

Contribuições da Consulta Pública - Formulário ATS - Larotrectinibe pacientes pediátricos tumores sólidos localmente avançados ou metastáticos positivos NTRK - Conitec

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Relatos de pais de paciente que recebeu o medicamento e a melhora foi simplesmente maravilhosa , E esse medicamento é a nossa esperança de vida para os meninos com Duchenne.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, GANHO IMPRESCINDÍVEL AOS PACIENTES PEDIÁTRICOS COM TUMORES CEREBRAIS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: LAROTRECTINIBE, Positivo e facilidades: PACIENTE PORTADOR DE GLIOMA DE SISTEMA NERVOSO CENTRAL, COM MUTAÇÃO DE NTRK, COM PROGRESSÃO DE DOENÇA CARACTERIZANDO REFRAETRIEDADE AO ESQUEMA CONVENCIONAL DE QUIMIOTERAPIA, INICIOU LAROTRECTINIBE POR MEIOS DE DOAÇÃO E EXAUSTIVA CAMPANHA DA FAMÍLIA, E APRESENTOU RESPOSTA SURPREENDENTE JÁ AO 1º CICLO . , Negativo e dificuldades: DIFICULDADE NO ACESSO À MEDICAÇÃO, PELO CUSTO, E ATRASO NO INÍCIO DA TERAPIA.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: QUIMIOTERAPIA CONVENCIONAL, Positivo: ACESSO MAIS FÁCIL, Negativo: REFRAETRIEDADE NOS CASOS DOSPACIENTES COM NTRK POSITIVO	4ª - NAO	5ª - NAO
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O larotrectinibe já tem segurança e benefício comprovados nos pacientes com fusões NTRK. A incorporação desta medicação é imprescindível para melhorar o desfecho dos pacientes brasileiros elegíveis ao uso. Por tratar-se de cenário restrito (casos localmente avançados ou metastáticos, com comprovação da fusão molecular), o uso seria selecionado para poucos casos, o que não teria impacto financeiro limitante ao SUS, já o impacto para a sobrevida dos pacientes, além de qualidade de vida, seria enorme. Os pacientes oncológicos pediátricos tratados no SUS merecem ter acesso às terapias disponíveis comprovadamente efetivas para que tenham as mesmas chances de cura que os pacientes da saúde suplementar ou de países desenvolvidos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Temos evidências robustas e suficientes para justificar a incorporação, seja sob o ponto de vista científico, humano ou de farmacoeconomia. Além disso, diferentemente do que frequentemente se observa nos tratamentos de precisão voltados ao público adulto, estamos tratando aqui de um grupo muito pequeno de crianças elegíveis, com peso corporal inferior ao dos adultos — o que também reduz significativamente o custo total do tratamento por paciente., ,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Minha experiência com o produto se deu por meio da minha atual posição como Coordenador do Comitê Brasileiro de Medicina de Precisão da Sociedade Brasileira de Oncologia Pediátrica (SOBOPE). Como coordenador desse grupo, que trata especificamente de terapias de precisão, como é o caso da medicação em questão, temos discutido frequentemente, em nossos tumor boards, a excelente resposta observada em pacientes com tumores cerebrais, sarcomas e neuroblastoma, portadores de neoplasias NTRK-fusionadas, refratárias e progressivas, que não responderam às terapias padrão de quimioterapia e radioterapia., Nas discussões desses casos entre especialistas e em molecular tumor boards, ficou evidente a resposta clínica obtida na grande maioria dos pacientes tratados com larotrectinibe nesse contexto. Após 30 anos de atuação na oncologia, passei a testemunhar casos de pacientes que certamente evoluiriam a óbito com a doença, apresentarem remissão completa com o uso da medicação., Para buscarmos evidências científicas que sustentassem esses achados clínicos que vínhamos observando, nosso grupo publicou uma série de casos brasileiros tratados com larotrectinibe (17 casos pediátricos) na revista JCO Precision Oncology. Nossos dados recapitulam, em cenário de vida real, as excelentes taxas de resposta e remissão observadas nos estudos pivotais., Como oncologista pediátrico e professor Universitário, tendo à disposição uma medicação de eficácia comprovada, considerando o número reduzido de casos elegíveis por ano no Brasil e o elevado custo das múltiplas linhas de tratamento convencional (quimioterapia, radioterapia, cirurgias e internações em UTI, transfusões, atbs, antifúgicos) frequentemente com desfecho desfavorável, sou absolutamente favorável à incorporação da droga. A meu ver, os dados atuais, oriundos de estudos tipo basket e de fases 1 e 2, já que se trata de uma condição tão rara que inviabiliza estudos fase 3 ,oferecem suporte claro e consistente para essa incorporação., Negativo e dificuldades: Os eventos adversos observados foram discretos, quase sempre 1 ou 2, que não levaram a necessidade de suspensão da droga ou mudança de terapia	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: As respostas clínicas ao tratamento de sarcomas, gliomas cerebrais malignos e neuroblastomas avançados e refratários ao tratamento convencional são bastante limitadas. Essas terapias envolvem alta morbidade, incluindo quimioterapia citotóxica, radioterapia e transplantes autólogos de medula óssea. As cirurgias de ressecção completa, especialmente nos casos de sarcomas e tumores cerebrais, podem ser mutilantes tanto do ponto de vista funcional quanto estético., , As complicações do tratamento padrão — como internações prolongadas para controle de infecções, transfusões de hemocomponentes, diárias em unidades de terapia intensiva, além do absenteísmo escolar da criança e laboral dos pais — são bastante frequentes., , Mas, sobretudo, a ausência de boa resposta aos tratamentos convencionais e o maior risco de óbito ou de sequelas tardias representam um dos aspectos mais difíceis na condução desses casos, especialmente quando sabemos da existência de terapias-alvo com inibidores de NTRK, que oferecem desfechos mais favoráveis e com menos efeitos adversos agudos., Positivo: Rápida resposta quando do início da terapia, menor necessidade de internação para tratamento de complicacoes, uso de medicamento oral, sem necessidade de cateter e de picar a criança, sem efeitos de quimioterapia como vômitos, febre e queda da imunidade, , Negativo: a dificuldade de se manter o uso da medicação, quando é comprada pela saúde suplementar ou pelos proórprios familiares	4ª - não	5ª - não
Paciente 10/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Desejo muito emagrecer e ter saúde	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Nao	5ª - Nao

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Como oncologista pediátrica me defronto com crianças pequenas com tumores cerebrais de alto grau (como Gliomas de alto grau e fibrossarcomas) que tem a fusão NTRK. Sabemos que a quimioterapia convencional pode não permitir a cura dessas crianças. Eventualmente submetemos crianças a cirurgias devastadoras como amputação de membros (como no caso do fibrossarcoma) porque não dispomos dessa medicação no SUS e sabemos que quimioterapia não é capaz eventualmente de reverter a doença. Lactentes com gliomas de alto grau tem tumores volumosos, as vezes ocupando mais da metade do crânio, onde a cirurgia para ressecção total é impossível, o que já diminui sua sobrevivência. A existência de uma medicação alvo pode ser uma esperança para crianças com tumores tão agressivos em fase tão precoce das suas vidas.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: A quimioterapia convencional consegue atingir um controle da doença, porém eventualmente não consegue curar. Tumores que não são passíveis de serem operados devido a alta morbidade ou por provocar desfiguração acabam não sendo curados., Negativo: A quimioterapia convencional tem uma série de efeitos colaterais bem conhecidos, como mielossupressão, náusea e vômitos, infertilidade etc. Em certos tumores com a fusão NTRK elas não são capazes de reverter a doença.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essencial para o tratamento	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Nelgora clínica em pacientes refratários, Negativo e dificuldades: Não identifiquei	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 11/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim, como paciente, Qual: Bupropiona ansitec fluoxetina , Positivo e facilidades: Pouca ajuda , Negativo e dificuldades: Muita ansiedade, compulsão alimentar, busca por carboidratos.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 12/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pode ser a única chance de cura para esses pacientes	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Acompanhei , não como médica responsável mas em discussões, o sucesso de uma criança com sarcoma em uso da droga, Negativo e dificuldades: A criança teve muito sucesso no tratamento, porém temos dificuldade em testar os candidatos a droga e no avesso a mesma	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional que para a maioria dos casos metastáticos ou recidivados não é suficiente , Positivo: Acima, Negativo: Falha de resposta	4ª - Não	5ª - Não

