

Nota Técnica 452700

Data de conclusão: 09/01/2026 07:27:50

Paciente

Idade: 9 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Porto Alegre/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

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

Tecnologia 452700

CID: C91.0 - Leucemia linfoblástica aguda

Diagnóstico: Leucemia linfoblástica aguda (C91.0)

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

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Não

Nome comercial: -

Princípio Ativo: nelarabina

Via de administração: EV

Posologia: nelarabina frasco-ampola 250 mg/50 mL - 15 dias 650 mg endovenosa 1 x/dia.

Administrar 650 mg por via intravenosa em infusão de 1 hora, 1 vez ao dia, durante 5 dias. (repetir o tratamento por 3 ciclos com a mesma posologia com intervalo de 21 días entre eles). Total de 45 frascos-ampola.

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Não

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: nelarabina

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Regimes baseados em poliquimioterapia e terapia paliativa.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: nelarabina

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: nelarabina

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: nelarabina

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: Nelarabina é um antineoplásico análogo de nucleosídeo de purina, pró-fármaco de ara-G, indicada para tratamento de leucemia linfoblástica aguda de células T (T-ALL) e linfoma linfoblástico de células T (T-LBL) em adultos e crianças ≥ 1 ano cuja doença não respondeu ou recidivou após pelo menos dois esquemas de quimioterapia. Após desmetilação pela adenosina desaminase a ara-G e posterior fosforilação a ara-GTP, o metabólito ativo acumula-se preferencialmente em linfócitos T e é incorporado ao DNA, inibindo a síntese de DNA de forma fase S-específica e induzindo fragmentação e apoptose das células leucêmicas. Farmacocineticamente, é administrada por via intravenosa, apresenta baixa ligação a proteínas plasmáticas ($<25\%$), é rapidamente eliminada, com metabolismo predominantemente por O-desmetilação a ara-G e posterior conversão a guanina, xantina e ácido úrico. Estudos de fase 2 em T-ALL/T-LBL refratários mostram taxas modestas de resposta completa, porém com toxicidade hematológica e neurológica importante. Recebeu a designação de medicamento órfão e recebeu aprovação acelerada do FDA, devido à raridade da condição clínica para a qual é indicada. O medicamento foi comercializado inicialmente como Arranon® nos Estados Unidos e depois como Atriance® na Europa e Canadá (10).

Uma revisão sistemática e metanálise, conduzida segundo as diretrizes PRISMA, reuniu 16 estudos com 1.865 pacientes (idade média de 22 anos), sendo 1.345 tratados com nelarabina para LLA-T refratária ou recidivada, em populações pediátricas e adultas. O uso do fármaco mostrou benefício clínico na sobrevida global (SG): 90,3% em 5 anos versus 87,9% no controle, e respectivamente 91,3% em 3 anos e 58% em 1 ano após TCTH, frente a 22%. Houve melhora na sobrevida livre de doença (SLD) (92,3% em 5 anos para DRM $< 0,1\%$ vs. 83,5%) e na sobrevida livre de eventos (SLE) (86,4% em 3 anos, variando de 46% a 92% conforme risco). Também se observou redução da recaída no SNC (1,3% vs. 6,9% em 5 anos). A resposta completa (RC) foi o principal desfecho, atingida em 37,9% dos pacientes (IC95%: 20,5–55,4%) com nelarabina em monoterapia. Entre os eventos adversos mais frequentes, destacaram-se neutropenia (29,1%), trombocitopenia (32,4%) e neuropatias periféricas motora (17,1%) e sensorial (15,3%) na monoterapia; e infecções (65%), neutropenia febril (48,7%), neuropatia motora (10,5%) e sensorial (23,1%) na terapia combinada, sem diferença significativa na toxicidade (11).

