Nota Técnica 593860

Data de conclusão: 22/10/2026 17:45:07

Paciente

Idade: 62 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Santa Maria/RS

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: 1ª Vara Cível Especializada Em Fazenda Pública - Santa Maria/rs

Tecnologia 593860

CID: C94.5 - Mielofibrose aguda

Diagnóstico: Mielofibrose secundária

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: JAKAVI

Princípio Ativo: FOSFATO DE RUXOLITINIBE

Via de administração: oral

Posologia: RUXOLITINIBE (Jakavi) comprimidos de 5 mg – 1440 cp / 6 meses.
Tomar 04 comprimidos de 12 em 12 horas (240 comprimidos ao mês). Período mínimo de tratamento: 06 meses.

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? Sim

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: FOSFATO DE RUXOLITINIBE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Estão disponíveis para o tratamento de mielofibrose prednisona, hidroxiureia, talidomida, radioterapia, esplenectomia, transplante alogênico de medula óssea, transfusões, terapia de suporte e terapia paliativa. Esclarece-se que para o tratamento de câncer via Sistema Único de Saúde (SUS) não há uma lista de medicamentos disponíveis. Assume-se que o cuidado ao paciente deve ser feito de forma integral nas Unidades de Alta Complexidade em Oncologia (UNACON) ou nos Centros de Alta Complexidade em Oncologia (CACON), onde o fornecimento de medicamentos dá-se por autorização de procedimento de alta complexidade (APAC). Dessa forma, a disponibilidade de medicamentos varia conforme a localidade.

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: FOSFATO DE RUXOLITINIBE

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: FOSFATO DE RUXOLITINIBE

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: FOSFATO DE RUXOLITINIBE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: A mielofibrose primária e a mielofibrose secundária possuem características clínicas semelhantes, mas a origem e a progressão podem diferir. A mielofibrose secundária é uma neoplasia mieloproliferativa que surge a partir de policitemia vera (PV) ou trombocitemia essencial (TE), resultando na substituição progressiva da medula óssea por tecido fibrótico (1). A mielofibrose secundária pode se manifestar com anemia progressiva, alterações nos níveis de leucócitos (diminuição ou aumento) e plaquetas (redução ou elevação), além de hematopoiese extramedular, frequentemente resultando em esplenomegalia e hepatomegalia. Os pacientes também podem apresentar sintomas constitucionais graves, hipertensão pulmonar, evolução para leucemia e risco aumentado de morte precoce (2). O tratamento envolve controle da anemia, uso de hidroxiureia e inibidores de JAK, como ruxolitinibe, fedratinibe e pacritinibe, que ajudam a reduzir o volume do baço e alívio dos sintomas (5). O transplante de células-tronco hematopoéticas é a única opção curativa, embora esteja associado com desafios consideráveis (3).

O ruxolitinibe é um inibidor seletivo da janus quinase 1 e 2. Essas enzimas estão envolvidas na sinalização de citocinas e fatores de crescimento, com efeito sobre o sistema imune e hematopoiético. Este medicamento pode aumentar o risco de infecções (em particular por herpes vírus e citomegalovírus) e não deve ser administrado a pacientes com infecção ativa, trombocitopenia e alteração da função hepática ou renal. A descontinuação deve ser lenta para evitar recidiva dos sintomas/síndrome de liberação de citocinas ou síndrome de lise tumoral (4). Entre outros efeitos adversos comuns estão anemia e trombocitopenia, por vezes, com demanda de transfusões, além de neutropenia.

Dois ensaios clínicos randomizados de fase III, denominados COMFORT-I (5) e COMFORT-II (6), avaliaram a eficácia e a segurança do ruxolitinibe em pacientes com mielofibrose primária ou secundária à policitemia vera ou à trombocitemia essencial, classificados como de risco intermediário-2 ou alto. O estudo COMFORT-I incluiu 309 pacientes e comparou o ruxolitinibe com placebo, enquanto o COMFORT-II incluiu 219 pacientes e utilizou como comparador a melhor terapia disponível. Em ambos os estudos, o ruxolitinibe demonstrou superioridade na redução do volume esplênico, com respostas observadas em aproximadamente 42% dos pacientes no COMFORT-I e 28% no COMFORT-II, em comparação a menos de 1% e 0% nos respectivos grupos controle. Também foram observadas melhoras dos sintomas associados à doença e da qualidade de vida. Em relação à sobrevida global, o COMFORT-I identificou redução estatisticamente significativa do risco de morte em análise atualizada, enquanto o

COMFORT-II não demonstrou diferença significativa em relação à melhor terapia disponível na análise inicial. O tratamento apresentou maior frequência de eventos adversos hematológicos, especialmente anemia e trombocitopenia. Em conjunto, os resultados indicam benefício clínico consistente do ruxolitinibe no controle das manifestações da mielofibrose, embora permaneçam limitações quanto à demonstração de benefício em sobrevida e à segurança em longo prazo.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Controle de sintomas constitucionais e esplenomegalia, incerto para o desfecho de sobrevida geral.

