

NOTA TÉCNICA 10303

IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

CÂMARA/VARA: 2ª Vara

COMARCA: Mantena/MG

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2026.0010303

IDADE: 37 anos

SEXO: Feminino

DOENÇA(S) INFORMADA(S): CID C921.

PEDIDO DA AÇÃO: Fornecimento do medicamento Asciminibe 40 mg.

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Fornecimento de medicação Asciminibe 40 mg prescrita para paciente portadora de Leucemia Mielóide Crônica atendida pelo SUS.

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

“para que seja emitido parecer técnico sobre a viabilidade e urgência do medicamento pleiteado, bem como informe se o tratamento é fornecido pelo SUS e se há alternativas terapêuticas disponíveis”.

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Conforme a documentação apresentada trata-se de paciente de 37 anos, portadora de Leucemia Mielóide Crônica em acompanhamento em serviço especializado. Histórico de diagnóstico estabelecido em 2021, sendo submetida a tratamento inicial com Imatinibe que evidenciou falha terapêutica. Iniciado uso de Dasatinibe em 2022, apresentando sinais de mielotoxicidade. Além disso, é relatado que não houve resposta no exame de quantificação de BCR::ABL, sendo prescrito pelo médico assistente o Asciminibe 40 mg na posologia de 2 vezes ao dia, com o objetivo de se evitar o risco de óbito por transformação leucêmica.

A leucemia mieloide crônica (LMC) é uma neoplasia mieloproliferativa caracterizada pela proliferação excessiva de granulócitos em diferentes fases de maturação e pela presença do cromossomo Philadelphia (Ph+), resultado da translocação recíproca entre os braços longos dos cromossomos 9 e 22,

t(9;22) (q34; q11.2), levando à fusão do gene BCR (*breakpoint cluster region protein*) com o gene ABL1 (*Abelson murine leukemia viral oncogene homolog*) . Este gene de fusão, BCR::ABL1, resulta na expressão de uma proteína, que é uma tirosina quinase, com papel central na patogênese da LMC.

O acúmulo de granulócitos imaturos pode acontecer tanto na medula óssea (MO) quanto no sangue periférico. A produção excessiva dessas células imaturas pode comprometer a produção das células normais, levando a à anemia, resultando em sintomas como fadiga, e o acúmulo de granulócitos imaturos leva à esplenomegalia, provocando anorexia e perda de peso, de forma gradativa.

A incidência da LMC em adultos é de 1 a 2 casos por 100.000 e corresponde a 15% de todas as leucemias em pacientes adultos. É uma doença que acomete mais comumente adultos, com mediana de idade de 67 anos ao diagnóstico. O número estimado de casos novos de leucemia para o Brasil, para cada ano do triênio de 2026 a 2028, é de 12.220 casos, com risco estimado de 5,71 por 100 mil habitantes. Desse total, são estimados 6.540 casos em homens e 5.680 em mulheres. Esses valores correspondem aos riscos estimados de 6,27 casos novos a cada 100 mil homens e de 5,17 a cada 100 mil mulheres ¹.

A Leucemia Mieloide Crônica (LMC) em Fase Crônica (LMC-FC) apresenta-se com leucocitose (12 a 1.000 x 10⁹ células/L, com mediana de 100 x 10⁹ células/L). Não se observa displasia significativa da medula óssea. Os blastos geralmente estão abaixo de 2% da leucometria global. Observa-se basofilia absoluta e a eosinofilia é comum. Monocitose absoluta pode estar presente, porém com os monócitos abaixo de 3%, exceto nos raros casos associados com BCR::ABL1 p190, em que a LMC pode ser confundida com a leucemia mielomonocítica crônica (em que apenas os monócitos estão envolvidos). A plaquetometria varia entre normal e valores acima de 1.000 células x 10⁹/L. A trombocitopenia não é comum. Ao exame da medula óssea, a celularidade está aumentada devido ao padrão de maturação semelhante ao do sangue periférico, com os blastos, geralmente, abaixo de 5% das células da