Outra revisão sistemática e meta-análise avaliou a eficácia e segurança da nelarabina em pacientes com leucemia linfoblástica aguda de células T recidivante ou refratária (LLA-T R/R). Foram incluídos 13 estudos, totalizando 2508 pacientes, até janeiro de 2022. A intervenção foi o uso de nelarabina isolada ou combinada à quimioterapia, comparado a regimes prévios inefetivos (sem grupo controle distinto). Os resultados principais mostraram taxas combinadas de remissão completa de 37,2% (IC95%: 22,8 - 51,5) e parcial de 10,2% (IC95%: 4,9 - 15,5). Os eventos adversos mais comuns incluíram neutropenia, trombocitopenia, fadiga, infecções e neuropatia periférica reversível. A revisão conclui que a nelarabina é uma terapia de resgate eficaz e segura, frequentemente usada como ponte para o transplante de células-tronco hematopoiéticas em pacientes com LLA-T R/R (12).

Um estudo de fase II avaliou a nelarabina como monoterapia em crianças e adultos jovens com leucemia linfoblástica aguda de linhagem T refratária ou recorrente, estratificados em quatro grupos: estrato 1 ($\geq 25\%$ de blastos na medula óssea em primeira recidiva), estrato 2 ($\geq 25\%$ de

blastos na medula óssea em $\geq$ segunda recidiva), estrato 3 (líquor positivo) e estrato 4 (recidiva extramedular não-SNC), sem grupo controle. A intervenção consistiu em doses iniciais de 1,2 g/m²/dia por 5 dias consecutivos, a cada 3 semanas, reduzidas por neurotoxicidade para 650 mg/m²/dia nos estratos 1 e 2, e 400 mg/m²/dia nos estratos 3 e 4. Foram inscritos 121 pacientes (106 avaliáveis para resposta), com taxas de resposta completa ou parcial nos níveis finais de dose de 55% (estrato 1, primeira recidiva), 27% (estrato 2, segunda recidiva), 33% (estrato 3) e 14% (estrato 4). Ocorreram 31 episódios de eventos adversos neurológicos $\geq$ grau 3 em 27 pacientes (18%), representando o principal achado de segurança (13).

Um ensaio de fase 4, multicêntrico, de braço único, observacional e aberto, que avaliou a segurança e eficácia da nelarabina em condições licenciadas para crianças e adultos jovens ≤ 21 anos com leucemia linfoblástica aguda de linhagem T recidivada/refratária (T-ALL) ou linfoma linfoblástico de linhagem T (T-LBL), sem grupo controle. A população incluiu 28 pacientes com idade média de $11,5 \pm 4,6$ anos, 71% do sexo masculino e 61% com diagnóstico de T-ALL. Eventos adversos ocorreram em 46% dos casos e relacionados ao tratamento em 21%, com poucos eventos hematológicos e nenhum grave hematológico; eventos neurológicos foram reportados em quatro pacientes (de quatro categorias predefinidas), sem descontinuações por eventos adversos. A taxa de resposta global foi de 39,3% (35,7% remissão completa e 3,6% remissão completa sem recuperação hematológica plena), com transplante de células-tronco pós-tratamento em 46% da coorte; a SG mediana foi de 3,35 meses em não respondedores e não alcançada em respondedores (14).

Estudo retrospectivo analisou 44 pacientes consecutivos com leucemia/linfoma linfoblástico agudo de células T recidivado/refratário (R/R T-ALL/LBL), com mediana de idade de 19 anos (intervalo: 2–69 anos), incluindo 18 crianças. Foram comparados os resultados do uso de nelarabina em monoterapia (n=15) com aqueles da terapia combinada, predominantemente com ciclofosfamida e etoposídeo (n=29). Após mediana de um ciclo, 55% dos pacientes alcançaram remissão completa (62% no grupo combinado versus 40% na monoterapia; P=0,21), sendo que 88% dos respondedores prosseguiram para transplante alogênico de células-tronco hematopoéticas (alloSCT). A SG foi superior no grupo que recebeu terapia combinada (SG em 24 meses: 53% versus 8%; P=0,003), resultado confirmado na análise multivariada (HR 0,41; P=0,04), assim como o benefício associado ao alloSCT pós-nelarabina (HR 0,25; P=0,008). A incidência de neurotoxicidade foi semelhante entre os grupos (27% versus 17%; P=0,46). No entanto, anemia e trombocitopenia de grau 3/4 foram mais frequentes na terapia combinada (76% versus 20%; P<0,001 e 66% versus 27%; P=0,014, respectivamente) (15).