I

|

|

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Poder oferecer esse medicamento para outras crianças	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Com o larotrectinibe, Positivo e facilidades: Meu nome é Lucélia , sou oncologista pediátrica no hospital da criança de Brasília, estou tratando uma criança de 2 anos com larotrectinibe Como droga alvo para nefroma mesoblastico, essa medicação salvou a criança da morte , estávamos sem opções terapêuticas e a criança em Franca progressão tumoral , assim que descobrimos que o menor tinha o marcador que o medicamento faria efeito , iniciamos , criança teve excelente resposta . Essa droga fará diferença na oncologia pediátrica , , Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os resultados são muito superiores ao tto convencional	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que do ponto de vista econômico não trará grande impacto, uma vez que o medicamento será indicado para uma parcela mínima da população pediátrica que possui esse alvo terapêutico.,	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional., Positivo: Pode haver resposta em algumas doenças, mas em casos refratários ter o larotrectinibe como possibilidade pode realmente ser crucial para a sobrevida de crianças com tumores NTRK fusionados., Negativo: Toxicidade da quimioterapia convencional: mieloablação, mucosite, infecções.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 13/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Mais do que o valor de um medicamento, esta o valor da vida de uma criança!, Será utilizado para casos raros com NTRK positivo	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Paciente com sarcoma indiferenciado intracardiaco em recém-nascido, irrissecável, sem resposta a 2 ciclos de quimioterapia convencional, com identificação de NTRK, iniciou com larotrectinibe com redução do tumor para metade do tamanho após 1 mês e manutenção da redução progressiva nos meses seguintes., Não teve efeito colateral nenhum que possa ser classificado com grau maior que 2, Negativo e dificuldades: Demora para conseguir a medicação judicialmente e o valor alto do custo para a família conseguir manter	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia com baixa resposta e piora do paciente levando ao óbito, Positivo: Resposta parcial não sustentada da quimioterapia convencional, Negativo: Baixa resposta além do efeito colateral de grau elevado da quimioterapia convencional	4ª - Não	5ª - Não
Paciente 15/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pra que todos tenham acesso a mais uma opção de tratamento	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento que proporciona chances de cura pata tumores raros e de difícil tratamento, ampliando as possibilidades de cura com menos efeito adverso.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Excelente resposta ao tratamento tumor raro que apresentava baixa resposta com quimioterapia convencional., Negativo e dificuldades: Não tive resultados negativos.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: Pobre resposta ao tratamento, Negativo: Reações adversas da quimioterapia, imunossupressão, neutropenia febril	4ª - Não	5ª - não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 16/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia tradicional , Positivo: Disponibilidade no SUS (coberto pela APAC), Negativo: Aumento da toxicidade (tais como toxicidade hematológica, nefrotoxicidade, Cardio toxicidade) com consequente aumento de intercorrências clínicas.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicamento menos tóxico com melhor resposta do que a quimioterapia convencional.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Remissão da doença, cura da doença, melhor qualidade de vida aos pacientes. , Negativo e dificuldades: Não tive	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional , Positivo: Remissão da doença , Negativo: Muita toxicidade, mortalidade relacionada ao tratamento, recidiva da doença.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicação que pode mudar o curso evolutivo de doença	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, São tumores malignos de difícil tratamento e cura, a possibilidade de uso de uma droga alvo modifica o curso natural da doença, previne mortes e melhora a qualidade de vida dos pacientes	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Sem complicações, amplo respaldo científico de publicações internacionais, Negativo e dificuldades: Ausente	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Produto para o tratamento de câncer pediátrico em pacientes que apresentam uma mutação genética específica. São pouquíssimos pacientes potenciais, para os poucos que apresentam a mutação o produto é muda completamente o curso da doença para melhor. Me parece o tipo de tecnologia que não irá onerar substancialmente o sistema público, mas pode representar a esperança de vida para algumas crianças. Me parece uma questão de humanidade antes de qualquer coisa.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Larotrectinibe é um medicamento de precisão para pacientes com tumores sólidos positivos para fusão de gene NTRK (incluindo pacientes pediátricos), apresentando baixa toxicidade (baixa incidência de eventos colaterais sérios). Este medicamento com certeza poderá beneficiar muitos pacientes pediátricos que tem este tipo de câncer mas não tem condições financeiras de arcar com o tratamento.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinib, Positivo e facilidades: Pacientes tiveram ótimos resultado com tratamento com Larotrectinibe, Negativo e dificuldades: Não há	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 17/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo medicamento para tratamento de tumores em pacientes pediátricos deve ser incorporado ao SUS para ampliar o acesso a todos os Brasileiros.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Positivos, Negativo e dificuldades: Dificuldade no acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Deve ser incorporado pela importância e qualidade do medicamento, na intenção de salvar mais vidas!	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Droga eficaz em doença sem possibilidade terapêutica	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: larotrectinib, Positivo e facilidades: resposta ao uso com remissão de doença de paciente, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Outras terapias sem resposta clínica, Positivo: nenhuma, Negativo: toxicidade hematológica	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 18/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O encontro de fusão NTRK(+) e raro, mas o tratamento apresenta resposta diferenciada , profunda e duradoura	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: LAROTRECTINIBE, Positivo e facilidades: TRATAMENTO CE CARCINOMA EPIDERMÓIDE DE CABEÇA E PESCOÇO EM PACIENTE JOVEM , DE 21 ANOS , RESISTENTE A 2 LINHAS DE PLATINANTE , E QUE APRESENTOU FUSÃO DO GENE NTRK., Negativo e dificuldades: DIFICULDADES PARA A REALIZAÇÃO DO TESTE NTRK + , DIFICULDADE PARA ACESSO AO TRATAMENTO , TEMPO DE DEMORA PARA O RESULTADO DO TESTE DE FUSÃO NTRK	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: CISPLATINA , CARBOPLATINA , Positivo: EXCELENTE RESPOSTA COMO DROGA ALVO ESPECÍFICA , Negativo: CUSTO DA MEDICAÇÃO . MEDICAÇÃO NAO TEM APAC PARA TRATAMENTO NO SERVIÇO PÚBLICO	4ª - não	5ª - não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação é extremamente eficaz e segura, É indicada apenas aqueles casos com fusões ntrk, portanto representa uma pequena parcela dos tumores pediátricos, modifica o prognóstico da doença para o paciente e não impacta negativamente e financeiramente o SUS.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinib , Positivo e facilidades: Paciente com metástase pulmonar de nefroma mesoblastico, inoperavel. O uso do medicamento permitiu a remissão total da doença., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: Nenhum, Negativo: Efeitos adversos tais como neutropenia febril e carditotoxicidade, além de nenhuma resposta a terapia	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 19/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Crianças com tumores que possuem a fusão, teria chance de cura, e não precisariam ser submetidas a quimioterapias com toxicidade e chance de complicações graves e óbito, assim como a cirurgias mutilantes e nem sempre obtém ressecção completa.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Resposta excelente com resolução da neoplasia, sem morbidade ao paciente , Negativo e dificuldades: Preço o que inviabiliza o uso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterápico, radioterapia e cirurgias que mutilantes o paciente , Positivo: A cirurgia combinada com a quimioterapia para tentar curar., Negativo: Baixa resposta a quimioterapia, cirurgias que mutilam e recorrência da doença	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A medicação larotrectinibe é efetiva para tumores com fusão de NTRK positiva, de fácil tolerância e com poucos efeitos adversos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: larotrectinibe, Positivo e facilidades: redução tumoral completa, Negativo e dificuldades: nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: quimioterapia convencional , Positivo: resposta tumoral , Negativo: internações mais frequentes e prolongadas por efeitos adversos da quimioterapia	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Terapia alvo consegue resultados melhores com menor toxicidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Excelente terapia alvo pra câncer pediátrico., Negativo e dificuldades: Nenhum	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: Redução do tumor , Negativo: Muita toxicidade e pior resultado na redução do tumor em relação ao larotrectinibe	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, -	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Quimioterápicos convencionais , Positivo: Pouca resposta , Negativo: Pouca resposta e progressão de doença	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em casos selecionados, onde há obvio benefício do seu uso (comprovado molecularmente), estou convencida que o benefício para todos o sistema de saúde é evidente. Mesmo em se tratando de uma medicação de alto custo, serão pouquíssimos pacientes com indicação, mas serão os pacientes que também demandarão do sistema de saúde um alto custo devido a todas as complicações já expostas. Portanto, o benefício não se trata apenas de menor sofrimento ao paciente, mas redução de uma demanda ao serviço de saúde como um todo e ainda, manter os pais da criança como cidadãos economicamente ativos pois poderão continuar trabalhando e produzindo de volta para a sociedade.