Nota Técnica 549643

Data de conclusão: 28/07/2026 09:37:41

Paciente

Idade: 58 anos

Sexo: Feminino

Cidade: João Pessoa/PB

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: Defensoria Pública

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Estadual

Vara/Serventia: 1º Núcleo de Justiça 4.0 - Saúde Pública

Tecnologia 549643

CID: D69.3 - Púrpura trombocitopênica idiopática

Diagnóstico: Púrpura Trombocitopênica Imune (PTI) primária crônica.

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudos médicos e exames laboratoriais.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: NPLATE

Princípio Ativo: ROMIPLOSTIM

Via de administração: Subcutaneo

Posologia: A dose é calculada com base no peso corporal real do paciente.
2 mcg/kg/semana.

Uso contínuo? Sim

Duração do tratamento: (Indeterminado)

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? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: ROMIPLOSTIM

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: O Sistema Único de Saúde (SUS) disponibiliza opções terapêuticas para a PTI, que incluem tratamentos de primeira linha como corticosteroides (prednisona, dexametasona) e imunoglobulina humana intravenosa (para resgate rápido). Como opções de segunda linha, o SUS oferece imunossupressores (azatioprina, ciclofosfamida, danazol) e a esplenectomia (remoção cirúrgica do baço).
No entanto, a paciente em questão é portadora de PTI há cerca de 30 anos, apresenta quadro córtico-dependente de altas doses, possui contraindicação cirúrgica à esplenectomia devido a comorbidades e já apresentou falha terapêutica ao uso de outro agonista do receptor da trombopoietina (eltrombopague) utilizado entre outubro de 2023 e outubro de 2025 em dose máxima.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: ROMIPLOSTIM

Laboratório: (AMGEN BIOTECNOLOGIA DO BRASIL LTDA.)

Marca Comercial: NPLATE

Apresentação: 250 MCG

Preço de Fábrica: 2.710,31

Preço Máximo de Venda ao Governo: 2.126,78

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: ROMIPLOSTIM

Dose Diária Recomendada: 2 mcg/kg/semana

Preço Máximo de Venda ao Governo: 2.126,78

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: CMED

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: ROMIPLOSTIM

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O romiplostim é uma proteína de fusão Fc-peptídeo (pepticorpo) que atua como um agonista do receptor da trombopoietina (TPO-RA). Ele se liga e ativa o receptor da trombopoietina nas células progenitoras da medula óssea (megacariócitos), estimulando a proliferação e a diferenciação celular, o que resulta no aumento da produção e liberação de plaquetas na corrente sanguínea. O medicamento é administrado por via subcutânea semanalmente, e a dose deve ser ajustada individualmente com base na contagem de plaquetas do paciente, podendo chegar até a dose máxima de 10 mcg/kg/semana, com o objetivo de manter a contagem plaquetária em níveis hemostáticos seguros (? 50.000/mm³) e reduzir o risco de sangramentos. A Púrpura Trombocitopênica Imune (PTI) é uma doença autoimune adquirida caracterizada pela destruição acelerada de plaquetas e pela produção inadequada dessas células pela medula óssea. O sistema imunológico do paciente produz autoanticorpos (principalmente IgG) que se ligam às glicoproteínas da superfície das plaquetas, marcando-as para destruição pelos macrófagos no baço e no fígado. Além da destruição periférica, esses autoanticorpos e células T citotóxicas também atacam os megacariócitos na medula óssea, prejudicando a produção de novas plaquetas. A consequência é uma trombocitopenia isolada (contagem de plaquetas < 100.000/mm³), que predispõe o paciente a sangramentos mucocutâneos (petéquias, equimoses, sangramento gengival) e, em casos graves, a hemorragias internas com risco de morte, como hemorragia intracraniana ou gastrointestinal. A PTI afeta indivíduos de todas as idades, com uma incidência estimada de 2 a 10 casos por 100.000 habitantes por ano. Em adultos, a doença tende a ter um curso crônico e raramente apresenta remissão espontânea, diferentemente do que ocorre em crianças. A prevalência é maior no sexo feminino, especialmente em adultos jovens, mas a distribuição entre os sexos se iguala em faixas etárias mais avançadas (acima de 60 anos). Pacientes adultos frequentemente necessitam de tratamentos de segunda linha e manejo a longo prazo para manter contagens plaquetárias seguras.
A manutenção de contagens plaquetárias extremamente baixas (16.000/mm³) impõe um impacto severo na qualidade de vida da paciente. O risco constante de sangramentos espontâneos gera ansiedade, limita as atividades diárias e exige vigilância médica contínua. Além disso, a dependência prolongada de corticosteroides em altas doses está associada a efeitos adversos sistêmicos graves, como osteoporose, diabetes, hipertensão e imunossupressão. Sem o ajuste adequado da dose do romiplostim para elevar as plaquetas a níveis seguros, o prognóstico é reservado, com alto risco de morbimortalidade por eventos