Estudo observacional de fase IV retrospectivo, conduzido em 27 centros hematológicos italianos entre maio de 2007 e novembro de 2018, avaliou a nelarabina como terapia de resgate em 118 adultos (mediana de idade: 37 anos, faixa etária: 18-74 anos; 73% homens; 65% LLA-T e 35% LBL-T; 55% com mais de 2 linhas prévias de terapia) com leucemia linfoblástica aguda de células T ou linfoma linfoblástico de células T recidivada/refratária (R/R LLA-T/LBL-T), sem grupo controle definido. A intervenção consistiu na administração de nelarabina (1.500 mg/m² nos dias 1, 3 e 5, a cada 21 dias; mediana de 2 ciclos, faixa: 1-4), com desfechos primários de taxa de resposta global (TRG) e SG, e secundários incluindo segurança, taxa de transplante de células-tronco hematopoéticas alogênico (TCTH alo) e SG pós-TCTH. Os principais resultados mostraram TRG de 50% (RC 36%, RP 14%, refratários 50%), SG de 37% em 1 ano (mediana de 8 meses) e, entre os 40% que prosseguiram para TCTH alo, SG em 1 ano de 58% (versus 22% sem TCTH alo; p < 0,001), 46% em 2 anos e 38% em 5 anos pós-TCTH alo; eventos adversos ocorreram em 64% dos casos (grau III-IV neurológico em 8%, trombocitopenia em 41% e neutropenia em 43%), com mortalidade relacionada de 2,5% (16).

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Total
NELARABINA	250 MG/50 ML CX45 C/ 1 FRASCO- AMPOLA		R\$ 2.164,23	R\$ 97.390,35

* Conforme valor orçado. Vide orçamento juntado aos autos processuais (Evento 1, ORÇAM5, Página 1)

O medicamento nelarabina não tem registro na ANVISA e, portanto, sua aquisição só é possível via importação. De acordo com o valor de orçamento juntado aos autos do processo, emitido em 18 de dezembro de 2025 (Evento 1, ORÇAM5, Página 1), consta o valor de R\$ 97.390,35 para um total de 45 frascos-ampolas (15 frascos/ciclo de 5 dias, para todos os 3 ciclos, a serem realizados a cada 21 dias).

Não encontramos estudos de custo-efetividade desta tecnologia no contexto do sistema de saúde do Brasil. Da mesma forma, não foram localizadas avaliações da agência nacional (CONITEC) ou da agência do sistema de saúde britânico, a National Institute for Health and Care Excellence (NICE).

A agência canadense de medicamentos, Canada's Drug Agency (CDA-AMC), recomenda o reembolso da nelarabina para o tratamento de pacientes pediátricos, adolescentes e adultos jovens com leucemia linfoblástica aguda de células T (T-ALL) de risco intermediário ou alto, em adição à quimioterapia multiagente de primeira linha. Essa recomendação baseia-se nos critérios e condições estabelecidos pelo estudo Children's Oncology Group (COG) AALL0434, que demonstrou benefício em sobrevida em pacientes de 1 a 30 anos com T-ALL de risco intermediário ou alto, recentemente diagnosticados, excluindo aqueles que haviam recebido qualquer quimioterapia citotóxica prévia antes da fase de indução (com exceção de corticosteroides e/ou citarabina intratecal) (17).

A análise de custo-efetividade do relatório combinado sobre nelarabina da CDA-AMC (PC0307) demonstra um perfil favorável no contexto canadense. Na reanálise do CADTH, a razão de custo efetividade incremental (RCEI) para nelarabina associada ao tratamento padrão de suporte (SOC) versus SOC isolado foi de CAD\$26.362 por anos de vida ajustados para a qualidade (QALY) ganho, considerando um custo incremental de aproximadamente CAD\$51.670 e 1,97 QALYs adicionais por paciente. Esse valor está abaixo do limiar comum de CAD\$50.000 por QALY, indicando custo-efetividade sem necessidade de redução de preço (18).