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: A experiencia foi com uma paciente minha de 2 anos com sarcoma não rabdomiossarcoma intracraniano. Ao diagnóstico ela vinha muito emagrecida e com muitos vômitos por causa do tumor. Como era um tumor inoperável devido a localização, ela iniciou quimioterapia com ifosfamida e doxorubicina. Foram meses difíceis, chegou a receber 3-4 ciclos sempre apresentando muitos efeitos colaterais inclusive infecciosas devido a periodos longos de neutropenia. Não conseguia sair do hospital, davamos alta e voltava em seguida por intercorrências. Foi então que recebemos o resultado do NTRK positivo e pedimos Larotrectinibe. Demorou a receber o remédio devido a burocracias com o convênio, mas após o seu inicio a criança nunca mais internou! Trata-se de uma medicação oral, que ela recebe no conforto da sua casa sem necessidade de viajar para grandes centros, sem interromper atividades escolares, sem os pais precisarem parar de trabalhar para poder acompanhar seu filho em internações. A doença da paciente em questão respondeu bem ao uso da medicação com redução do tumor, ela ganhou peso, parou de vomitar. A paciente que é do interior da Bahia, vem agora em consultas mensais, voltando a suas atividade habituais, escola e família. Esse caso ainda é mais marcante para mim pois ao longo do seu tratamento seu pai também adoeceu e acabou falecendo com carcinoma renal. Não consigo imaginar a dor dessa mãe de ter que cuidar e perder o marido no meio do tratamento oncológico da sua filha. A preocupação do pai no seu leito de morte era justo com o acesso da sua filha ao medicamento, já que eles perderiam o convênio após seu falecimento. Ele resistiu arduamente por meses, sem duvida nenhuma, por causa da sua filha, para que ela tivesse a chance que ele não teve de sobreviver a um cancer., Negativo e dificuldades: A maior dificuldade sem dúvida nenhuma é quanto ao acesso ao medicamento. Mesmo com planos de saúde, muitos medicamentos novos ainda nao estão no rol dos planos para acesso e isso acaba dificultando a disponibilidade da droga para o paciente. A criança não teve efeitos colaterais que eu possa me lembrar.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: quimioterapia como ifosfamida e doxorubicina, em outros casos tive a experiencia da radioterapia, que para essa criança não pensamos devido a grandes efeitos colaterais devido a idade., Positivo: Neste caso específico, não vi muitos benefícios da quimioterapia, mas eventualmente em alguns casos já redução do volume tumoral na tentativa de torná-lo passível de ressecção cirurgica por exemplo, Negativo: Os efeitos colaterais da quimioterapia são inúmeros, com péssima qualidade de vida: vomitos, diarreia, neutropenia febril e eventuais sepses, mucosites para citar alguns deles. É preciso passar cateter de longa permanencia o que gera muitos outros problemas (ida a centro cirurgico, risco de infecções e outras intercorrencias). Eventualemtne essas intercorrencias podem ser graves a ponto de necessitar suporte de UTI. Enfim, o custo hospitalar é alto e precisa ser considerado, sem falar o sofrimento do paciente e família.	4ª - Acredito que tenham acesso a toda a literatura científica que respalde o uso do larotrectinibe baseado em evidências.	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicação com eficácia e segurança. Reduz intercorrências e internações. Libera leito de hospital pra quem realmente precisa.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Pcte com resposta a medicação sem nenhuma intercorrência clínica e nenhuma internação., Negativo e dificuldades: Dificuldade em conseguir a medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia conveniconal, Positivo: Alguns pctes respondem a quimioterapia convencional., Negativo: Baixa taxa de resposta em segunda linha, toxicidade alta, muitos dias de internação com várias passagens em uti.	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Necessidade de terapias alternativas para pacientes pediátricos com câncer refratários a terapia com quimioterápicos	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterápicos, Positivo: Cura da doença , Negativo: Toxicidade	4ª - No momento nao	5ª - No momento nao
Organização da Sociedade Civil 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo medicamento novo que venha para melhorar o tratamento de alguma doença e aumentar a chances de cura dos pacientes, devem ser incorporados ao tratamento.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É um medicamento necessário a crianças em tratamento de câncer, assim sendo deve ser fornecido pelo SUS, pelo fato de grande parte da população não poder comprar o mesmo	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, "Sou mãe de uma criança com câncer, e por isto convivo com muitas ""Oncomães"" que me contam a felicidade de terem usado esta medicação nos casos de crianças com fusão do gene NTRK, e o quanto o tratamento foi eficaz e sem toxicidade. E é como farmcêutica que venho trazer minha visão técnica, de como este tipo de terapias alvo, onde o tratamento pode ser feito de forma oral, sem o desconforto de perfurações e o gasto de materiais de uso endovenoso, deve ser visto como o futuro da terapia oncológica. Como profissional de instituição privada, que lida com orçamentos restritos, tenho a certeza que se vocês colocarem na ponta do lápis o custo deste medicamento versus todo o gasto de possíveis intercorrências por: infecções, flebites e até mesmo trombozes que podem levar a internações por causas secundárias, além dos custos de materiais, pessoal e leitos, para realização de infusão endovenosa, certamente será evidenciado um gasto financeiro atrativo, bem como, qualidade de vida dos pacientes pediátricos que o farão no conforto de seus lares, e isto não tem preço. Infelizmente para o tipo de câncer de minha filha, ainda não se tem a sorte de uma medicação assim, e é como oncomãe que venho pedir um olhar humano dos avaliadores técnicos, pois está nas mãos de vocês fazer com que crianças, que tem uma vida inteira pela frente, possam ter acesso no privado e no público, a esta bênção da farmacologia, que já demonstrou sua eficácia e sua segurança ao longo dos últimos anos, evidenciado por relatórios médicos compartilhado com vocês. Que Deus ilumine o raciocínio de vocês, e abençoe suas vidas. "	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é extremamente eficaz, com um tempo de atuação rápido. Os pacientes que apresentam dor relacionada à localização do tumor, apresentam melhora rápida do sintoma, proporcionando assim ótima qualidade de vida. Consequentemente melhoram os hábitos alimentares, evitando assim os efeitos indesejáveis da subnutrição. Crianças em idade escolar podem retornar às suas atividades escolares à medida em que apresentam melhora do seu quadro clínico.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Ótima resposta com o tratamento realizado, sem efeitos colaterais e com um efeito de atuação bastante rápido. O paciente apresentava dor de forte intensidade relacionada ao tumor e apresentou melhora importante do sintoma logo no início do tratamento. , Negativo e dificuldades: Dificuldade grande relacionada ao altíssimo custo do medicamento e não disponível pelo sus	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Procedimento cirúrgico , Positivo: Nenhum resultado, pois não houve melhora do quadro clínico do paciente, Negativo: Procedimento foi cirúrgico e não foi possível realizar a ressecção completa da lesão, sendo que houve progressão da doença rapidamente, associado ao atraso em propiciar outra modalidade de tratamento a qual não estava disponível pelo sus	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Passar por uma situação de saúde como o Câncer é devastador, eu mesmo já passei pela situação 2 vezes felizmente tive a sorte de descobrir cedo e tive a oportunidade de retirar o tumor maligno. Mas temos casos onde precisamos apostar nos medicamentos e gostaria de ter a sorte de ter a possibilidade de uma droga alvo à disposição., Como é de uso oral, isto faz com que a criança/paciente não precise ir à ambiente hospitalar, nem ficar levando agulhadas periodicamente. E que drogas alvo, como o próprio nome diz, por irem direto à raiz do problema (são atraídas pelas células com mutação) são bem mais eficazes e com efeitos colaterais mínimos.	2ª - Sim, como paciente, Qual: Retirada de tumor maligno , Positivo e facilidades: Reemissão , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Gostaria de ter acesso a medicação para tratamento de câncer, uso oral sem a necessidade de hospital e agulhas	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho um pessoa (criança) muito próxima passando por um tratamento de câncer e vejo a importância de ter uma droga alvo à disposição., Também o fato de ser uma droga de uso oral, fazendo com que a criança não precise ir ao ambiente hospitalar e não tome picadas a todo momento, isso se torna ainda mais relevante., por ser droga-alvo, vão direto à raiz do problema, sendo mais eficazes e com efeitos colaterais bem menores.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - não	5ª - não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: Melhora significativa no tratamento, Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As crianças têm o direito de receber o melhor tratamento pelo SUS, afinal de contas é direito do cidadão o acesso pleno à saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhorar tratamento de crianças com câncer	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Sorafenibe , Positivo: Contensão da doença , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 20/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Vitrakvi, Positivo e facilidades: Alta eficácia independente do tipo de tumor, taxas elevadas de resposta, uso em pacientes pediátricos e adultos, via oral, evita cirurgias, Negativo e dificuldades: Custo elevado, dificuldade de acesso, burocracia regulatória	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tratando-se de tumores raros em crianças que ainda tem décadas de expectativa de vida, seu uso torna-se absolutamente custo-efetivo.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: LAROTRECTINIBE, Positivo e facilidades: Crianças com tumores que tem fusão do gene NTRK e não respondem à quimioterapia, nem à radioterapia, nem são passíveis de ressecção cirurgica, podem ser curados com Larotrectinibe., Negativo e dificuldades: O unico resultado negativo é a falta de acesso à pesquisa da alteração molecular específica e à medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Como oncopediatra temos muita experiência com esquemas de quimioterapia e radioterapia, mas estes rarissimos tumores pediátricos nao respondem nem à radioterapia, nem à quimioterapia, apenas à inibição molecular do gene NTRK com larotrectinibe., Positivo: Nenhum resultado positivo com outras estratégias terapêuticas., Negativo: Nenhuma experiência negativa com larotrectinibe.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A decisão é do médico.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Filha tratando um tumor sólido no protocolo do neuroblastoma, buscando terapias-alvo, Positivo e facilidades: Tratando no particular, não tenho dificuldade em achar as medicações que minha filha precisa. Gostaria que todas as crianças brasileiras tivessem a mesma facilidade., Negativo e dificuldades: Acompanho mães que tratam pelo SUS e não conseguem medicações a tempo. Os médicos que sabem a melhor medicação para cada criança.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Protocolo nacional para neuroblastoma, Positivo: Minha filha está em remissão , Negativo: Não tenho resultados negativos pois eu tenho acesso ao que for necessário, o que não é a realidade do país todo.	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

