcionou ganho incremental de 0,17 QALY e redução no custo total, sendo uma estratégia mais efetiva e menos onerosa. As análises de sensibilidade univariada e probabilística mantiveram a vantagem da azacitidina na maioria dos cenários avaliados (5).

Um estudo avaliou a atividade da decitabina em 14 pacientes com síndrome mielodisplásica após falha, ausência de resposta ou intolerância à azacitidina, todos com IPSS intermediário-2 ou alto, ?5% de blastos e mediana de 4 ciclos prévios de azacitidina, em um desenho sem grupo comparador. Os pacientes receberam decitabina na dose de 20 mg/m², uma vez ao dia por 5 dias, a cada 4 semanas, por pelo menos três ciclos ou até progressão da doença ou toxicidade. A taxa de resposta global foi de 28%, com 3 remissões completas e 1 remissão medular com melhora hematológica, mediana de 3 ciclos até a resposta e mediana de sobrevida de aproximadamente 6 meses na coorte. A toxicidade não hematológica grau 3 ou 4 foi baixa, e a neutropenia febril ocorreu em cerca de um terço dos pacientes (6).

O estudo retrospectivo multicêntrico avaliou 36 pacientes com síndrome mielodisplásica de alto risco ou leucemia mielomonocítica crônica tratados com decitabina após falha prévia de azacitidina. Os pacientes receberam em mediana 3 ciclos de decitabina, e a taxa de resposta global foi de 19,4%, 7 pacientes, composta por remissões completas de medula e respostas com melhora hematológica, sem remissões completas, com duração de 2 a 5 meses. A mediana de sobrevida global a partir do início da decitabina foi de 7,3 meses, sem diferença relevante entre respondedores e não respondedores (7).

Outro estudo retrospectivo avaliou 25 pacientes com mielodisplasia ou leucemia mieloide aguda tratados com decitabina após falha primária ou secundária da azacitidina. A maioria apresentava doença de alto risco e havia recebido mediana de 9 ciclos de azacitidina. A decitabina foi administrada na dose de 20 mg/m² por 5 dias, a cada 28 dias, com mediana de 2 ciclos. Não foi observada nenhuma resposta objetiva, ou seja, não houve remissão completa, remissão parcial ou melhora hematológica segundo os critérios do IWG. Em cinco pacientes, a melhor resposta foi apenas doença estável. A maior parte interrompeu o tratamento por progressão da doença ou óbito, e a mediana de sobrevida global foi de 5,9 meses a partir do início da decitabina (8).

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário	Valor Total
DECITABINA	50 MG PÓ LIOF30 SOL INJ IV CT FA VD TRANS + DIL FA VD TRANS X 10 ML		R$ 3.937,36	R$ 118.120,80

Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Rio Grande do Sul (ICMS 17%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, PMVG = PF(1-CAP). O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.
A partir da prescrição médica fornecida e após consulta à tabela CMED atualizada em dezembro de 2025 elaborou-se a tabela acima, que estima o custo de 6 ciclos de tratamento com decitabina.
Não foram encontrados estudos de custo efetividade para o uso de decitabina em realidade brasileira.
No cenário internacional, tanto o National Institute of Health and Care Excellence (NICE) (8) e o Scottish Medical Consortium (SMC) (9) não incorporaram a tecnologia no tratamento de Leucemia Mieloide Aguda, uma vez que não ocorreu submissão de evidência pelo fabricante do fármaco.
Análise de custo efetividade pertinente a decitabina a comparou com uso de outro hipometilante, a azacitidina, em situação análoga, pacientes com síndrome mielodisplásica de alto risco. Neste estudo a azacitidina apresentou benefício com um incremento de 0,22 anos de vida ganho e 0,17 anos de vida ganho ajustados para qualidade, QALY (10), de maneira que a azacitidina foi a intervenção dominante neste cenário.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Benefício incerto em pacientes já tratados com azacitidina.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: DECITABINA

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: As evidências disponíveis até o momento são de baixa qualidade metodológica e apontam benefício clínico limitado, com baixa taxa de resposta e prognóstico desfavorável, não respaldando sua utilização rotineira nessa situação. Ademais, o caso carece de informações essenciais que subsidiam o diagnóstico, a adequada estratificação de subtipo e risco, como mielograma, estudo histopatológico da biópsia de medula óssea e exames de citogenética e biologia molecular.