Na perspectiva brasileira, sem análise econômica local, o RCEI canadense sugere um perfil favorável para a nelarabina, pois valores equivalentes (ajustados por paridade de poder de compra, aproximando CAD\$26.362 a cerca de R\$100.000-110.000) ficam abaixo do PIB per capita (R\$120.000, considerado aceitável para tecnologias em oncologia pediátrica no SUS). A razão incremental de custo-efetividade da tecnologia pleiteada reforça essa conclusão, dado o ganho substancial em QALYs (1,97) em uma doença rara e grave como T-ALL, alinhando-se a recomendações de reembolso público mesmo em cenários de alta complexidade.

O Scottish Medicines Consortium (SMC) recomenda o uso restrito da nelarabina no tratamento de pacientes com leucemia linfoblástica aguda de células T (T-ALL) e linfoma linfoblástico de células T (T-LBL), cuja doença não respondeu ou recidivou após pelo menos dois regimes de quimioterapia. A recomendação restringe seu emprego a pacientes em que a nelarabina atua como ponte para transplante alogênico de células-tronco, prescrita exclusivamente por especialistas em hemato-oncologia. Além disso, o SMC considera o medicamento não custo-efetivo quando usado para fins paliativos (19).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Aumento da taxa de sobrevida global em 2,4% em 5 anos (90,3% vs. 87,9%). Aumento da sobrevida global em um ano pós-TCTH (58% vs. 22%).

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

Conclusão

Tecnologia: nelarabina

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: Apesar de não possuir registro na ANVISA, a nelarabina é medicamento órfão designado pela FDA para tratamento de LLA-T e linfoma linfoblástico de células T (T-LBL) refratários/recidivados após ≥ 2 regimes quimioterápicos, em pacientes adultos e pediátricos ≥ 1 ano, com evidência de respostas completas apesar de ausência de RCTs para sobrevida. No caso em tela, trata-se de criança de 9 anos refratária a três linhas prévias (ALL BFM 2009, IntReALL HR 2010, UKALL R3), com acometimento de SNC, nesse caso o tratamento atuaria como ponte para realização de TMO alogênico com doador 10/10 já identificado.

Registros equivalentes existem na EMA e NHS Inglaterra, com indicação idêntica e restrições para ponte ao transplante alogênico por especialistas, alinhando-se ao caso em tela de paciente pediátrico refratário a 3 linhas e com TMO programado. Essa aprovação internacional reforça a excepcionalidade para doença rara no SUS, justificando importação judicial mesmo sem registro local, conforme precedentes para tecnologias órfãs.

Ademais, revisões sistemáticas reportam resposta completa em 37-38% com monoterapia, melhora em sobrevida global (90,3% em 5 anos vs. 87,9% controle; 58% em 1 ano pós-TCTH vs. 22%), sobrevida livre de doença (92,3% em 5 anos para DRM $< 0,1\%$) e redução de recaída em SNC (1,3% vs. 6,9%), alinhando-se ao perfil do paciente.

Apesar do custo de R\$ 97.390 para 45 frascos ser elevado, a análise canadense mostra RCEI de CAD\$ 26.362/QALY (~R\$100.000 a 110.000 ajustado), abaixo de 1 PIB per capita (R\$120.000, aceitável para oncologia pediátrica rara no SUS), com 1,97 QALYs ganhos. No contexto brasileiro, sem avaliação da CONITEC, esse perfil favorece uso excepcional para doença órfã grave.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Geierman L. Pediatric Acute Lymphoblastic Leukemia: A Review. 2019. Disponível em <https://scholarworks.gvsu.edu/honorsprojects/750/> Acesso em 16/03/2020.
2. Ries LAG. Cancer incidence and survival among children and adolescents: United States SEER program, 1975-1995. National Cancer Institute; 1999.
3. Quiroz E, Aldoss I, Pullarkat V, Rego E, Marcucci G, Douer D. The emerging story of acute lymphoblastic leukemia among the Latin American population—biological and clinical implications. Blood Rev. 2019;33:98–105.