medula óssea; se estão em 10% ou mais é um indicativo de progressão da doença. Embora os megacariócitos possam estar normais ou discretamente diminuídos em número, 40% a 50% dos pacientes apresentam moderada a intensa hiperplasia megacariocítica. A biópsia inicial da medula óssea mostra fibrose reticulínica moderada a marcada em aproximadamente 30% dos casos, que é correlacionada com um número aumentado de megacariócitos, aumento do volume do baço e um pior prognóstico. A fase crônica, cujo diagnóstico usualmente é realizado em pacientes não tratados, progride, na ausência de tratamento, para uma fase mais avançada em 3 a 5 anos.¹

Se a LMC-FC permanecer não tratada ou não for controlada com terapias disponíveis, os pacientes progredirão para uma fase intermediária conhecida como fase acelerada (FA), marcada pela presença de células blásticas primitivas na medula óssea e no sangue periférico. A maioria dos pacientes com LMC-FA progride, com o passar do tempo, para uma fase conhecida como crise blástica (CB), um quadro clínico semelhante à leucemia aguda na qual blastos mieloides ou linfoides proliferam de forma descontrolada. Com base na experiência com inibidores da tirosina quinase (ITQs), a melhor abordagem para evitar LMC avançada (LMC-FA/CB) é impedir a progressão e manter os pacientes na fase crônica bem controlada. Um dos objetivos do tratamento da LMC é alcançar a resposta molecular avaliada na Escala Internacional (IS, do inglês International Scale) e expressa como percentual do gene BCR::ABL1 em escala logarítmica, sendo que RM4 e RM4,5 está associado alta taxa de sobrevida global em 8 anos.¹

O cloridrato de asciminibe (Scemblix®) possui registro ativo na ANVISA. É um inibidor potente de tirosina quinase ABL/BCR-ABL1. O asciminibe inibe a atividade da quinase ABL1 da proteína de fusão BCR-ABL1, ao se direcionar especificamente ao bolso de ligação de miristoil ABL. É indicado em bula para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mieloide crônica cromossomo Philadelphia positivo (LMC Ph+) em fase crônica (FC), previamente tratados com dois ou mais inibidores da tirosina quinase (ITQ). A dose de asciminibe preconizada é de 80 mg por dia, podendo ser administrada uma vez ao dia ou

em duas doses de 40 mg em intervalos de 12 horas. Caso o paciente apresente eventos adversos, a dose pode ser reduzida pela metade: em pacientes em uso de 80 mg ao dia, reduz-se a dose para 40 mg; em pacientes em uso de 40 mg ao dia, reduz-se a dose para 20 mg.²

O estudo pivotal ASCEMBL³, que embasou a aprovação pelo FDA americano do asciminibe como 3ª linha de tratamento, comparou asciminibe com bosutinibe em pacientes que falharam com o uso de duas ou mais drogas inibidoras da tirosina-quinase, a taxa de resposta molecular maior (RMM) em 96 semanas foi de 38% (IC 95% 30-46) com asciminibe vs. 16% (IC 95% 8-26) com bosutinibe (P=0,001). Em pacientes com mutação T315I, a taxa de RMM em 96 semanas foi de 49% (IC 95% 34-64). De modo geral, a toxicidade do asciminibe foi controlável e eventos adversos de interesse específico, como trombocitopenia, neutropenia e elevações de enzimas pancreáticas, podem ser atenuados com monitoramento adequado e ajustes de dose.⁴

A CONITEC disponibilizou para consulta pública em junho deste ano a atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Leucemia Mieloide Crônica do Adulto. A recomendação é que seja incorporado ao SUS a 3ª linha terapêutica da LMC-FC a ser ministrada com ponatinibe ou asciminibe ou deve-se considerar o transplante de células-tronco hematopoéticas (TCPH) alogênico, preferencialmente de medula óssea. Sendo estas as opções terapêuticas vigentes até o momento.⁵

A agência do Reino Unido, NICE, recomenda o uso do asciminibe (Scemblix®) para o tratamento de adultos com Leucemia Mieloide Crônica (LMC). O Comitê concluiu que o uso deve se dar apenas após o paciente já ter sido tratado com dois ou mais inibidores de tirosina quinase (ITQs) e não apresentar a Mutação T315I para a qual existem outras estratégias específicas de resgate ⁶.

