

NOTA TÉCNICA 10222

IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

CÂMARA/VARA: 11ª CACIV

COMARCA: 2ª INSTÂNCIA

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2026.0010222

IDADE: 77 anos

SEXO: Masculino

DOENÇA(S) INFORMADA(S): CID D46.9

PEDIDO DA AÇÃO: Fornecimento do medicamento luspatercept (Reblozyl®) para tratamento de Síndrome Mielodisplásica.

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Fornecimento pelo plano de saúde do medicamento luspatercept (Reblozyl®) prescrito para tratamento de paciente portador de Síndrome Mielodisplásica.

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

Conforme definição do CFM o caso é de urgência ou emergência?

R: O quadro clínico descrito nos relatórios médicos não se configura urgência conforme a Resolução do Conselho Federal de Medicina (CFM) nº 1.4511.

O medicamento/tratamento relacionado está incorporado ao SUS?

R: Não. A CONITEC (Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS) concentra suas avaliações recentes do fármaco principalmente em outras condições como a beta-talassemia.

O medicamento solicitado consta do rol da ANS?

R: Não. A Agência Nacional de Saúde Suplementar ainda não realizou a sua incorporação oficial ao seu Rol.

À luz da medicina baseada em evidência, há eficácia, acurácia, efetividade e segurança do medicamento solicitado pela requerente?

R: Sim, conforme descrição no tópico seguinte.

Existe medicamento alternativo ao que ora é solicitado?

R: Não, pois o Reblozyl® é um medicamento único em sua classe de

maturação eritroide não havendo no mercado outra marca com o mesmo princípio ativo.

O medicamento solicitado é de uso domiciliar ou somente pode ser administrado em unidades de saúde?

R: O medicamento solicitado é uma terapia de suporte hematológico de aplicação ambulatorial subcutânea que deve ser administrado sob supervisão médica.

O medicamento solicitado é antineoplásico?

R: Não, pois os antineoplásicos atuam destruindo, atacando ou inibindo a multiplicação de células cancerígenas, enquanto o luspatercepte (Reblozyl®) é um agente de maturação eritroide que age como uma proteína de fusão que bloqueia sinais inibitórios, permitindo que os glóbulos vermelhos que já estão na medula consigam amadurecer e chegar ao sangue.

Existe outro medicamento com o mesmo princípio ativo de eficácia comprovada que pode substituir o solicitado pela autora?

R: Não, atualmente não existe nenhum outro medicamento com o mesmo princípio ativo (luspatercepte) que possa substituir o Reblozyl.

O medicamento solicitado possui registro na ANVISA?

R: Sim.

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Conforme a documentação apresentada, trata-se de paciente de 77 anos, portador de síndrome mielodisplásica sintomática (anemia refratária com sideroblastos em anel). Está em tratamento com eritropoetina e filgrastim, porém vem evoluindo com piora da anemia e necessidade de transfusões frequentes. No estudo medular, consta maturação sequencial normal da série granulocítica e sem aumento de blastos. São relatadas as comorbidades *diabetes mellitus*, com neuropatia diabética, hipertensão arterial sistêmica, insuficiência arterial periférica em membros inferiores e aneurisma de aorta abdominal. *Performance status* ECOG-1. Em virtude da falta de resposta terapêutica satisfatória à despeito do tratamento com agentes estimuladores

da eritropoiese a médica assistente prescreveu o medicamento luspatercept (Reblozyl®) subcutâneo a cada 21 dias com o objetivo de reduzir a dependência transfusional e melhorar os parâmetros hematológicos do paciente. O tratamento foi negado pelo plano de saúde com o argumento de que a medicação não consta no rol de procedimentos obrigatórios da ANS.

A Síndrome Mielodisplásica (SMD) são um grupo de neoplasias da medula óssea caracterizadas por hematopoese ineficaz e manifestada por displasia morfológica em células hematopoéticas e por citopenia(s) no sangue periférico, na ausência de outras causas que justifiquem a(s) citopenia(s). Predominantemente uma doença dos idosos (a idade mediana dos pacientes ao diagnóstico é 75,7 anos), a SMD pode evoluir para leucemia mieloide aguda (LMA) e é mais comum em homens (aproximadamente 2:1). Sua incidência no Reino Unido é de 3,72/100.000 habitantes/ano. No Brasil, segundo dados dos sistemas de informações hospitalares e ambulatoriais do SUS, de 2019 a 2021 registraram-se, por Síndrome Mielodisplásica, 7.648 internações (média anual de 2.549) e 42.994 (média anual de 14.331) procedimentos ambulatoriais.

