Nota Técnica 582797

Data de conclusão: 05/10/2026 19:46:37

Paciente

Idade: 79 anos

Sexo: Masculino

Cidade: São Pedro da Serra/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 5ª Vara Federal de Porto Alegre

Tecnologia 582797

CID: C93.1 - Leucemia monocítica crônica

Diagnóstico: Leucemia monocítica crônica

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: AZACITIDINA

Via de administração: SC

Posologia: Azacitidina 100mg - 75mg/m² (150mg) - 120 ampolas. Aplicar 150mg subcutâneo 1 vez ao dia por 5 dias em ciclos de 28 dias. Programado realização de 12 ciclos.

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: AZACITIDINA

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Medidas de suporte clínico exclusivas (cuidados paliativos).

Existe Genérico? Sim

Existe Similar? Sim

Descrever as opções disponíveis de Genérico ou Similar: Vide CMED.

Custo da Tecnologia

Tecnologia: AZACITIDINA

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: AZACITIDINA

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: AZACITIDINA

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A azaciditina é um análogo da pirimidina que inibe as DNA/RNA metiltransferases de maneira a alterar a expressão gênica das células (incluindo expressão de genes relacionados à diferenciação celular e supressores tumorais). Entre os eventos adversos relacionados ao uso de azacitidina estão a mielossupressão (que pode ser acompanhada de neutropenia e episódios infecciosos, além de anemia e plaquetopenia com necessidade de transfusões), hepatotoxicidade, nefrotoxicidade e reações no sítio de infusão (3).

Uma revisão sistemática da literatura foi realizada para avaliar a eficácia e toxicidade dos agentes hipometilantes (HMA) no tratamento de pacientes com LMMC (4). Todos os estudos de coorte disponíveis de pacientes com LMMC tratados com decitabina e azacitidina foram identificados e os desfechos primários foram a resposta aos HMA. Estimativas agrupadas de resposta ao tratamento e eventos adversos relacionados ao medicamento foram calculadas utilizando modelos de efeitos fixos ou aleatórios. Quatorze estudos com 6.00 pacientes com LMMC (decitabina, n=196; azacitidina, n=404) foram identificados e incluídos para metanálise. Os HMAs produziram uma estimativa combinada de resposta ao tratamento de 43% (IC95% 36% a 50%). Os pacientes que receberam azacitidina ou decitabina exibiram incidência comparável de resposta ao tratamento (43% vs. 45%, P=0,810), enquanto uma incidência significativamente maior de resposta completa foi observada em pacientes tratados com decitabina (23% vs. 10%, P<0,001). O tratamento com decitabina também foi associado a maior incidência de independência transfusional (42% vs. 20%, P=0,044). Ambos os HMAs levaram a EAs hematológicos ou não hematológicos objetivos (27% a 43%), enquanto a modificação/atraso da dosagem foi mais frequente em pacientes tratados com azacitidina (81% vs. 67%, P=0,021).

Um ensaio clínico randomizado, de fase 2, distribuiu aleatoriamente pacientes (idade média de 70 anos) com síndrome mielodisplásica (SMD) ou LMMC de alto risco para um dos três regimes baseados em HMA: azacitidina isoladamente, azacitidina mais lenalidomida ou azacitidina mais vorinostate (5). Entre os 53 pacientes com LMMC, a sobrevida global (SG) foi semelhante em todos os braços do estudo e a SG mediana não foi alcançada para nenhuma coorte após quase dois anos de acompanhamento. A sobrevida global foi inferior para pacientes com características citogenéticas adversas, mas não foi afetada pelo braço de tratamento. A taxa de resposta global foi superior para azacitidina mais lenalidomida em comparação com azacitidina (68% vs. 28%), mas as reduções da dose de lenalidomida foram associadas a uma sobrevida global inferior. Os efeitos adversos graves foram semelhantes nos braços do estudo, mas aqueles que receberam terapia combinada tiveram maior probabilidade de sofrer modificações de tratamento não definidas pelo protocolo e de serem retirados da terapia devido a toxicidades.

Entre 30 pacientes tratados com azacitidina num estudo multicêntrico, a taxa de resposta global foi de 43% (incluindo 7% de resposta completa) e um terço dos pacientes que eram

dependentes de transfusão de glóbulos vermelhos e/ou plaquetas no início do estudo tornaram-se independentes de transfusão durante o tratamento (6).

Custo:

Item: AZACITIDINA
Descrição: 100 MG PO LIOF SUS INJ SC CT FA VD TRANS
Quantidade: 168
Valor Unitário: R$ 1.376,63
Valor Total: R$ 231.273,84

* 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 azacitidina é produzida e comercializada por diversas indústrias farmacêuticas no Brasil, em frascos de 100 e 150 mg. Em consulta ao painel CMED, em agosto de 2026, somado aos dados de prescrição juntados ao processo (Evento 159, RECEIT6, Página 1), foi elaborada a tabela acima estimando o custo do primeiro ano do tratamento pleiteado.

Não encontramos análise econômica avaliando a azacitidina para tratamento de pacientes com leucemia mielomonocítica crônica adequada à realidade brasileira.

