Nota Técnica 527668

Data de conclusão: 10/06/2026 11:44:09

Paciente

Idade: 65 anos

Sexo: Masculino

Cidade: São Paulo/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Estadual

Vara/Serventia: 2ª Vara Cível - Regional XII - Nossa Senhora do O Comarca de São Paulo

Tecnologia 527668

CID: C94.5 - Mielofibrose aguda

Diagnóstico: Mielofibrose aguda

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): documentos médicos

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Procedimento

Descrição: Transplante de medula óssea

O procedimento está inserido no SUS? Sim

O procedimento está incluído em: RENAME

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: Transplante de medula óssea

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: x

Custo da Tecnologia

Tecnologia: Transplante de medula óssea

Custo da tecnologia: x

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: Transplante de medula óssea

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.

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.

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

Conclusão

Tecnologia: Transplante de medula óssea

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: 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.

Há evidências científicas? Não se aplica

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

Referências bibliográficas:

1. Kroger N et al. Allogeneic Stem Cell Transplantation for Myelofibrosis. Journal of Clinical Oncology.

1. Robin M et al. Outcome after transplantation for myelofibrosis. Blood.

1. NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology – Myeloproliferative Neoplasms.

1. ESMO Clinical Practice Guidelines – Myelofibrosis.

NatJus Responsável: SP - São Paulo

Instituição Responsável: NatJus/SP

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.