Pacientes com suspeita de Síndrome Mielodisplásica devem ser avaliados por um especialista na área de hematologia para serem submetidos à investigação diagnóstica.

A Síndrome Mielodisplásica de baixo risco inclui pacientes classificados por meio do Sistema Internacional de Escore Prognóstico (*International Prognostic Scoring System* [IPSS]) baixo e intermediário-1 e do Sistema Internacional de Escore Prognóstico Revisado (*Revised International Prognostic Scoring System* [IPSS-R]) como muito baixo, baixo e intermediário até 3,5 pontos.

A única terapia curativa para a Síndrome Mielodisplásica é o transplante de células-tronco hematopoéticas (TCTH) alogênico, reservado preferencialmente para pacientes abaixo de 75 anos e síndrome mielodisplásica de risco intermediário e alto definidos pelo IPSS e IPSS-R. O objetivo principal da terapia da Síndrome Mielodisplásica de baixo risco é melhorar a(s) citopenia(s), a fim de prevenir complicações, como sangramento

e infecções graves, reduzir a necessidade de transfusão de hemocomponentes e melhorar a qualidade de vida dos pacientes. A observação clínica, sem necessidade de terapia específica, pode ser a melhor opção para pacientes com Síndrome Mielodisplásica de baixo risco e citopenia(s) assintomática(s). A detecção de sinais de gravidade ou evolução da doença indicam a necessidade de terapia específica. Os indicadores de evolução são o agravamento de citopenia(s) e um número crescente de blastos no sangue periférico ou medula óssea e evolução clonal.

Os cuidados de suporte com transfusões de hemocomponentes são fundamentais para o tratamento de pacientes com SMD. O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde para Síndrome Mielodisplásica de Baixo Risco¹ lista os seguintes medicamentos para a terapia da SMD: alfaepoetina, filgrastim e talidomida. O luspatercepte não é citado como alternativa e não consta na lista de distribuição padrão das farmácias do SUS para SMD. A CONITEC emprega suas avaliações recentes deste fármaco principalmente em outras condições (como a beta-talassemia, que enfrentou pareceres iniciais de não incorporação devido ao alto impacto orçamentário).

O Reblozyl® (luspatercepte) teve seu registro atualizado na ANVISA em 2021. É indicado para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão devido a síndromes mielodisplásicas (SMD) de risco muito baixo a intermediário com sideroblastos em anel e que sejam refratários, intolerantes ou inelegíveis para tratamento com agente estimulante da eritropoiese (ESA). Também é indicado para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associado com beta-talassemia. O medicamento atua ligando-se a ligandos da superfamília TGF- β , promovendo a maturação final dos glóbulos vermelhos na medula óssea. Estudos de vida real e revisões sistemáticas continuam a validar esses resultados, confirmando um perfil de tolerância manejável, onde os efeitos colaterais mais comuns são fadiga, diarreia e fraqueza de grau leve a moderado².

As principais evidências científicas baseiam-se em dois grandes ensaios clínicos: Estudo MEDALIST e Estudo COMMANDS. O MEDALIST é um

estudo de Fase 3 que demonstrou a capacidade do Reblozyl® de tratar eficazmente a anemia associada a síndromes mielodisplásicas em pacientes adultos que dependem de transfusão de sangue. Os resultados em síndromes mielodisplásicas demonstraram que **37,9% dos pacientes tratados com Reblozyl® alcançaram independência das transfusões de sangue por pelo menos oito semanas durante as primeiras 24 semanas em comparação com 13,2% de pacientes com placebo**³.

O estudo COMMANDS é um ensaio clínico de Fase 3 que estabeleceu o luspatercepte como terapia de primeira linha para pacientes com SMD de baixo risco que necessitam de transfusões, mas que nunca foram tratados com Agentes Estimuladores da Eritropoiese (AEEs). O luspatercepte quase dobrou a taxa de sucesso: **58,5% dos pacientes** atingiram independência transfusional por ≥ 12 semanas, em comparação a 31,2% com epoetina alfa⁴. O perfil de segurança de Reblozyl® (luspatercepte) mostrou-se bem tolerável em ambos os estudos.

A agência canadense CADTH (atual Canada's Drug Agency) emitiu uma recomendação favorável ao reembolso do Reblozyl® (luspatercepte) para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada a Síndromes Mielodisplásicas (SMD) em pacientes de risco muito baixo, baixo ou intermediário, com sideroblastos em anel na medula óssea, que sejam dependentes de transfusões e que apresentem falha ou não sejam elegíveis para o tratamento convencional com Agentes Estimulantes da Eritropoiese (como a epoetina alfa).⁵

A agência NICE suspendeu a avaliação do Reblozyl® (luspatercepte) para anemia por síndromes mielodisplásicas após a fabricante não ter submetido até o momento o dossiê de evidências necessário para uma recomendação favorável para o NHS, embora especialistas reconheçam o potencial do medicamento como segunda linha.⁶

O quadro clínico descrito nos relatórios médicos não se configura urgência conforme a Resolução do Conselho Federal de Medicina (CFM) nº 1.4511.