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

Conclusão

Tecnologia: FOSFATO DE RUXOLITINIBE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão:
Paciente de 61 anos, ECOG 0, com diagnóstico de policitemia vera desde 2013, evoluindo para mielofibrose secundária pós-policitemia vera (CID-10 C94.5), classificada como risco intermediário 1 pelo escore MYSEC. Apresenta anemia, esplenomegalia e aumento progressivo da contagem plaquetária, com biópsia de medula óssea evidenciando reticulogênese grau 2. Foi previamente tratado com hidroxiureia, cuja dose precisou ser reduzida devido à anemia, apresentando intolerância ao medicamento e persistência de doença sintomática. Atualmente, encontra-se elegível ao transplante de medula óssea, aguardando avaliação pela equipe especializada, com necessidade de controle clínico e sintomático para otimização das condições gerais antes do procedimento.
Embora essas circunstâncias possam justificar a necessidade de uma alternativa terapêutica para controle clínico e sintomático, não demonstram, isoladamente, a imprescindibilidade do ruxolitinibe, tampouco a inexistência de outras estratégias terapêuticas adequadas disponíveis no SUS.
Os estudos COMFORT-I e COMFORT-II demonstram que o ruxolitinibe apresenta benefício clínico no tratamento da mielofibrose, especialmente pela redução da esplenomegalia, pelo alívio dos sintomas e pela melhora da qualidade de vida. Os resultados também sugerem possível benefício em sobrevida global, em comparação ao placebo no COMFORT-I, mas sem confirmação estatística no acompanhamento prolongado do COMFORT-II em comparação à melhor terapia disponível. Entretanto, essas afirmações são baseadas em estudos de qualidade metodológica baixa, parte deles avaliando contra placebo, sem cegamento, com potenciais vieses de aferição, de atrito e corporativo. Por conta disso, a certeza em relação às afirmações previamente enunciadas é baixa e a força de recomendação, fraca. Ressalta-se também que o tratamento com ruxolitinibe não evita progressão da doença para leucemia aguda.
As razões incrementais de custo-efetividade calculadas para realidade brasileira excedem muito o limiar de disponibilidade a pagar da sociedade e, por isso, o parecer da agência encarregada de avaliar a incorporação de tecnologias de saúde ao SUS, a CONITEC, recomendou a sua não incorporação em duas avaliações. Na sua última avaliação a CONITEC ressalta os aspectos econômicos para sua tomada de decisão: “cientes de que se trata de uma doença rara e satisfeitos com os dados científicos acrescentados na consulta pública, para a

decisão foram considerados os resultados da avaliação econômica e impacto orçamentário". Assim, embora exista evidência de eficácia do medicamento para determinados desfechos clínicos, as limitações quanto à certeza dos resultados, as incertezas sobre o benefício em sobrevida global, avaliação desfavorável à incorporação pela CONITEC e a ausência de demonstração inequívoca de sua imprescindibilidade no caso concreto não permitem considerar suficientemente comprovados os requisitos técnico-científicos para sua concessão excepcional.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Myelofibrosis (MF): Management of primary MF and secondary MF - UpToDate. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/myelofibrosis-mf-management-of-primary-mf-and-secondary-mf

2. Reilly JT, McMullin MF, Beer PA, Butt N, Conneally E, Duncombe A, et al. Guideline for the diagnosis and management of myelofibrosis. Br J Haematol. agosto de 2012;158(4):453–71.

3. Passamonti F, Mora B. Myelofibrosis. Blood. 20 de abril de 2023;141(16):1954–70.

4. Ruxolitinib (systemic): Drug information - UpToDate. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/ruxolitinib-systemic-drug-information

5. Verstovsek S, Mesa RA, Gotlib J, et al. A double-blind, placebo-controlled trial of ruxolitinib for myelofibrosis. N Engl J Med. 2012;366(9):799-807. doi:10.1056/NEJMoa1110557.

6. Harrison CN, Vannucchi AM, Kiladjian JJ, et al. Long-term findings from COMFORT-II, a phase 3 study of ruxolitinib vs best available therapy for myelofibrosis. Leukemia. 2016;30:1701-1707. doi:10.1038/leu.2016.148.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: NATJUS/TJRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: O NAT-Jus tem como objetivo a elaboração de notas e respostas técnicas a partir de fundamentos científicos. Salienta-se que a Nota Técnica (NT) tem por finalidade responder de forma preliminar a uma questão clínica sobre potenciais efeitos de uma tecnologia em saúde, para uma determinada condição. Para tanto, é realizada análise documental, dos fundamentos científicos e avaliação em tese da questão posta. Portanto, a

conclusão “favorável” ou “desfavorável” diz respeito tão somente às evidências científicas atualizadas sobre a metodologia em foco e à indicação do seu custeio pelo poder público ou saúde suplementar, levando em consideração as opções disponíveis. A escolha e prescrição de determinado tratamento em detrimento de outro e a avaliação completa individualizada cabe ao médico assistente. Ainda, a emissão de NT não constitui avaliação pericial direta, e mesmo após emissão de NT ainda pode ser realizada perícia médica, caso o juízo considere necessário.