Nota Técnica 598462

Data de conclusão: 29/10/2026 11:54:19

Paciente

Idade: 32 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: 13ª Vara Cível Regional II Santo Amaro da Comarca de São Paulo

Tecnologia 598462

CID: Q85.8 - Outras facomatoses não classificadas em outra parte

Diagnóstico: Síndrome de Von Hippel-Lindau VHL

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): X

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: BELZUTIFANO

Via de administração: V.O.

Posologia: X

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Não informado

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não informado

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: BELZUTIFANO

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Ressecções cirúrgicas e acompanhamento interprofissional

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: BELZUTIFANO

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: BELZUTIFANO

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia:

-

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: BELZUTIFANO

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: (a) Negativa do fornecimento do medicamento na via administrativa; Ausência de documento que comprove negativa. (b) Impossibilidade de substituição por outro medicamento constante nas listas do SUS e dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas; Solicitação pertinente à saúde suplementar. (c) comprovação, à luz da medicina baseada em evidências, da eficácia, acurácia, efetividade e segurança do fármaco, necessariamente respaldadas por evidências científicas de alto nível, ou seja, unicamente ensaios clínicos randomizados e revisão sistemática ou meta-análise; No estudo clínico de fase II LITESPARK-004, foi demonstrado que o belzutifano apresentou uma taxa de resposta objetiva de 49,2% em pacientes com carcinoma de células renais e 30% em pacientes com hemangioblastomas do SNC associados à síndrome de von Hippel-Lindau (VHL). A duração da resposta foi ? 9 meses para carcinoma renal e ? 12 meses para hemangioblastomas do SNC. A segurança foi considerada gerenciável, com eventos adversos comuns incluindo anemia e fadiga. Uma revisão sistemática e meta análise também destacou a eficácia de belzutifano em estabilizar a doença e reduzir a progressão tumoral em pacientes com VHL, embora efeitos colaterais como anemia e fadiga tenham sido observados. (d) imprescindibilidade clínica do tratamento, comprovada mediante laudo médico fundamentado, descrevendo inclusive qual o tratamento já realizado; Paciente do sexo masculino, 31 anos de idade, portador de da síndrome de von Hippel-Lindau com angioma de retina com perda de visão, hemangioblastomas cerebrais, cerebelares e bulbares, cistos renais e pancreáticos, e por fim feocromocitoma em adrenal direta. Solicitado tratamento sistêmico com belzutifano.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Melhora do quadro clínico.

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

Conclusão

Tecnologia: BELZUTIFANO

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: O medicamento não possui respaldo de ensaio clínico fase III, ou estudo que avalie sobrevida global ou ganho de qualidade de vida. A ausência de outro tratamento não deve ser argumento, uma vez que há possibilidade de uso de placebo como grupo controle.

Há evidências científicas? Não se aplica

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

Referências bibliográficas: Iliopoulos O, Iversen AB, Narayan V, Maughan BL, Beckermann KE, Oudard S, Else T, Maranchie JK, Goldberg CM, Fu W, Perini RF, Liu Y, Linehan WM, Srinivasan R, Jonasch E. Belzutifan for patients with von Hippel-Lindau disease-associated CNS haemangioblastomas (LITESPARK-004): a multicentre, single-arm, phase 2 study. Lancet

Oncol. 2024 Oct;25(10):1325-1336. 2. Palavani LB, Camerotte R, Vieira Nogueira B, Ferreira MY, Oliveira LB, Pari Mitre L, Coelho Nogueira de Castro W, Canto Gomes GL, Fabrini Paleare LF, Batista S, Fim Andreão F, Bertani R, Dias Polverini A. Innovative solutions? Belzutifan therapy for hemangioblastomas in Von Hippel-Lindau disease: A systematic review and single arm meta-analysis. J Clin Neurosci. 2024 Oct;128:110774. 3. Fallah J, Brave MH, Weinstock C, Mehta GU, Bradford D, Gittleman H, Bloomquist EW, Charlab R, Hamed SS, Miller CP, Dorff SE, Chambers WA, Mixter BD, Dinin J, Pierce WF, Ricks TK, Tang S, Donoghue M, Pazdur R, Amiri-Kordestani L, Ibrahim A, Beaver JA. FDA Approval Summary: Belzutifan for von Hippel-Lindau Disease Associated Tumors. Clin Cancer Res. 2022 Nov 14;28(22):4843-4848. 4. Zamarud A, Marianayagam NJ, Park DJ, Yener U, Yoo KH, Meola A, Chang SD. The outcome of central nervous system hemangioblastomas in Von Hippel-Lindau (VHL) disease treated with belzutifan: a single-institution retrospective experience. J Neurooncol. 2023 Nov;165(2):373-379. doi: 10.1007/s11060-023-04496-z. Epub 2023 Nov 13. PMID: 37955759. 5. Srinivasan R, Iliopoulos O, Beckermann KE, Narayan V, Maughan BL, Oudard S, Else T, Maranchie JK, Iversen AB, Cornell J, Perini RF, Liu Y, Linehan WM, Jonasch E. Belzutifan for von Hippel-Lindau disease-associated renal cell carcinoma and other neoplasms (LITESPARK-004): 50 months follow-up from a single-arm, phase 2 study. Lancet Oncol. 2025 May;26(5):571-582. doi: 10.1016/S1470-2045(25)00099-3. Epub 2025 Apr 12. Erratum in: Lancet Oncol. 2025 Jul;26(7):e349. doi: 10.1016/S1470-2045(25)00354-7. PMID: 40228516; PMCID: PMC12050119.

NatJus Responsável: SP - São Paulo

Instituição Responsável: NAT JUS 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.