O National Institute for Health and Care Excellence (NICE), do sistema de saúde britânico, recomenda a azacitidina como uma opção de tratamento para adultos que não são elegíveis para transplante de células tronco hematopoiéticas e que tenham: 1- síndromes mielodisplásicas de risco intermediário ou alto de acordo com o International Prognostic Scoring System (IPSS); 2- leucemia mielomonocítica crônica com 10% a 29% de blastos na medula sem distúrbio mieloproliferativo; 3- leucemia mieloide aguda com 20% a 30% de blastos e displasia multilinhagem, de acordo com a classificação da Organização Mundial da Saúde. Estas indicações estão condicionadas à negociação de preço com a indústria fabricante para redução de custos (7).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Taxa de resposta global ao tratamento em aproximadamente 30% dos pacientes, com taxas de resposta completa em torno de 10%.

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

Conclusão

Tecnologia: AZACITIDINA

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: A evidência científica acerca do benefício da azacitidina no tratamento leucemia mielomonocítica crônica é frágil, derivada principalmente de estudos observacionais e com número reduzido de pacientes. Estes dados demonstram que o tratamento está associado a taxas de resposta gerais de aproximadamente 30-40%, com taxas de resposta completa da ordem de 10%.

Não obstante, cabe mencionar que, no caso concreto, a parte autora faz uso do medicamento desde o ano de 2022, apresentando benefício clínico evidente, caracterizado pela melhora nas contagens plaquetárias, redução de blastos circulantes e, principalmente, melhora da anemia e independência de transfusões de hemocomponentes. Por fim, é importante mencionar que para a azacitidina há diferença entre o PMVG CMED e os valores praticados em compras públicas. Conforme o Banco de Preços em Saúde, o preço médio praticado em compras públicas é significativamente menor do que o explícito na CMED, com valor médio de compra de R$480,75. Considerando o acima exposto, nos posicionamos de maneira favorável ao pleito.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Padron E, Gurbuxani S. Chronic myelomonocytic leukemia: Clinical features, evaluation, and diagnosis. UpToDate. Topic 96031. Version 27.0.

2. Padron E.Chronic myelomonocytic leukemia: Management and prognosis. UpToDate. Topic 128330. Version 13.0.

3. Azacitidine: Drug information. UpToDate.

4. Xu R, Li M, Wu P, Deng C, Geng S, Huang X, Weng J, Du X. Hypomethylating agents in the treatment of chronic myelomonocytic leukemia: a meta-analysis and systematic review. Hematology. 2021 Dec;26(1):312-320.

5. Sekeres MA, Othus M, List AF, Odenike O, Stone RM, Gore SD, Litzow MR, Buckstein R, Fang M, Roulston D, Bloomfield CD, Moseley A, Nazha A, Zhang Y, Velasco MR, Gaur R, Atallah E, Attar EC, Cook EK, Cull AH, Rauh MJ, Appelbaum FR, Erba HP. Randomized Phase II Study of Azacitidine Alone or in Combination With Lenalidomide or With Vorinostat in Higher-Risk Myelodysplastic Syndromes and Chronic Myelomonocytic Leukemia: North American Intergroup Study SWOG S1117. J Clin Oncol. 2017;35(24):2745.

6. Drummond MW, Pocock C, Boissinot M, Mills J, Brown J, Cauchy P, Cross NC, Hartley S, Kell J, Szubert A, Cockerill PN, Bowen DT. A multi-centre phase 2 study of azacitidine in chronic myelomonocytic leukaemia. Leukemia. 2014;28(7):1570.

7. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Azacitidine for the treatment of

myelodysplastic syndromes, chronic myelomonocytic leukaemia and acute myeloid leukaemia. Technology appraisal guidance [TA218]. Published: 23 March 2011. Disponível em https://www.nice.org.uk/guidance/ta218/chapter/1-Guidance

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 leucemia mielomonocítica crônica desde 2022 (Evento 159, LAUDO4, Página 2-7). É descrito tratamento com azacitidina iniciado no ano do diagnóstico, evoluindo com melhora clínica evidenciada por aumento dos níveis de hemoglobina (atingindo independência transfusional), aumento no número de plaquetas e redução do número de células patológicas. Nesse contexto, pleiteia o uso de azacitidina por 12 ciclos como forma de tratamento da neoplasia.

A leucemia mielomonocítica crônica (LMMC) é uma doença hematopoiética maligna caracterizada por monocitose no sangue periférico e displasia da medula óssea, frequentemente acompanhada de citopenias, sintomas constitucionais e esplenomegalia. A CMML está entre as leucemias crônicas mais agressivas, com propensão à progressão para leucemia mieloide aguda (LMA). Pacientes com LMMC correm risco de complicações da doença (por exemplo, citopenias), transformação para LMA e toxicidade relacionada ao tratamento. A sobrevida média é geralmente de 20 a 40 meses e um terço pode progredir para LMA, mas os resultados variam de acordo com as características prognósticas de um indivíduo (1,2).

A escolha do tratamento é baseada na elegibilidade para transplante alogênico de células hematopoiéticas (TCH), incluindo idade (geralmente ?70 anos) e ausência de doenças comórbidas importantes, um doador de enxerto disponível e preferência do paciente, sendo o transplante o único tratamento com potencial para curar a LMMC. Para pacientes com LMMC de alto risco que não são adequados para transplante, pode ser considerado tratamento paliativo com um agente hipometilante (por exemplo, azacitidina, decitabina) ou hidroxiureia, ou cuidados de suporte exclusivos (1,2).