IV – CONCLUSÃO:

Considerando o caso concreto do presente auto, trata-se paciente de 77 anos, portador de síndrome mielodisplásica sintomática, com sideroblastos em anel, com maturação sequencial normal da série granulocítica; sem aumento de blastos e refratário ao tratamento com eritropoetina e filgrastim com necessidade de transfusões frequentes;

Considerando haver evidências científicas que mostraram elevado percentual (37,9% *versus* 13,2%) dos pacientes tratados com Reblozyl® alcançaram independência das transfusões de sangue por pelo menos oito semanas durante as primeiras 24 semanas de análise e aumento do tempo total sem precisar de transfusões;

Considerando que as diretrizes nacionais e internacionais indicam o uso de luspatercepte nas Síndromes Mielodisplásicas (SMD) em pacientes de risco muito baixo, baixo ou intermediário, com sideroblastos em anel na medula óssea, que sejam dependentes de transfusões e apresentarem falha ou não serem elegíveis para o tratamento convencional com Agentes Estimulantes da Eritropoiese (como a epoetina alfa);

Considerando que o Reblozyl® é um medicamento único em sua classe de maturação eritroide não havendo no mercado outra marca com o mesmo princípio ativo;

Considerando, porém, que o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde para Síndrome Mielodisplásica de Baixo Risco não cita o uso do luspatercepte nas Síndromes Mielodisplásicas e que a CONITEC foca suas avaliações recentes do fármaco principalmente em outras indicações;

Este NATJUS considera a presente demanda como **justificada**.

V – REFERÊNCIAS:

1) CONITEC. **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Síndrome Mielodisplásica de Baixo Risco**. Modificado em 12/09/2023. PORTARIA CONJUNTA Nº 8, DE 30 DE JULHO DE 2019. https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20221109_pcdt_sindrome_mielodisplasicas_de_baixo_risco

[o.pdf](#)

2) ANVISA.

[https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/reblozyl-r-luspatercepte-novo-registro /](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/reblozyl-r-luspatercepte-novo-registro/)

3) Pierre Fenaux, M.D., Ph.D., Uwe Platzbecker, M.D., Ghulam J. Mufti, F.R.C.P., Guillermo Garcia-Manero, M.D., Rena Buckstein, M.D., Valeria Santini, M.D., María Díez-Campelo, M.D., Ph.D., +35 , and Alan F. List, M.D. **Luspatercept in Patients with Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes.** Published January 8, 2020 N Engl J Med 2020;382:140-151. DOI:10.1056/NEJMoa1908892 VOL. 382 NO. 2 Copyright © 2020.

https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1908892?_cf_chl_f_tk=pp8C11gxEZYbZfwnKfm6wsvEvUSztDd3wevdr7BPeaU-1782918336-1.0.1.1-U1odsJBBREGfpaea4oOcGsWTWcmc2vQhlpOzDd.Hwig

4) Komrokji RS, Hayati S, Ugidos M, Garcia-Manero G, Della Porta MG, Zeidan AM, Santini V, Platzbecker U, Gandhi AK, Suragani RNVS. **Impact of Mutational Landscape and Burden on RBC Transfusion Response in Patients With Lower-Risk Myelodysplastic Syndromes (LR-MDS) in the COMMANDS Study.** Am J Hematol. 2026 Mar;101(3):427-438. doi: 10.1002/ajh.70171. Epub 2026 Jan 19. PMID: 41549790; PMCID: PMC12868996. <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC12868996/>

5) CADTH. **Reimbursement Recommendation Luspatercept (Reblozyl).**

https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2021/SR0670%20Reblozyl%20-%20Draft%20CADTH%20Recommendation%20for%20posting%20August%2012%2C%202021.pdf?_cf_chl_f_tk=sjPAsbQwbg7GxIOzAs.WN21_iZyBWPnUHlpLgXEzqM0-1783012109-1.0.1.1-611gMw7BqaamT5.zVeDie1cy9X2SHu3f2RzrVKFHhoA

6) NICE. **Luspatercept for treating anaemia caused by myelodysplastic syndromes (terminated appraisal)**. Technology appraisal. Reference number:TA844 Published: 24 November 2022.

<https://www.nice.org.uk/guidance/ta844>

VI – DATA:

02/07/2026

NATJUS – TJMG