Nota Técnica 525595

Data de conclusão: 25/06/2026 12:25:31

Paciente

Idade: 62 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Panambi/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 525595

CID: D46.1 - Anemia refratária com sideroblastos

Diagnóstico: síndrome mielodisplásica

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: LUSPATERCEPTE

Via de administração: SC

Posologia: luspatercept 75 mg - 2 frascos em cada aplicação. Aplicar inicialmente 85 mg (dose de 1 mg/kg), de forma subcutânea. Aplicar em ciclos, 1x a cada 21 dias. Doses podem ser aumentadas até o valor de 1,75 mg/kg, dependendo do grau de resposta terapêutica e anemia do paciente.

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: LUSPATERCEPTE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Agentes estimulantes da eritropoiese (como a alfaepoetina ou eritropoietina), transfusões de sangue, quelantes de ferro e medidas de suporte clínico (cuidados paliativos).

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: LUSPATERCEPTE

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: LUSPATERCEPTE

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: LUSPATERCEPTE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O luspatercepte é uma molécula com mecanismo de ação complexo no processo de eritropoiese (produção de hemácias). Este medicamento inibe a sinalização da via SMAD2/3, que está aumentada em condições como a ?-talassemia e síndromes mielodisplásicas (MDS), as quais apresentam eritropoiese ineficaz. Deste modo, resulta na promoção da maturação dos precursores eritroides, aumentando a produção de eritrócitos maduros (6).
A eficácia e segurança do luspatercept no tratamento da anemia já foi avaliada em diversos ensaios clínicos, inclusive para pacientes com síndromes mielodisplásicas de baixo risco. Além dos ensaios preliminares de fase I e II, cabe citar dois ensaios clínicos randomizados de fase III conhecidos como MEDALIST (7) e COMMANDS (8).
O MEDALIST, publicado em 2020, foi um ensaio clínico de fase III, randomizado, multicêntrico, duplo-cego, controlado por placebo que avaliou o luspatercepte em pacientes com SMD de baixo risco com sideroblastos em anel, dependentes transfusionais e refratários ou intolerantes a agentes estimuladores de eritropoiese. Neste estudo, 153 pacientes foram randomizados para o grupo luspatercepte e 76 para o grupo placebo e o desfecho primário foi a independência transfusional por 8 semanas ou mais no período de 24 semanas do estudo. O desfecho foi atingido por 38% dos pacientes tratados com luspatercepte e 13% dos pacientes do grupo placebo. Os eventos adversos mais comuns associados ao luspatercepte foram fadiga, diarreia, astenia, náusea e tontura. A maioria dos eventos foi de grau leve a moderado, e a incidência diminuiu ao longo do tempo.
Já o estudo COMMANDS, publicado em 2024, foi um ensaio clínico de fase III, randomizado, multicêntrico, que comparou o luspatercepte com agentes estimuladores de eritropoiese para tratamento da anemia em pacientes com SMD de baixo risco, dependentes transfusionais, com valores de eritropoietina <500 U/L. Neste segundo estudo, não era mandatória a presença de sideroblastos em anel no exame de mielograma. O desfecho primário foi a independência transfusional por ?12 semanas com aumento médio de hemoglobina ?1,5 g/dL nas semanas no período de 24 semanas de tratamento. No grupo do luspatercepte 58,5% (IC 95%: 51–66) dos pacientes atingiram a independência transfusional contra 31,2% (IC 95%: 24–38) no grupo epoetina alfa. Eventos adversos relacionados ao tratamento foram relatados em 30,3% com luspatercepte e 17,6% com epoetina alfa. e as taxas de descontinuação do tratamento devido aos eventos adversos foram de 13% e 9%, respectivamente.

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Total
LUSPATERCEPTE	75 MG PO LIOF36 SOL INJ SC CT FA VD TRANS		R$ 36.416,38	R$ 1.310.989,68