5

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 21/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tenho parente próximo passando por tratamento de câncer e gostaria de ter a felicidade de ter a possibilidade de uma droga alvo a disposição. Na minha experiência, trats-se de uma criança que teria muitos benefícios com o tratamento oral, pois não seria necessária a presença no hospital.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 22/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinib , Positivo e facilidades: Remissão da doença , Negativo e dificuldades: Dificuldade para conseguir a medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Este medicamento faz muita diferença para a cura da criança com câncer que apresente esta mutação NTRK.Toda criança merece viver mais e melhor .	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O tratamento contra o câncer vem evoluindo muito nos últimos anos, mas infelizmente muitos cidadão não possuem acesso aos medicamentos. Como cidadã brasileira, profissional de saúde e filha de paciente oncológico, sou favorável à incorporação do medicamento no SUS.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a experiência que acumulamos com medicação alvo e avaliando os artigos para o uso desse tratamento acredito que a razão custo/ benefícios é clara no que diz respeito ao benefício de uso e modificador a de desfecho clínico.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia, inibidores de proteinoquinasas, anticorpos monoclonais, Positivo: O uso de medicamentos ditos medicamentos -alvo,em um grande número de situação foi determinante de cura ou controle de doença por longo prazo com poucos efeitos colaterais , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Percebemos ótima resposta ao medicamento em casos clínicos apresentados em que a opção terapêutica convencional já não surtia efeito aumentando a qualidade de vida e sobrevida do paciente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Crianças e adolescentes com tumores malignos sólidos com alterações de fusão no gene NTRK, com excelente resposta , Negativo e dificuldades: Acesso tanto ao painel genético mas especialmente a medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 23/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Para casos de tumores sólidos avançados ou recidivados, que apresentem a mutação NTRK, a melhora com a medicação larotrectinibe é significativa	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Ácido arsênico , Positivo e facilidades: Melhora significativa no tratamento de LMA M3, Negativo e dificuldades: Dificuldade dos serviços de padronização da medicação	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Poderá contribuir para melhor a resultados na sobrevida dos pacientes portadores de fusões NTRK	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Estabilidade da doença de base e melhor Ana qualidade de vida do paciente, Negativo e dificuldades: Necessidade de uso prolongado e dificuldade de acesso a droga	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pacientes com tumores localmente avançados ou metastáticos com positividade para o gene NTRK tiveram redução do volume tumoral, redução ou eliminação de metástases, melhora da qualidade de vida e aumento do tempo de sobrevida.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Redução do volume tumoral, controle do crescimento neoplásico, eliminação de metástases, melhora da qualidade de vida dos pacientes e aumento do tempo de sobrevida dos pacientes., Negativo e dificuldades: O único aspecto negativo consta na dificuldade de continuação da medicação por longos períodos devido ao seu difícil acesso, dado o seu elevado custo e indisponibilidade no SUS.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por ser um medicamento de boa tolerabilidade, poucos efeitos colaterais, há inúmeros benefícios em comparação com quimio e radioterapia convencionais, principalmente na faixa etária pediátrica. Há menor número de internações e menor efeitos na qualidade de vida do paciente.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Medicação com poucos efeitos colaterais, boa tolerabilidade, foi usada em um paciente de 1 ano e 4 meses com fibrossarcoma infantil de coxa com redução de 98% da lesão, possibilitando posterior ressecção. Foi realizado o teste molecular, com positividade para o NTRK. Devido ao uso do larotrectinibe, o paciente não necessitou de quimioterapia de altas doses nem radioterapia, minimizando efeitos colaterais e efeitos tardios prejudiciais sabidamente conhecidos com tais tratamentos. , Negativo e dificuldades: O paciente apresentou hepatotoxicidade, mas foi resolvida com a suspensão temporária da medicação.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Penso que quanto mais tecnologias disponíveis no SUS, mais pessoas poderão ter mais acesso a tratamentos de ponta, com impacto positivo na qualidade de vida dos pacientes e seus familiares, sem contar com o propósito do governo em promover mais saúde.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ressalto, a partir do descrito da paciente em questão e a partir de dados de literatura, o benefício do uso agnóstico da medicação, mesmo em doenças com baixa ocorrência de fusão de TRK. É importante ainda observar o benefício econômico, que deve ser avaliado a partir da análise dos custos de cada intervenção, e não apenas pela comparação de quimioterapia convencional com terapia alvo. O impacto econômico a longo prazo também deve ser levado em conta ao reduzir o uso de múltiplas linhas de tratamento (+ internações, suporte intensivo, cirurgias complexas) e a capacidade de gerar economia indireta por melhorar a sobrevida e reduzir complicações. Larotrectinibe tem relevância no cenário nacional e internacional (vide publicações anexas). Existem também evidências robustas sobre a descontinuação eletiva do tratamento em pacientes selecionados (vide artigo anexo). A incorporação de larotrectinibe pelo SUS democratiza o acesso a terapias-alvo modernas e preenche uma lacuna terapêutica para crianças com câncer raro e agressivo, reduzindo a desigualdade entre pacientes de sistemas público e privado.,	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: LAROTRECTINIBE, Positivo e facilidades: Tive a oportunidade de evidenciar os benefícios do medicamento ao tratarmos uma paciente com diagnóstico de neuroblastoma refratário. Após exposição à quimioterapia convencional, a paciente mantinha sinais de progressão tumoral. Optou-se por avaliação do material da biópsia tumoral pelo programa OneTrack-Bayer, para avaliação de fusões gênicas. A paciente mostrou-se positiva para fusão de TRK. Diante da agressividade do tumor, dos sinais de quimioresistência e do conhecimento do benefício de larotrectinibe para pacientes com fusão de TRK, independente da histologia, iniciou-se tratamento com larotrectinibe 100mg/m2/dose, 2x ao dia. A paciente manteve-se sem necessidade de cateter de longa permanência, sem internações por intercorrências ou suporte transfusional, permitindo também que seus pais mantivessem suas rotinas de trabalho. A utilização de larotrectinibe permitiu a realização de ressecção do tumor residual que mostrou-se, à análise anátomo-patológica, diferenciado em ganglioneuroma. A paciente segue em remissão após suspensão da medicação, sem sinais de atividade da doença e com qualidade de vida (Lansky de 100).,, Negativo e dificuldades: a não disponibilidade para pacientes em tratamento pelo SUS.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: protocolos de quimioterapia convencional, Positivo: resposta variável da doença à protocolos convencionais de quimioterapia, Negativo: toxicidades hematológicas, necessidade de cateter venoso central, risco infeccioso com neutropenia febril e quadros infecciosos de maior gravidade, morte por infecção, morte por progressão, necessidade de cuidados em tempo integral para suporte ao paciente pediátrico imunossuprimido 2ario à quimioterapia.	4ª - sim, conforme descrito acima e artigos anexos	5ª - sim, conforme citado anteriormente, há benefício econômico com a utilização de larotrectinibe, que deve ser avaliado a partir da análise dos custos de cada intervenção e não apenas pela comparação de quimioterapia convencional com terapia alvo. O impacto econômico a longo prazo também deve ser levado em conta ao reduzir o uso de múltiplas linhas de tratamento (+ internações, suporte intensivo, cirurgias complexas) e a capacidade de gerar economia indireta por melhorar a sobrevida, reduzir complicações, manter os pais em condição se seguir com suas funções no mercado de trabalho e aumentar as chances de tornar o paciente tratado com larotrectinibe um cidadão economicamente ativo.
Interessado no tema 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: , Positivo e facilidades: , Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não



Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 24/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É uma medicacao modificadora do curso da doença., São raros os casos em que ha essa fusão genica específica. Emtretanto, quando presente, é o larotrectinibe que da a possibilidade de cura ou estabilidade do paciente, com manutenção da vida e da qualidade de vida. Medicamento muito bem tolerado.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe em paciente com tumor sólido com fusão NTRK, Positivo e facilidades: "Pacientes com quadros incuráveis com quimioterapia convencional, apresentam resposta satisfatoria e sustentada com larotrectinibe - transforma o câncer em uma doença ""cronica"" , permitindo ao paciente manter-se vivo, em suas atividades habituais, com qualidade de evitar. Poucos efeitos colaterais.", Negativo e dificuldades: A maior dificuldade é a disponibilidade da medicacao., Sua aplicação e manejo nao apresentam maiores empecilhos.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional , Positivo: Em muitos pacientes a quimioterapia convencional leva a uma resposta parcial da doença, com recidiva ou progressão após. Nesses casos, em geral ha resistência à 2a linha de quimioterapia, com muitos efeitos colaterais, e sem benefício- nesses casos em geral paciente evolui a óbito., Outra parcela dos pacientes nao tem resposta nem ao primeiro tratamento com quimioterapia, sendo a terapia alvo única possibilidade terapêutica., Negativo: Muitos efeitos colaterais (vômitos, insuficiência renal, perda de audição, infecções graves), Uma parcela dos pacientes com refratariedade ao tratamento quimioterapico convencional.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Relatos de casos e artigos científicos com ótimas respostas quando indicado adequadamente	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ter a formulação como xarope e comprimido favorece o uso da medicação na pediatria transformando positivamente a vida de crianças que teriam sua sentença de morte ao diagnóstico.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: A medicação evitou cirurgia mutiladora, quimioterapia em alta dose, internações recorrentes, progressão ou recidiva da doença, proporcionando uma vida semelhante à de uma criança sem câncer., Negativo e dificuldades: Dificuldade em obter recurso financeiro para subsidiar a medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterápicos. , Positivo: Aumenta dias de vida, entretanto sem qualidade e com alta Morbidade. , Negativo: Internações recorrentes por infecção oportunista pós quimioterapia, recidiva da doença e óbito.	4ª - Tive a oportunidade de acompanhar um paciente lactante com fibrossarcoma juvenil tratado com xarope de larotrectinibe. Vi o tumor reduzir de tamanho, evitando cirurgia mutiladora, diversos cursos de quimioterapia com efeitos colaterais importantes e deletérios para o desenvolvimento e crescimento da criança. Felizmente, a criança segue com doença controlada vivendo uma vida semelhante à de uma criança sendo doença oncológica.	5ª - Não
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 25/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 26/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 26/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acesso à saúde a todos os pacientes	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 26/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Quando o paciente tem as fusões N-TRK, é muito provável que tenha uma neoplasia refratária à quimioterapia ou que recidive essa doença precocemente e com prognóstico reservado. O larotrectinibe, como terapia alvo, mostrou-se efetivo, seguro, com poucos efeitos colaterais e, em muitos casos, a última opção terapêutica, e que veio a se tornar muito resolutive.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Redução ou até desaparecimento de neoplasias refratárias a outros tratamentos, como quimioterapia e radioterapia, Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso pelo alto custo do medicamento e, portanto, atraso ou impossibilidade de iniciar o tratamento.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterápicos (vários), Positivo: Quando o paciente responde ao tratamento, redução ou desaparecimento do tumor., Negativo: Muitos efeitos colaterais: vômitos, desnutrição, infecções, crises convulsivo, até óbito. Além de algumas neoplasias serem refratárias.	4ª - Não	5ª - Calculem o valor que gastamos com um paciente recaído e refratário de diversas neoplasias, usando quimioterapias com diversos efeitos colaterais, principalmente infecções, com necessidade de internações prolongadas, muitas vezes em UTI, uso de antifúngicos, ou até mesmo sequelas irreversíveis com pacientes acamados que começam a necessitar de homecare. Larotrectinibe permite tratamento ambulatorial, raríssimos efeitos colaterais graus 3 ou 4 que poderiam levar a uma internação, além de boa resposta, reduzindo o custo total do paciente no sistema.
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sim, os pacientes que apresentam essa mutação tem respostas muito significativas a medicação larotractinibe	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Laritrectinibe para pacientes que apresentam a mutação NTRAK, Positivo e facilidades: Os pacientes se beneficiam da medicação , Negativo e dificuldades: Não vi	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterápicos , Positivo: Resposta variável, porém medicações necessárias também , Negativo: Náuseas, perda de cabelo	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Todo paciente precisa ter acesso aos melhores medicamentos	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Como enfermeira , Positivo e facilidades: Mudança total do avanço da doença , Negativo e dificuldades: Alguns efeitos adversos leves	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Com todos que tratam esse perfil de pacientes , Positivo: Redução de carga tumoral, Negativo: Muitas reações adversas	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O acesso igualitário à saúde é um direito garantido pela Constituição, e negar tratamentos eficazes por causa do alto custo pode aprofundar desigualdades. Apesar disso, é preciso que o SUS adote critérios técnicos rigorosos e negocie preços com os laboratórios, garantindo que os recursos sejam usados com responsabilidade. Assim, é possível unir justiça social e sustentabilidade do sistema.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Pode salvar a vida de uma criança.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Gostaria de manifestar meu apoio à incorporação do larotrectinibe no SUS para pacientes pediátricos com tumores sólidos localmente avançados ou metastáticos positivos para fusão do gene NTRK., Trata-se de uma população extremamente rara, com alternativas terapêuticas limitadas e prognóstico geralmente reservado. O larotrectinibe representa um avanço significativo, pois é uma terapia-alvo com perfil de eficácia robusto e tolerabilidade adequada para uso pediátrico. Evidências clínicas demonstram taxas de resposta objetivas elevadas, com duração de resposta prolongada., Do ponto de vista de saúde pública, ainda que se trate de um grupo pequeno de pacientes, a incorporação pode gerar impacto positivo desproporcionalmente alto em termos de qualidade de vida, sobrevida e redução de intervenções mutilantes. assim acredito que a incorporação do larotrectinibe é eticamente justificável e clinicamente necessária., , ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - n/a	5ª - n/a