O quadro clínico descrito no presente auto **não configura urgência** conforme a Resolução CFM nº 1451/1995. No entanto, um elevado tempo de espera para início da terapia com o medicamento proposto pode expor o paciente ao risco de complicações.⁷

IV – CONCLUSÃO:

Considerando o caso concreto do presente auto, trata-se de paciente de 37 anos, portadora de Leucemia Mielóide Crônica refratária ao tratamento prévio com 2 inibidores de tirosina quinase diferentes;

Considerando que o medicamento asciminibe possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado, conforme relato médico;

Considerando que existem evidências científicas confiáveis que sustentam a indicação do tratamento proposto com asciminibe para o quadro clínico descrito com eficácia e segurança aceitáveis;

Considerando que a agência inglesa recomenda o asciminibe como a 3ª linha terapêutica da leucemia mieloide crônica (LMC) em fase crônica;

Considerando que apesar de ainda estar em consulta pública, há um parecer favorável para a recomendação pela CONITEC para o uso da medicação prescrita no SUS para casos como o do presente auto;

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

V – REFERÊNCIAS:

- 1) CONITEC. **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Leucemia Mieloide Crônica do Adulto**. Brasília-DF. 2020. https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2020/pcdt_leucemiamieloidecronicadulto_cp_02_2020.pdf/@@display-file/file
- 2) ANVISA. <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/scemblix-r-cloridrato-de-asciminibe-novo-registro>
- 3) Réa D, Mauro MJ, Boquimpani C, Minami Y, Lomaia E, Voloshin S, Turkina A, Kim DW, Apperley JF, Abdo A, Fogliatto LM, Kim DDH, le Coutre P, Saussele S, Annunziata M, Hughes TP, Chaudhri N, Sasaki K, Chee L, García-Gutiérrez V, Cortes JE, Aimone P, Allepuz A, Quenet S, Bédoucha V, Hochhaus A. **A phase 3, open-label, randomized study of asciminib, a STAMP inhibitor, vs bosutinib in CML after 2 or more prior TKIs**. Blood. 2021 Nov 25;138(21):2031-2041. doi: 10.1182/blood.2020009984. PMID:

34407542; PMCID: PMC9728405.

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC9728405/#cesec70>

4) Pamuk GE, Chow ECY, Ionan AC, Chen H, Lee SL, Hsu V, Grimstein M, Zheng N, Sun J, Charlab R, Gehrke BJ, Vallejo J, Ehrlich LA, de Claro RA, Theoret MR. **FDA Approval Summary: Asciminib for Ph+ CML in Chronic Phase Treated with Two or More Tyrosine Kinase Inhibitors and for the T315I Mutation.** Clin Cancer Res. 2024 Oct 1;30(19):4266-4271. doi: 10.1158/1078-0432.CCR-24-1086. PMID: 39088257; PMCID: PMC11444873.

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11444873/#S13>

5) CONITEC. <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2026/relatorio-preliminar-pcdt-lmc-cp-55.pdf/@@display-file/file>

6) NICE. <https://www.nice.org.uk/guidance/ta813/chapter/1-Recommendations>

7) CFM.

https://sistemas.cfm.org.br/normas/arquivos/resolucoes/BR/1995/1451_1995.pdf

VI – DATA:

17/07/2026

NATJUS – TJMG