* 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.
O luspatercepte é produzido no Brasil pela empresa BRISTOL-MYERS SQUIBB FARMACÊUTICA LTDA sob nomes comerciais de ROJUZDA e REBLOZYL e comercializado em frascos com 25 e 75mg na forma de pó para solução injetável. Em consulta ao painel CMED, em maio de 2026, somado aos dados de prescrição juntados ao processo (Evento 1, RECEIT13, Página 1), foi elaborada a tabela acima estimando o custo de um ano (18 aplicações) do medicamento pleiteado.
Não foram encontrados estudos de custo-efetividade do luspatercepte no contexto brasileiro e não há avaliação da CONITEC sobre o tema.
O National Institute for Health and Care Excellence (NICE), do governo do Reino Unido, iniciou a análise de custo-efetividade sobre o luspatercepte para tratamento de anemia secundária a SMD em novembro de 2022. No entanto, o painel não realizou recomendação devido a falta de submissão das evidências por parte da empresa Bristol-Myers-Squibb (9).
Já a Canada's Drug Agency (CAD-AMC), do governo canadense, publicou em dezembro de 2021 a avaliação sobre o uso de luspatercepte para pacientes com SMD de baixo risco ou risco intermediário com sideroblastos em anel e anemia com dependência transfusional (10). A agência recomendou a incorporação do luspatercepte para esta situação clínica mediante redução significativa do preço do medicamento. A razão de custo-efetividade incremental (RCEI) foi de $623.219,00 por ano de vida ganho com qualidade (QALY) em comparação ao tratamento padrão, o que resultou numa probabilidade de 0% do medicamento ser custo-efetivo. De fato, o painel estima que seria necessária uma redução de 85% do preço do luspatercepte para se atingir o limiar aceitável para sua incorporação.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Aumento do número de pacientes com independência transfusional de aproximadamente 25% em relação ao grupo placebo (estudo MEDALIST) e aumento do número de pacientes com independência transfusional de aproximadamente 28% em relação aos estimuladores de eritropoiese (estudo COMMANDS).

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

Conclusão

Tecnologia: LUSPATERCEPTE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Existe evidência científica de boa qualidade metodológica avaliando o uso de luspatercepte para a SMD com sideroblastos em anel, comprovando benefício para redução de transfusões sanguíneas. No entanto é importante ressaltar que os estudos apresentam número relativamente pequeno de pacientes, período curto de acompanhamento dos pacientes e não demonstram benefício do medicamento em relação a desfechos graves como taxa de progressão para leucemia aguda ou óbito. Ademais, estes estudos incluíram pacientes com SMD de baixo risco com uso prévio de agentes estimuladores de eritropoiese. Já no caso em

tela, trata-se de paciente com risco intermediário e que já fez uso de agente hipometilante (azacitidina), tornando ainda mais difícil a interpretação dos resultados dos ensaios clínicos e a estimativa de eventual benefício do medicamento para o cenário em tela. Portanto, entendemos que a tecnologia pleiteada apresenta potencial efeito modesto na melhora de sintomas e qualidade de vida, porém não altera significativamente o curso natural da doença.
Não há estudos que avaliem o impacto econômico do medicamento pleiteado no cenário brasileiro, porém, devido ao custo extremamente elevado da medicação, estima-se um perfil de custo-efetividade desfavorável. De fato, mesmo países de alta renda como o Canadá condicionaram a incorporação do medicamento à uma redução significativa do custo, conforme detalhado acima. Assim sendo, reiteramos que o benefício ganho com a sua incorporação não ultrapassa o prejuízo obtido pelo deslocamento de outras intervenções em saúde que não mais poderiam ser adquiridas com o mesmo investimento, perfazendo portanto mau uso dos recursos disponíveis ao sistema. O impacto orçamentário da terapia pleiteada, mesmo em decisão isolada, é elevado, com potencial de comprometimento de recursos públicos extraídos da coletividade - recursos públicos que são escassos e que possuem destinações orçamentárias com pouca margem de realocação, e cujo uso inadequado pode acarretar prejuízos a toda a população assistida pelo SUS.
Compreende-se o desejo da parte autora e da equipe assistente de buscar tratamento para uma doença que traz prejuízos à qualidade de vida e potencial redução da expectativa de vida. No entanto, frente ao modesto benefício incremental estimado; à estimativa de perfil de custo-efetividade desfavorável; à avaliação de agências internacionais de países de alta renda condicionando a incorporação do medicamento na rede pública à redução significativo do preço; ao alto impacto orçamentário mesmo em decisão isolada; e à ausência de avaliação da CONITEC, entendemos que se impõe o presente parecer desfavorável.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH). [Internet]. Disponível em: https://abhh.org.br/

2. Cazzola M. Myelodysplastic Syndromes. N Engl J Med. 2020 Oct 1;383(14):1358?74.

3. Ministério da Saúde, Secretaria de Atenção à Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas: Síndrome Mielodisplásica de Baixo Risco [Internet]. Brasília (DF): Ministério da Saúde; 2022. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20221109_pcdt_sindrome_mielodisplasicas_de_baixo_risco.pdf

4. Germing U, Schroeder T, Kaivers J, Kündgen A, Kobbe G, Gattermann N. Novel therapies in low- and high-risk myelodysplastic syndrome. Expert Rev Hematol. 2019;12(10):893?908.