4. Hunger SP, Lu X, Devidas M, Camitta BM, Gaynon PS, Winick NJ, et al. Improved survival for children and adolescents with acute lymphoblastic leukemia between 1990 and 2005: a report from the children's oncology group. *J Clin Oncol*. 2012;30(14):1663.
5. Bhojwani D, Pui C-H. Relapsed childhood acute lymphoblastic leukaemia. *Lancet Oncol*. 2013;14(6):e205–17.
6. Schrappe M, Hunger SP, Pui C-H, Saha V, Gaynon PS, Baruchel A, et al. Outcomes after induction failure in childhood acute lymphoblastic leukemia. *N Engl J Med*. 2012;366(15):1371–81.
7. Larson RA. Treatment of relapsed or refractory acute lymphoblastic leukemia in adults. 2018
8. Acute Lymphoblastic Leukemia - NCCN. Acute Lymphoblastic Leukemia - NCCN [Internet]. 2020. Disponível em: https://www.nccn.org/professionals/physician_gls/pdf/all_blocks.pdf
9. Relapsed or refractory acute lymphoblastic leukemia/lymphoblastic lymphoma in children and adolescents. In: UpToDate [Internet]. Waltham (MA): UpToDate; c2022 [atualizado 27 out 2022; acesso em 1 jan 2026]. Disponível em: <https://www.uptodate.com/contents/relapsed-or-refractory-acute-lymphoblastic-leukemia-lymphoblastic-lymphoma-in-children-and-adolescents>.
10. DrugBank. Nelarabine (DB01280) [Internet]; c2005-2025 [acesso em 1 jan 2026]. Disponível em: <https://go.drugbank.com/drugs/DB01280>.
11. Shakeel L, Khaliq N, Shaukat A, Khan A, Riaz R, Batool UEA, Zia MT, Akilimali A. The efficacy and safety of nelarabine in relapsed or refractory T-cell acute lymphoblastic leukemia: a systematic review and meta-analysis. *Ann Hematol*. 2025;104(2):1139-55.
12. Kathpalia M, Mishra P, Bajpai R, Bhurani D, Agarwal N. Efficacy and safety of nelarabine in patients with relapsed or refractory T-cell acute lymphoblastic leukemia: a systematic review and meta-analysis. *Ann Hematol*. 2022;101(8):1655-66.
13. Berg SL, Blaney SM, Devidas M, Lampkin TA, Murgu A, Bernstein M, Billett A, Kurtzberg J, Reaman G, Gaynon P, Whitlock J, Krailo M, Harris MB, Children's Oncology Group. Phase II study of nelarabine (compound 506U78) in children and young adults with refractory T-cell malignancies: a report from the Children's Oncology Group. *J Clin Oncol*. 2005;23(15):3376-82.
14. Zwaan CM, Kowalczyk J, Schmitt C, Bielora B, Russo MW, Woessner M, Ranganathan S, Leverger G. Safety and efficacy of nelarabine in children and young adults with relapsed or refractory T-lineage acute lymphoblastic leukaemia or T-lineage lymphoblastic lymphoma: results of a phase 4 study. *Br J Haematol*. 2017 Oct;179(2):284-93
15. Shimony S, Liu Y, Valtis YK, Paolino JD, Place AE, Brunner AM, Weeks LD, Silverman

LB, Vrooman LM, Neuberg DS, Stone RM, DeAngelo DJ, Luskin MR. Nelarabine combination therapy for relapsed or refractory T-cell acute lymphoblastic lymphoma/leukemia. *Blood Adv.* 2023;7(7):1092-102.