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Acredito que a medicação deve ser incorporada ao SUS mas com indicações bem definidas para que seu uso nao seja banalizado. Acredito que a Sociedade Brasileira de Oncopediatria juntamente com grupo de especialistas devem escrever esse documento em conjunto com Ministério da Saude.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: LAROTRECTINIBE, Positivo e facilidades: foi observado remissão da doença e ganho de qualidade de vida nos pacientes em que tive a oportunidade de participar das discussões clínicas sobre uso da medicação. Principalmente em tumores sólidos do SNC., Negativo e dificuldades: alto custo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: Alguns casos com remissão completa da doença!, Negativo: Doenças refratarias ou recidivadas apresentam desfecho pior. Se temos alteração molecular com alvo acionável o uso destas medicações são justificadas	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Pacientes com fusão com boa resposta, aumentando sobrevida , Negativo e dificuldades: Acesso a medicação, judicializacao	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É importante o acesso à todos ao tratamento indicado. Quando bem indicado, a resposta terapêutica evita cirurgias multilantes, outras comorbidades associadas às complicações.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta clinica quando bem indicad, Negativo e dificuldades: Alto custo , falta de disponibilidade no sus , falta de acesso ao estudo molecular para que seja bem indicado o tratamento	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: Facilidade de aceso entretanto pobre resposta ao tratamento , Negativo: Toxicidade , falta de resposta	4ª - Nao	5ª - Nao
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Opcao terapeutica que beneficia pacientes	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Irinotecano, vincristina, temozolamida, Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, impossível não ter essa opção para casos com NTRK positivo, está claro o beneficio e a economia para o SUS também, reduzindo internação para quimioterapia, reduzindo efeitos colaterais e internações pelos menos, reduzindo gastos com reabilitação de pacientes amputados, como no caso do meu paciente	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, que ajudou a curar uma paciente de 8 meses que teria que amputar a perna devido a um Fibrossarcoma Infantil, mas que com a medciação pode preservar o membro e retomar sua vida basicamente como se nao tivesse a doença., Positivo e facilidades: Larotrectinibe, que ajudou a curar uma paciente de 8 meses que teria que amputar a perna devido a um Fibrossarcoma Infantil, mas que com a medciação pode preservar o membro e retomar sua vida basicamente como se nao tivesse a doença., Negativo e dificuldades: Demora na liberação, a família teve que entrar na justiça.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: quimioterapia com drogas já liberadas pela SUS, que não fizeram efeito significativo no tumor da paciente, Positivo: mínimo, Negativo: não evoluiu para remissão da doença	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais
Profissional de saúde 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Terapia alvo no cenário de doenças de difícil controle com as opções atuais de tratamento e que apresentam toxicidade importante com alta morbidade.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia de alta doses, Positivo: Resposta inicial no controle da neoplasia, entretanto no médio prazo apresenta progressão de doença., Negativo: Intercorrências clínicas infecciosas, necessidade transfusional devido ao tratamento quimioterápico de altas doses	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 27/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Paciente portador de Glioma de alto grau sem resposta a quimioterapia convencional, evoluiu com redução significativa da lesão após Larotrectinibe, com remissão de sintomas neurológicos e possibilidade de ressecção posterior! Apresentou menos internações que pacientes com mesmo diagnóstico sem acesso a medicação! Melhora substancial de sobrevida e qualidade de vida , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso pela indisponibilidade no SUS e necessidade de judicialização	3ª - Sim, como paciente, Qual: Temozolamida, Vincristina, carboplatina, etoposido, lomustina , Positivo: Que a medicação, como na literatura apresenta alta resposta em pacientes com glioma de alto grau com NTRK positivo! , Negativo: As medicações foram ineficazes para os pacientes no médio prazo	4ª - "1. Altíssima eficácia em tumores com fusão NTRK, • Taxa de resposta global de 77% em tumores que apresentam fusão NTRK, com duração de resposta mediana de 59 meses e sobrevida livre de progressão (PFS) de 61 meses, conforme estudo com 101 pacientes (faixa etária 0–90 anos), dados atualizados até julho/2023. • Em ensaios pediátricos de fase I/II, observou-se TRO de 75%, incluindo 22% de respostas completas, mesmo entre pacientes fortemente pré-tratados. • Perfil de segurança favorável, • Efeitos adversos majoritariamente grau 1-2, com apenas 18% grau 3-4 e 2% interrompendo tratamento por toxicidade. • Comparado aos regimes oncológicos tradicionais (quimioterapia/radioterapia), larotrectinibe é bem tolerado, melhora qualidade de vida e reduz internações por efeitos colaterais. • 2. Terapia alvo de uso agnóstico e rara necessidade terapêutica, • É um inibidor altamente seletivo da TRK, primeira terapia com indicação baseada na alteração genômica (fusão NTRK), independente do local primário do tumor. • Apesar da fusão NTRK ser rara, o larotrectinibe tem impacto dramático e duradouro nos pacientes elegíveis. • 3. Necessidade pediátrica específica, • Consulta Pública foca em pacientes pediátricos — uma população com solicitação terapêutica urgente e limitada. • Doses pediátricas adaptadas, com evidência robusta, tornam o	5ª - "• Ao evitar hospitalizações, efeitos tóxicos severos e tratamentos paliativos, larotrectinibe pode gerar economia indireta significativa no longo prazo., • A elevada eficácia deve diminuir a progressão tumoral e prorrogar a sobrevida de forma mais sustentável."

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Paciente que acompanhei com quadro de fibrossarcoma infantil primário de região plantar com desenvolvimento de metástase cerebral. Foi submetida a procedimento neurocirúrgico, passagem de derivação ventriculoperitoneal, porém tumor cerebral irressecavel. Paciente ficou em estado comatoso. Família conseguiu acesso ao larotrectinibe (tumor fusão NTRK) e, em uma semana de uso na UTI, paciente abriu os olhos, iniciou comunicação. Em menos de um mês, a criança estava andando novamente, ativa, com redução importante do tumor. Pode voltar para a cidade de origem no Mato Grosso do Sul e acompanhar o tratamento utilizando tratamento via oral, conseguindo controle do tumor, qualidade de vida, acompanhamento social, familiar e escolar. Foi algo indescritível, Negativo e dificuldades: Aumento do apetite com tendência a obesidade. Porém contornável com medidas dietéticas. Assim como puberdade precoce, mas contornável com acompanhamento endocrinológico e inibidores	3ª - Não	acesso ainda mais essencial nesse grupo." 4ª - Paciente que acompanhei com quadro de fibrossarcoma infantil primário de região plantar com desenvolvimento de metástase cerebral. Foi submetida a procedimento neurocirúrgico, passagem de derivação ventriculoperitoneal, porém tumor cerebral irressecavel. Paciente ficou em estado comatoso. Família conseguiu acesso ao larotrectinibe (tumor fusão NTRK) e, em uma semana de uso na UTI, paciente abriu os olhos, iniciou comunicação. Em menos de um mês, a criança estava andando novamente, ativa, com redução importante do tumor. Pode voltar para a cidade de origem no Mato Grosso do Sul e acompanhar o tratamento utilizando tratamento via oral, conseguindo controle do tumor, qualidade de vida, acompanhamento social, familiar e escolar. Foi algo indescritível	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Latotrectinib é uma droga alvo oral, que tem mostrado evidências científicas robustas para crianças com tumores que apresentam a fusão track, em tumores irressecáveis com pouca resposta à quimioterapia convencional.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinib, Positivo e facilidades: Redução importante do tumor, com medicação oral, boa tolerância do paciente. Tumor tornou-se ressecável. Paciente havia sido tratado anteriormente com quimioterapia e apesar de vários efeitos colaterais não obteve resposta com a quimioterapia. , Negativo e dificuldades: Dificuldade para conseguir a medicação, principalmente no SUS	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia: VCR, Actinomicina D, Ciclofosfamida, Positivo: Mínima resposta tumoral, Negativo: Muita toxicidade. Neuropatia, neutropenia febril, infecção	4ª - Não	5ª - Medicação oral, com resultados robustos e pouca toxicidade. Reduz custos com internação hospitalar, administração venosa e com antibióticos e complicações em decorrência do tratamento quimioterápico.
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Excelente resposta em paciente com fusão ntrk que era considerado fora de possibilidades de cura , Negativo e dificuldades: Custo e acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia padrão , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Trata-se de uma medicação que muda a história natural de doenças sabidamente refratárias aos tratamentos disponíveis.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta clínica impressionante em lactente com neoplasia fusocelular extensa em cabeça., Resposta clínica impressionante em escolar com tumor de bainha de nervo periférico. , , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso devido ao custo da medicação.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Radioterapia. , Positivo: Resposta clínica frustra e não sustentada. , Negativo: Toxicidades relacionadas a radioterapia.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do medicamento como tratamento para pacientes elegíveis mudará o prognóstico e oferecerá perspectiva de cura e sobrevida com qualidade de vida, em casos que sem o medicamento tem desfecho desfavorável.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: O inibidor de NTRAK mudou a evolução e história natural de neoplasias oncológicas como tumores de tronco cerebral e nefroma mesoblastico congênito que aparentam a mutação no NTRK. Neoplasias que anteriormente eram consideradas intratáveis passaram a apresentar resposta importante com grande benefício com ganho de sobrevida e de qualidade de vida em população pediátrica., Negativo e dificuldades: Acompanho um caso de nefroma mesoblastico congênito metastático e recidivado. Houve regressão expressiva da lesão com possibilidade de ressecção cirúrgica. Paciente com boa tolerância ao medicamento sem efeitos colaterais.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Fibrossarcoma juvenil, Positivo e facilidades: Excelente resposta clínica, Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Com a medicação, conseguiremos dar uma melhor qualidade de vida e melhorar o prognóstico de casos elegíveis para a medicação	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: Nos casos mais agressivos, a doença fica em remissão por um curto período e quando recidiva, dificilmente conseguimos controlá-la, Negativo: Progressão da doença e maior morbidade	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 28/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Remédio possui ação alvo contra tumores de difícil tratamento muitas vezes levando a resposta duradoura.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