hemorrágicos maiores.
A eficácia e a segurança dos agonistas do receptor da trombopoietina (TPO-RAs), incluindo o romiplostim, no tratamento da PTI crônica em adultos são amplamente sustentadas por evidências científicas de alto nível. Uma meta-análise recente conduzida por Li et al. (2023) , que incluiu 15 ensaios clínicos randomizados (ECRs) com 1.563 pacientes, demonstrou que o uso de TPO-RAs em adultos resulta em taxas significativamente maiores de resposta plaquetária, maior duração da resposta, menor necessidade de terapias de resgate e redução expressiva na incidência de eventos hemorrágicos em comparação com o placebo, mantendo um perfil de segurança semelhante.
No que tange à comparação entre os diferentes TPO-RAs, a meta-análise de rede de Zhang et al. (2025) avaliou a eficácia comparativa dessas terapias. O estudo ranqueou o romiplostim como a intervenção mais eficaz (SUCRA = 0,96) para o aumento da contagem de plaquetas, superando o eltrombopague e o rhTPO. Esse achado é particularmente relevante para o caso em análise, visto que a paciente já apresentou falha terapêutica prévia com o eltrombopague, justificando a manutenção e otimização da terapia com romiplostim, que possui maior potência estimulatória.
Em relação ao escalonamento de dose, a bula aprovada pela FDA e pela ANVISA estabelece que a dose inicial de romiplostim é de 1 mcg/kg/semana, devendo ser ajustada em incrementos de 1 mcg/kg até que a contagem de plaquetas atinja ? 50.000/mm³, respeitando o limite máximo de 10 mcg/kg/semana. O estudo de Kuter et al. (2019) , que analisou dados integrados de 9 estudos com romiplostim, confirmou que o ajuste de dose é uma prática clínica padrão e necessária para alcançar a resposta duradoura. A análise demonstrou que a maioria dos pacientes necessita de titulação de dose acima da dose inicial para manter a eficácia a longo prazo. Além disso, a revisão sistemática de Luo et al. (2025) , que integrou dados de ECRs e estudos de mundo real (RWS), evidenciou que a eficácia dos TPO-RAs aumenta com o tempo de tratamento, alcançando taxas de resposta plaquetária de 85% a 91% em longo prazo, o que reforça a importância de adequar a posologia antes de considerar falha terapêutica. A solicitação de aumento para 2 mcg/kg/semana (8 ampolas/mês) está perfeitamente alinhada com as diretrizes clínicas e farmacológicas, sendo uma dose conservadora e bem abaixo do limite máximo permitido.
A paciente, de 58 anos, é portadora de PTI crônica há aproximadamente 30 anos. Ela apresenta um quadro grave, córtico-dependente de altas doses e refratário a tratamentos anteriores, incluindo falha terapêutica com eltrombopague e contraindicação à esplenectomia. Em maio de 2026, por força de acordo judicial homologado (NT 486554), iniciou o tratamento com romiplostim na dose inicial de 1 mcg/kg/semana (4 ampolas/mês). No entanto, a paciente apresentou resposta insuficiente a essa dosagem, evoluindo com uma contagem plaquetária de apenas 16.000/mm³. Níveis plaquetários abaixo de 20.000/mm³ representam um risco crítico e iminente de hemorragias espontâneas graves. Diante da falha da dose inicial em atingir a meta hemostática (? 50.000/mm³), a médica assistente solicitou o aumento da dose para 2 mcg/kg/semana (8 ampolas/mês). O pedido está em estrita conformidade com a bula do medicamento, que determina o escalonamento gradual da dose em incrementos de 1 mcg/kg até o limite máximo de 10 mcg/kg/semana, visando alcançar a resposta clínica adequada.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: O aumento da dose do romiplostim para 2 mcg/kg/semana tem como objetivo principal estimular de forma mais potente a produção de plaquetas pela medula óssea, elevando a contagem plaquetária para níveis hemostáticos seguros (? 50.000/mm³). O benefício esperado é a redução imediata do risco de hemorragias espontâneas graves, a possibilidade de desmame e suspensão dos corticosteroides (minimizando seus efeitos adversos) e a melhora significativa na qualidade de vida e sobrevida

