

## **NOTA TÉCNICA Nº 0180/2025 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5028304-92.2024.4.03.6100
- 1.3. Data da Solicitação: 08/01/2025
- 1.4. Data da Resposta: 30/01/2025

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 01/09/1967 - 57 anos
- 2.2. Sexo: feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo /SP
- 2.4. Histórico da doença: Leucemia Mieloide Aguda (LMA) – CID 10 - C92.0  
Diagnosticada em agosto/2024. História de neoplasia de mama, tratada com cirurgia, quimioterapia e radioterapia. A LMA é considerada secundária a terapêutica utilizada para tratamento da neoplasia de mama. Tratamento iniciado com o protocolo quimioterápico D3A7 em 15/08/2024. Paciente apresentou toxicidade importante, com complicações infecciosas graves e não houve resposta adequada da doença ao tratamento instituído. Paciente atingiu a dose máxima aceitável dos medicamentos antracíclicos, de forma que a quimioterapia convencional para LMA não é mais uma alternativa de tratamento, devido ao elevado risco de cardiotoxicidade.

### **3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)**

#### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento  
**XOSPATA 40 mg**
- 4.2. Princípio Ativo: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE
- 4.3. Registro na ANVISA: 1771700100015 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: Não.
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: Arac-C em baixa dose, como tratamento paliativo.
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não
- 4.7. Custo da tecnologia:
  - 4.7.1. Denominação genérica: HEMIFUMARATO DE GILTERITINIBE
  - 4.7.2. Laboratório: ASTELLAS FARMA BRASIL IMPORTAÇÃO E DISTRIBUIÇÃO DE MEDICAMENTOS LTDA.
  - 4.7.3. Marca comercial: XOSPATA®

4.7.4. Apresentação: 40 MG COM REV CT BL AL AL X 84

4.7.5. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 86.582,34

4.8. Tratamento mensal:

4.8.1. Dose diária recomendada: 3 cp 1xd

4.8.2. Custo mensal - preço máximo de venda ao Governo: R\$ 1.038.988,08

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da ANVISA/CMED. Referência janeiro de 2025. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>

4.10. Recomendações da CONITEC: Não avaliado.

## **5. Discussão e Conclusão**

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Gilteritinibe é um inibidor de tirosina quinase aprovado para o tratamento de leucemia mieloide aguda (LMA) com mutação FLT3 em pacientes que apresentam recidiva ou são refratários ao tratamento inicial. A eficácia do gilteritinibe como monoterapia em LMA com mutação FLT3 é bem documentada, com estudos mostrando que ele melhora a sobrevida global em comparação com a quimioterapia de resgate. No entanto, a presença de rearranjos KMT2A (anteriormente conhecidos como MLL) é um fator prognóstico adverso em LMA, e a eficácia do gilteritinib especificamente em pacientes com rearranjos KMT2A não é bem estabelecida nos estudos disponíveis.

Os dados disponíveis indicam que o gilteritinibe é eficaz em pacientes com mutações FLT3, mas a presença de rearranjos KMT2A está associada a uma **pior sobrevida**. Isso sugere que, embora o gilteritinibe possa ser uma opção de tratamento, os resultados são subótimos em pacientes com rearranjos KMT2A. Além disso, uma combinação de gilteritinibe com outros agentes, como venetoclax, está sendo investigada para melhorar os resultados, mas essa abordagem pode aumentar a toxicidade hematológica.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Ver item 5,1.

5.3. Parecer

( ) Favorável

( X ) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

Embora o gilteritinibe seja uma opção viável para LMA com mutação FLT3, a presença de rearranjos KMT2A pode exigir estratégias terapêuticas adicionais ou combinadas para melhorar os resultados clínicos.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

( x ) SIM, com potencial risco de vida

( ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

( ) NÃO

#### 5.5. Referências bibliográficas:

1. Perl AE, Larson RA, Podoltsev NA, et al. Follow-up of patients with R/R FLT3-mutation-positive AML treated with gilteritinib in the phase 3 ADMIRAL trial. *Blood*. 2022;139(23):3366-3375. doi:10.1182/blood.2021011583.
2. Wang J, Jiang B, Li J, et al. Phase 3 study of gilteritinib versus salvage chemotherapy in predominantly Asian patients with relapsed/refractory FLT3-mutated acute myeloid leukemia. *Leukemia*. 2024;38(11):2410-2418. doi:10.1038/s41375-024-02382-9.
3. Othman J, Hwang A, Brodermann M, et al. Outcomes with single-agent gilteritinib for relapsed or refractory FLT3-mutant AML after contemporary induction therapy. *Blood Adv*. 2024;8(21):5590-5597. doi:10.1182/bloodadvances.2024014017.
4. Kugler E, Cohen I, Amitai I, et al. Gilteritinib with or without venetoclax for relapsed/refractory FLT3-mutated acute myeloid leukaemia. *Br J Haematol*. 2024;205(3):932-941. doi:10.1111/bjh.19548.

#### **5.6. Outras Informações – conceitos:**

##### **ANS** - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

##### **ANVISA** - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

##### **CONITEC** – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

### **RENAME** - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

### **REMUME** - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

### **ANS** - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

### **ANVISA** - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

**PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT)** - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

**FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA** é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

**Considerações NAT-Jus/SP:** A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.



## Equipe NAT-Jus/SP