1

1

1

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O larotrectinibe representa uma mudança de paradigma na oncologia pediátrica personalizada. Quando bem indicado, evita mutilações, reduz toxicidades, melhora a sobrevida e transforma o prognóstico de doenças antes incuráveis. O custo financeiro é alto, mas o custo humano da omissão pode ser ainda maior., Recomendo fortemente que a CONITEC reconsidere sua posição inicial, dialogando com especialistas, sociedades médicas e famílias. A incorporação pode ser feita com critérios clínicos bem estabelecidos, monitoramento de resultados e uso racional da testagem, garantindo equidade sem comprometer a sustentabilidade do sistema.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Cirurgia, quimioterapia e radioterapia, Positivo: O resultado positivo desejável em oncologia pediátrica é curar o paciente com menor morbidade possível. Na minha experiência tive casos de cura, porém com morbidades: amputações, disfunção de membros, déficits motores ou cognitivos. E quando do uso de quimioterapia: toxicidades medulares e infecciosas agudas, que expuseram os pacientes a risco de morte. Embora não tenha tido óbito por toxicidade nos pacientes que tratei. , Negativo: Morbidades: amputações, disfunção de membros, déficits motores ou cognitivos, dentre outros. E quando do uso de radioterapia: aumento de chance de desenvolvimento de neoplasia subsequente. Óbitos por doença por falha de tratamento disponível.	4ª - Como oncologista pediátrico, acompanho de perto os avanços no tratamento de tumores com fusão do gene NTRK, especialmente em crianças e adolescentes com doenças refratárias. A raridade dessa alteração não diminui sua relevância: sua identificação abre possibilidade de resposta significativa a uma medicação direcionada, eficaz e muito menos tóxica que os esquemas convencionais., Apesar das incertezas apontadas pela CONITEC, a recomendação desfavorável ignora aspectos fundamentais da prática clínica e da equidade no SUS. Em doenças ultra-raras, a ausência de ensaios fase III não significa ausência de benefício. As evidências observacionais com larotrectinibe mostram taxas de resposta superiores a 70%, muitas vezes com regressão completa e duradoura, incluindo em sarcomas, gliomas e carcinomas raros. Os eventos adversos são geralmente leves, com impacto positivo direto na qualidade de vida – aspecto crucial em pediatria., A CONITEC já considerou níveis mais flexíveis de evidência em outras doenças raras, como em linfomas e distrofias musculares. O mesmo raciocínio deve ser aplicado aqui., Quanto ao custo, é essencial considerar que pacientes com tumores refratários enfrentam múltiplas linhas de quimioterapia tóxica, mutilações e hospitalizações prolongadas. A sobrevida e qualidade de vida com larotrectinibe são superiores quando há indicação clara. A	5ª - -

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				avaliação econômica clássica não pode ser usada isoladamente para negar acesso em doenças raras. A OMS e a ISPOR defendem abordagens mais amplas nesses casos., Por fim, a dificuldade na testagem molecular não deve penalizar quem já teve a fusão confirmada por métodos adequados, como o NGS. A negativa atual impõe um paradoxo: o diagnóstico é feito, mas o tratamento é negado. O SUS pode estruturar progressivamente o acesso à testagem, priorizando tumores com maior frequência de fusão, como sarcomas infantis e gliomas de baixo grau., Negar o acesso ao larotrectinibe mesmo com o biomarcador presente, é eticamente indefensável.	
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Baseado em opinião de profissionais da área, que são a favor.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A incorporação do larotrectinibe ao SUS pode representar um avanço significativo no tratamento de tumores do sistema nervoso central em crianças com a fusão genética NTRK. É nosso papel, como sociedade, defender o acesso equitativo a tratamentos inovadores e eficazes, garantindo que todas as crianças tenham a oportunidade de receber o melhor cuidado possível.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Menos efeitos colaterais, Negativo e dificuldades:	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional , Positivo: Fácil acesso , Negativo: Resposta ineficaz	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Está medicação está indicado para casos bem restritos onde há refratariedade e alteração genética compativeil	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinib , Positivo e facilidades: Paciente refratário a doença com melhora importante após uso da medicacao, Negativo e dificuldades: Medicamento novo.Houve necessidade de treinamento da equipe	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Refratariedade, Positivo: Resposta parcial inicial, Negativo: Falta de resposta duradoura	4ª - Sim	5ª - Nao