5. Montoro J, Yerlikaya A, Ali A, Raza A. Improving treatment for myelodysplastic syndrome patients. Curr Treat Options Oncol. 2018;19(12):66.

6. Kubasch AS, Fenaux P, Platzbecker U. Development of luspatercept to treat ineffective

erythropoiesis. Blood Adv. 2021 Mar 9;5(5):1565?75

7. Fenaux P, Platzbecker U, Mufti GJ, Garcia-Manero G, Buckstein R, Santini V, et al. Luspatercept in patients with lower-risk myelodysplastic syndromes. N Engl J Med. 2020 Jan 9;382(2):140?51.

8. Platzbecker U, Della Porta MG, Santini V, Zeidan AM, Komrokji RS, Shortt J, et al. Efficacy and safety of luspatercept versus epoetin alfa in erythropoiesis-stimulating agent-naive, transfusion-dependent, lower-risk myelodysplastic syndromes (COMMANDS): interim analysis of a phase 3, open-label, randomised controlled trial. Lancet. 2023 Jul 29;402(10399):373?85.

9. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Luspatercept for treating anaemia caused by myelodysplastic syndromes (terminated appraisal) [TA844] [Internet]. 2022. Disponível em: https://www.nice.org.uk/guidance/ta844

10. Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH). Luspatercept (Reblozyl) for the treatment of adult patients with very low to intermediate risk myelodysplastic syndromes (MDS) associated anemia who have ring sideroblasts and require red blood cell transfusions [Internet]. 2021. Disponível em: https://www.cda-amc.ca/luspatercept-0

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 informando o diagnóstico de síndrome mielodisplásica (CID10: D46.9) desde o ano de 2023 (Evento 1, RECEIT14, Página 1). É descrita classificação de risco intermediário, conforme International Prognostic Scoring System. Em conjunto, é descrita realização de nova avaliação de medula óssea através de biópsia em dezembro de 2025 com a presença de sideroblastos em anel, configurando anemia refratária com sideroblastos (CID10: D46.1). Realizou tratamento prévio com agente estimulador da eritropoiese (eritropoietina) e agente hipometilante (azacitidina), sem controle satisfatório dos sintomas e persistência da necessidade de transfusões de hemocomponentes. Nesse contexto, pleiteia tratamento paliativo com luspatercepte por tempo indeterminado.
As síndromes mielodisplásicas (SMD), também chamadas de neoplasias mielodisplásicas (NMD), são um grupo heterogêneo de distúrbios da medula óssea que se apresentam com um curso clínico altamente diverso, caracterizados pela deficiência na produção de células sanguíneas (hemácias, leucócitos e plaquetas). Nos Estados Unidos, a incidência da SMD é de 10 a 20 mil casos por ano, representando em torno de 40 a 80 casos a cada milhão de habitantes (1). Por se tratar de doença heterogênea e com curso clínico variável de acordo com as características clínicas e citogenéticas, a SMD é classificada conforme seu prognóstico de eventos adversos graves, como transformação para leucemia aguda e óbito (2).
O International Prognostic Scoring System (IPSS) e o IPSS Revised (IPSS-R) são escores de risco utilizados para classificar a SMD de acordo com o risco de progressão e, desta forma, são úteis para individualizar o tratamento de cada paciente. A Síndrome Mielodisplásica de baixo

risco inclui pacientes classificados como IPSS baixo ou intermediário-1 ou IPSS-R muito baixo, baixo e intermediário até 3,5 pontos. Já os pacientes com SMD de alto risco são aqueles classificados como IPSS intermediário-2 e alto ou IPSS-R intermediário acima de 3,5 pontos, alto e muito alto (3).

Pacientes classificados nos grupos de baixo risco (IPSS-R < 3,5) apresentam menor chance de progressão e têm a terapia baseada em medidas de suporte clínico como transfusão de hemocomponentes, terapia de quelação de ferro e uso de agentes estimuladores da eritropoiese (2,4,5). Já nos grupos de risco intermediário e alto, que apresentam maior risco de complicação, é indicado avaliar a possibilidade de transplante alogênico de medula óssea e, em casos em que o procedimento não pode ser realizado, o uso de agentes hipometilantes ou quimioterápicos para controle da doença (2,5). Vale ressaltar que, recentemente, devido à elevada mortalidade da doença e risco de transformação para leucemia aguda, a SMD é considerada como uma doença neoplásica (oncológica).