16. Candoni A, Lazzarotto D, Ferrara F, et al. Nelarabine as salvage therapy and bridge to allogeneic stem cell transplant in 118 adult patients with relapsed/refractory T-cell acute lymphoblastic leukemia/lymphoma. A CAMPUS ALL study. *Am J Hematol.* 2020;95(12):1466-72.
17. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Atriance (nelarabina) – Recomendação final do CADTH. Ottawa (ON): CADTH; 2023. (CADTH Reimbursement Review; PC0307). Disponível em: <https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2023/PC0307%20Atriance%20-%20Final%20CADTH%20Recommendation.pdf>.
18. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health. Nelarabine (Atriance) for relapsed or refractory T-cell acute lymphoblastic leukemia and T-lymphoblastic lymphoma. Ottawa (ON): CADTH; 2023. (CADTH Reimbursement Review Reports; PC0307). Disponível em: <https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2023/PC0307-Atriance-Combined-Report.pdf>
19. Scottish Medicines Consortium (SMC). nelarabine (Atriance®). Glasgow: Scottish Medicines Consortium; 2008 abr 7. SMC No. 454/08. Disponível em: <https://scottishmedicines.org.uk/medicines-advice/nelarabine-atriance-fullsubmission-45408/>.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme consta no laudo médico (Evento 1, EXMMED6, Página 1), trata-se de paciente com 8 anos de idade, diagnosticado em março de 2025 com leucemia linfoblástica aguda de células T (LLA-T, CID10: C91.0), com progressão e recaída da doença em outubro de 2025 em medula óssea e sistema nervoso central, apesar de tratamentos prévios: protocolo ALL BFM 2009 (Acute Lymphoblastic Leukemia Berlin-Frankfurt-Münster 2009) em março de 2025 (1ª linha); IntReALL HR 2010 (International Study for Treatment of Childhood Relapsed ALL High Risk 2010) em outubro de 2025 (2ª linha); e UKALL R3 (United Kingdom Acute Lymphoblastic Leukemia Relapse 3) em novembro de 2025 (3ª linha). Atualmente encontra-se em acompanhamento no Setor de Transplante de Medula Óssea (TMO) Alogênico do Serviço de Hematologia Pediátrica do Hospital de Clínicas de Porto Alegre (HCPA), com doador compatível (10/10) localizado em 01/12/2025. Nesse contexto, pleiteia tratamento com o medicamento nelarabina como terapia ponte para induzir remissão clínica e laboratorial pré-transplante. Trata-se de medicamento órfão, sem registro na ANVISA.

A leucemia está relacionada ao processo de formação celular na medula óssea, órgão no qual as células hematopoiéticas diferenciam-se em duas linhagens principais: mielocítica e linfocítica (1). Por sua vez, as células linfocíticas imaturas, chamadas de linfoblastos, transformam-se em linfócitos B e T. Na LLA ocorre proliferação de linfoblastos que,

disfuncionais, acumulam-se causando insuficiência da medula óssea (anemia, neutropenia, trombocitopenia) e infiltração de órgãos (dor óssea, esplenomegalia, hepatomegalia). A LLA é a neoplasia maligna mais comum entre crianças: representa 25% dos cânceres antes dos 15 anos de idade (2). Ainda assim, trata-se de uma doença rara que acomete 18 a cada milhão de latinos (3). A taxa de sobrevivência em cinco anos é de 90% (4). Contudo, diversas variáveis interferem significativamente no prognóstico, em especial, a idade de diagnóstico e a falha na resposta ao tratamento inicial são determinantes para um pior prognóstico (5). A falha em alcançar remissão da doença com a primeira linha de quimioterapia ocorre em 2,4% dos pacientes (6). Entre eles, a taxa de sobrevida global, após cerca de dez anos de seguimento, é de 33% (6).

Em linhas gerais, o tratamento organiza-se ao longo de três anos e divide-se em três etapas basicamente. A maioria dos protocolos pediátricos empregados no tratamento da LLA está estruturado por fases: indução, consolidação e manutenção. Na primeira etapa, chamada indução, busca-se a remissão completa da doença, ou seja, presença de menos de 5% de células imaturas na medula óssea (1). A indução dura entre quatro e seis semanas e consiste no uso de quimioterápicos, como a vincristina, antraciclina (doxorrubicina), asparaginase e corticosteróides. A seguir, realiza-se a consolidação e a manutenção naqueles que atingiram a remissão completa. Atualmente, segundo protocolos internacionais, o objetivo principal da quimioterapia em pacientes com LLA é atingir remissão completa da doença permitindo, assim, que o paciente realize o transplante de medula óssea alogênico quando houver indicação (7,8). O tratamento da leucemia linfoblástica aguda (LLA) em pacientes pediátricos caracteriza-se por elevada intensidade, complexidade e longa duração. Com os protocolos terapêuticos atualmente empregados, aproximadamente 90% das crianças atingem sobrevida a longo prazo, enquanto apenas uma pequena proporção apresenta doença refratária ao tratamento inicial ou experiência de recidiva. Entre os casos recorrentes, cerca de metade alcança sobrevida sustentada. Contudo, os avanços nas estratégias terapêuticas, em especial o desenvolvimento da imunoterapia, apresentam potencial significativo para aprimorar esses desfechos clínicos (9).