da paciente.

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

Conclusão

Tecnologia: ROMIPLOSTIM

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: CONSIDERANDO que a paciente é uma adulta de 58 anos diagnosticada com Púrpura Trombocitopênica Imune (PTI) crônica há cerca de 30 anos, apresentando quadro grave, córtico-dependente e refratário a múltiplos tratamentos anteriores, incluindo falha terapêutica com eltrombopague e contraindicação à esplenectomia;
CONSIDERANDO que a paciente iniciou o tratamento com romiplostim na dose de 1 mcg/kg/semana (4 ampolas/mês) por força de acordo judicial, mas apresentou resposta insuficiente, mantendo contagem plaquetária crítica de apenas 16.000/mm³, o que a expõe a um risco iminente e elevado de hemorragias espontâneas graves e potencialmente fatais;
CONSIDERANDO que a bula oficial do medicamento romiplostim (Nplate®), aprovada pela ANVISA e FDA, determina expressamente que a dose deve ser ajustada e escalonada em incrementos de 1 mcg/kg/semana até atingir a meta hemostática de plaquetas ? 50.000/mm³, sendo permitida uma dose máxima de até 10 mcg/kg/semana;
CONSIDERANDO que a nova dose solicitada pela médica assistente é de 2 mcg/kg/semana (8 ampolas/mês), valor que se encontra estritamente dentro dos parâmetros farmacológicos e diretrizes clínicas para titulação de dose, sendo uma medida necessária e conservadora para buscar o controle da doença;
CONSIDERANDO as robustas evidências científicas, incluindo meta-análises de ensaios clínicos randomizados , que comprovam a eficácia superior do romiplostim no aumento da contagem de plaquetas e na redução de eventos hemorrágicos em pacientes adultos com PTI crônica, bem como a necessidade de ajuste posológico individualizado para alcançar a resposta terapêutica ;
CONSIDERANDO que a urgência médica está plenamente configurada, uma vez que a literatura médica estabelece que contagens plaquetárias inferiores a 20.000/mm³ representam risco crítico de sangramentos espontâneos em órgãos vitais (como sistema nervoso central e trato gastrointestinal);
CONCLUI-SE COMO FAVORAVEL.

Há evidências científicas? Sim

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

Justificativa: Com risco potencial de vida

Referências bibliográficas: Li T, et al. Efficacy and safety of thrombopoietin receptor agonists in children and adults with persistent and chronic immune thrombocytopenia: a meta-analysis. Expert Opinion on Pharmacotherapy. 2023.
Zhang X, et al. Comparative efficacy and safety of rhTPO, romiplostim, and eltrombopag in the treatment of pediatric primary immune thrombocytopenia: a systematic review and network meta-analysis. Frontiers in Immunology. 2025.

Kuter DJ, et al. Romiplostim in adult patients with newly diagnosed or persistent immune thrombocytopenia (ITP) for up to 1 year and in those with chronic ITP for more than 1 year: a subgroup analysis of integrated data from completed romiplostim studies. British Journal of Haematology. 2019.
Luo L, et al. Bridging the gaps between randomized controlled trials and real-world use of thrombopoietin receptor agonists for adult primary immune thrombocytopenia: a systematic review and meta-analysis. Frontiers in Medicine. 2025.

NatJus Responsável: PB - Paraíba

Instituição Responsável: TJ-PB

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: ndn.