Frente à incerteza de benefício e do perfil de custo-efetividade, na ausência de avaliação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde, entendemos que não se justifica o uso de recursos públicos na terapia proposta, recursos que são escassos, extraídos da coletividade, e que possuem destinações orçamentárias específicas com pouca margem de realocação, e cuja destinação inadequada pode acarretar prejuízos à toda população assistida pelo SUS.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas: 1. Cazzola M. Myelodysplastic Syndromes. N Engl J Med. 1o de outubro de 2020;383(14):1358–74.
2. Garcia-Manero G, Chien KS, Montalban-Bravo G. Myelodysplastic syndromes: 2021 update on diagnosis, risk stratification and management. Am J Hematol. novembro de 2020;95(11):1399–420.
3. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Dacogen® (decitabina) 50 mg, pó liofilizado para solução injetável – bulário eletrônico [Internet]. Brasília (DF): ANVISA; [acesso em dia mês ano]. Disponível em: https://consultas.anvisa.gov.br/
4. Decitabine: Drug information - UpToDate [Internet]. [citado 28 de abril de 2022]. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/decitabine-drug-information
5. La-Ji D, Yong-Gong Y, Si-Liang W, Meng-Ying L. Cost-utility analysis of azacitidine versus decitabine in the treatment of myelodysplastic syndrome. Yaowu Liu Xing Bing Xue Za Zhi. 2023;32(12):1371-1379. doi:10.19960/j.issn.1005-0698.202312007.
6. Borthakur G, Lin HY, Faderl S, Shan J, Cortes J, Kadia T, et al. Decitabine therapy in patients with myelodysplastic syndrome following azacitidine failure. Leuk Lymphoma. 2014;55(5):1094-109
7. Harel S, Cherait A, Willems L, Park S, Marolleau JP, Stamatoullas A, et al. Outcome of patients with high-risk myelodysplastic syndrome and chronic myelomonocytic leukemia treated with decitabine after azacitidine failure. Leuk Res. 2015;39(5):501-504.
8. Duong VH, Lin K, Reljic T, Ramanathan S, Fetzer V, Mesa RA, et al. Decitabine for patients with myelodysplastic syndromes and myeloproliferative neoplasms after failure of azacitidine therapy. Leuk Lymphoma. 2014;55(8):1837-1843.
9. Decitabine (Dacogen) [Internet]. Scottish Medicines Consortium. [citado 28 de abril de 2022]. Disponível em: https://www.scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/decitabine-dacogen-nonsubmission-84612/
10. Gidwani R, Khan ZM, Fenaux P, Beach CL, Pashos CL. A cost-effectiveness analysis of using azacitidine vs. decitabine in treating patients with myelodysplastic syndromes. J Med Econ. 2012;15(1):145–54.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: A parte autora apresenta laudo médico com diagnóstico de síndrome mielodisplásica de alto risco, estabelecido em setembro de 2025 por biópsia e imunofenotipagem de medula óssea, evidenciando alterações sugestivas de neoplasia mielodisplásica (Evento 1, PARECER9). Contudo, o mielograma e o estudo histopatológico da

biópsia de medula, bem como os exames de citogenética e biologia molecular, não se encontram anexados aos autos, de modo que o subtipo específico não pode ser confirmado (Evento 1, EXMMED11). Apresenta cansaço, astenia, aparecimento de blastos em sangue periférico, pancitopenia persistente, dependência transfusional e piora do estado geral, sendo considerada inelegível para quimioterapia intensiva. Já fez uso de azacitidina, apresentando refratariedade clínica e laboratorial ao tratamento (Evento 1, PARECER9). Diante disso, pleiteia o tratamento com decitabina.

Síndrome mielodisplásica refere-se a um conjunto de neoplasias hematológicas caracterizadas pela proliferação anômala de células precursoras do sangue causadas por alterações citogenéticas recorrentes que provocam citopenias (ou seja, anemia, trombocitopenia e/ou neutropenia em graus variados), alterações morfológicas nas células do sangue (displasia). Essa doença é caracterizada pelo risco de transformação em leucemia mieloide aguda, também chamada de evolução clonal. A idade é um fator de risco importante e a incidência anual pode chegar a mais de 50 casos por 100.000 habitantes entre aqueles com mais de 80 anos e mediana de idade ao diagnóstico de 70 anos (1).

O diagnóstico é estabelecido por meio de avaliação clínica de paciente com citopenia inexplicada e exames complementares como hemograma, biópsia de medula óssea, mielograma e cariótipo (1,2). O prognóstico desses pacientes é muito variado, sendo a classificação de risco definida pela chance de evolução clonal e óbito. Existem diversos instrumentos para estimar o prognóstico desses pacientes e o mais utilizado é o International Prognostic Scoring System Revised (IPSS-R), que leva em conta a intensidade das citopenias, a porcentagem de blastos na medula óssea e as alterações citogenéticas (1,2), e sendo a sobrevida mediana estimada de 8,8 anos, 5,3 anos, 3 anos, 1,6 anos e 0,8 anos para os estratos de muito baixo risco, baixo risco, risco intermediário, alto risco e muito alto risco respectivamente (1).

O tratamento atual das SMD de baixo risco, IPSS-R < 3,5, consiste em seguimento vigilante, transfusões, terapia de quelação de ferro, agentes estimulantes da eritropoiese e imunossupressão,esta última em situações bastante específicas (2). Entre pacientes com doença de alto risco, IPSS-R > 3,5, o tratamento pode consiste no uso em hipometilantes (como a azacitidina e a decitabina) ou terapia de indução (combinação de daunorrubicina e arabinosídeo-C) seguido de transplante alogênico de medula óssea para pacientes candidatos (2).