1

2

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tendo em vista o alto custo do medicamento, e considerando que o direito à vida é um princípio fundamental, e que infelizmente muitos pacientes com a doença não têm condições de arcar com essa despesa elevada, sou favorável que o Governo forneça tal medicamento, sendo incorporado ao SUS, para atender aos pacientes carentes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não.	5ª - Não.
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Melhora prognóstico e qualidade da	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Loratinibe , Positivo e facilidades: Melhora clínica e imagem , Negativo e dificuldades: Acesso	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Qt, Positivo: Não , Negativo: Toxicidade , progressso	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esta medicação ao ser incorporada, irá trazer grandes benefícios aos nossos pacientes oncológicos pediátricos , pois há demonstração na literatura e em outros estudos sobre a eficácia e melhora na qualidade de vida e sobrevida dos pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Uma possibilidade de aumentar taxas de cura	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrecnibe em paciente com tumor solido, Positivo e facilidades: Resposta excelente em tumores com resistência a quimioterápicos tradicionais, Negativo e dificuldades: Dificuldade para obtenção da medicacao	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterápicos tradicionais, Positivo: Facilidade de acesso, Negativo: Falta de resposta	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tratamento importante que mudará o desfecho dos pacientes. ,	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não.
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, É necessário favorecer os enfermos com essa doença, e que não podem pagar pelo tratamento adequado.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O larotrectinibe representa importante avanço no tratamento dos tumores com fusão Ntrk, com rápida resposta, muito mais rápida que a quimioterapia, baixa toxicidade, melhora qualidade de vida. Representa tratamento de medicina de precisão onde a alteração genética é tratada.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe no tratamento de paciente com fusão Ntrk3 (ETV6-NTRK3.ESN15.CPSF571.1), portador de fibrossarcoma deformante em face, inoperável. Volumoso 6,4 x 6,1 x 7,5 cm. Levava a remodelamento e / ou invasão óssea do zigomático, de parte do esfenóide e do osso temporal esquerdo e se insinua em situação extra axial na fossa média. Acentuado efeito de massa sobre estruturas da órbita ipsilateral com proptose., Positivo e facilidades: O paciente não abria o olho acometido, com um dia de tratamento apresentou abertura ocular no lado acometido e com 7 dias já apresenta redução importante da lesão externamente visível. Resposta rápida, baixa toxicidade, tratamento por via oral, não necessitava de cateter venoso para quimioterapia, desaparecimento da deformidade em curto intervalo de tempo, usou medicação por 24 meses e há mais de dois anos sem recidiva ou progressão, vida normal e sem qualquer deformidade de face. Nunca foi internado durante o tratamento., Negativo e dificuldades: Nenhuma dificuldade, nenhum ponto negativo.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia e cirurgia, Positivo: Acesso rápido ao tratamento por já fazer parte da tabela de procedimentos do SUS., Negativo: Elevada toxicidade relacionada a quimioterapia, necessidade de acesso venoso, múltiplas internações por efeitos colaterais como neutropenia, infecção, alopecia, náuseas e vômitos, piora da qualidade de vida, demora na resposta a terapia, recidiva de doença e óbito.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 29/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Tratamento com bons resultados para casos sem outra opção terapêutica.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Aumento da sobrevida, qualidade de vida e cura de pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Resposta e estabilidade de lesão intra cardíaca (sarcoma intra cardíaco) além de qualidade de vida ao paciente. Uso oral e domiciliar. , Negativo e dificuldades: Neutropenia inicial em hemograma porém resolvida.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Além de ser um medicamento de alta resposta para as indicações a que se propõe, entregando resultados surpreendentes, tem o facilitador das opções de apresentação com formulação em solução que aumenta a adesão de crianças em faixa etária menores.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinib, Positivo e facilidades: Melhora significativa da lesão tumoral, proporcionando retorno da qualidade de vida da criança., Negativo e dificuldades: Não se aplica	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Neoplasias com fusão de NTRK tratam-se de doenças rara e catastrófica, principalmente em infantes (crianças com < 1 ano de vida), mas com ROBUSTA evidência científica evidenciando EXCELENTE resposta clínica e terapia-alvo., Muda a vida da criança., Junto da disponibilização da droga larotrectonibe para o SUS, por se tratar de droga-alvo em contexto de medicina de precisão, para ela funcionar, o DIAGNÓSTICO PRECISA SER PRECISO E ADEQUADO. Para tal, os patologistas devem DISPOR DE MECANISMOS PARA FAZER O DIAGNÓSTICO. Isto é, ter acesso IMUNOHUISTOQUÍMICA PARA NTRK (chamada PANTRK) e TÉCNICAS MOLÉCULARES PARA PESQUISA DE ALTERAÇÃO EM NTRK (NGS principalmente).	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Excelente resposta clínica, mesmo com doença avançada, em paciente com diagnóstico adequado da neoplasia com fusão de NTRK, Negativo e dificuldades: Acessibilidade baixa, pois depende do paciente ter (um bom) convênio de saúde, e mesmo tendo, a burocracia é enorme, e é demorado para conseguir.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Estudos científicos robustos confirmam resultados muito bons com poucos efeitos adversos	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: Resultados parciais, Negativo: Efeitos adversos com quimioterapia e radioterapia a curto e longo prazo	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Minha experiência, foi o uso de larotrectinibe em pacientes com tumores de SNC com diferentes faixas etárias e com excelente resposta, com ganho de qualidade de vida, medicação ambulatorial (paciente vem apenas uma vez ao ambulatório).	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Uso de larotrectinobe em pacientes com tumores de SNC, Positivo e facilidades: Boa aceitação, medicação via oral, baixa taxa de eventos adversos , terapia agnóstica que pode usada para vários tumores com boa resposta clínica e radiológica, com excelente ganho em qualidade de vida ., Negativo e dificuldades: Acesso a medicação, valor da medicação, necessidade de judicialização pois não está disponível no SUS.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Terapia padrão disponível no SUS com esquemas poliquimioterápicos não específicos com alta grau de toxicidade e radioterapia ., Positivo: Poucos resultados positivos com pouco controle da doença , , Negativo: Alta toxicidade, sepse, perda de peso, progressão de doença	4ª - Publicação de um artigo com primeiro paciente com glioma de alto grau de lactente de 10 meses com uso de larotrectinibe.	5ª - Eu consegui a medicação para paciente acima comparando o quanto havia gasto com terapia padrão inespecífica e altamente tóxica com o uso da terapia alvo, e provei que valia a pena a compra da medicação para meu paciente, o valor era 10x menor.,
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: , Positivo: , Negativo:	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Não acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta completa em paciente com tumor positivo para a mutação com a medicação e sem nenhuma toxicidade, Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sabe-se que medicamentos específicos apra alterações genéticas encontradas nos tumoresé o novo braço da oncologia pediátrica. Estudos internacionais demonstram sucesso no tratamneto e controle de patologias com diversas alterações genéticas, como a NTRK. Há anos lutamos como profissionais com quimioterápicos que possuem mais efeitos colaterais/adversos do que benefícios, porém são a única possibilidade terapêutica com algum sucesso.	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Temodal, carboplatina, irinotecan, cirurgico, Positivo: Nenhum, Negativo: Não curam nem controlam as patologias	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Me manifesto nesta consulta pública na condição de profissional de saúde farmacêutica, com atuação em oncologia e acesso a medicamentos. Embora eu não tenha vivenciado diretamente o uso do larotrectinibe em pacientes sob meu cuidado, conheço relato de colegas e analisei atentamente o relatório técnico elaborado por esta Comissão, além de outros dados científicos disponíveis, o que me permite afirmar, com convicção, que esta medicação representa um verdadeiro divisor de águas para crianças diagnosticadas com tumores sólidos avançados ou metastáticos, portadores da fusão do gene NTRK. No geral, existem pouquíssimas opções de tratamento onco pediátricos disponíveis mundialmente, sendo que são cânceres extremamente agressivos e o cenário é ainda pior quando olhamos para o SUS, portanto evidentemente existe necessidade de ampliação do acesso a esses tratamentos, em especial larotrectinibe que é uma terapia alvo, oral e que devolve a possibilidade de vida à essas crianças. Mais do que estatísticas, o que está em jogo aqui são infâncias e famílias diretamente impactados., As crianças com tumores NTRK-positivos enfrentam, muitas vezes, diagnósticos tardios, limitações funcionais severas e, em boa parte dos casos, prognósticos extremamente desafiadores. Ver, dentro dos dados clínicos, que existe uma possibilidade real de reverter esse cenário é algo que não pode ser ignorado. O larotrectinibe devolve não apenas tempo de vida, mas tempo de qualidade, algo fundamental para o desenvolvimento e a dignidade desses pequenos pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: larotrectinibe, Positivo e facilidades: Altíssima taxa de resposta tumoral, superando 80%, o que, na oncologia pediátrica, representa um impacto expressivo na sobrevida e na qualidade de vida,, - Respostas rápidas e sustentadas, que proporcionam alívio dos sintomas, melhora funcional e, em muitos casos, permitem que a criança retome atividades cotidianas como estudar e brincar, , - Facilidade no manejo clínico, considerando o perfil de segurança favorável do medicamento e a via oral, que é menos invasiva e mais prática para o público pediátrico e suas famílias, , - Terapia direcionada, baseada em biomarcadores específicos (fusões do gene NTRK), o que significa maior precisão e menor exposição desnecessária a tratamentos agressivos e com efeitos colaterais severos., , Do ponto de vista da prática clínica e da saúde pública, o larotrectinibe representa uma inovação que facilita o manejo terapêutico, oferece previsibilidade na resposta ao tratamento e reduz a necessidade de intervenções mais complexas e invasivas., Negativo e dificuldades: Falta de acesso e dificuldade de diagnóstico que precisa ser fornecido no SUS	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapias em geral e cirurgias, Positivo: Contribuem com o tratamento , Negativo: Agressividade alta e cirurgias mutilantes que desconfiguram crianças.	4ª - Dados robustos provenientes dos estudos clínicos embasam a indicação do larotrectinibe, - Taxa de resposta objetiva superior a 80% em pacientes pediátricos — um resultado expressivo, raramente observado em oncologia, ainda mais em doenças tão graves e com opções terapêuticas limitadas, , - Perfil de segurança favorável e adequado à população pediátrica, aspecto crítico quando consideramos o impacto a longo prazo das terapias, , - Resultados sustentados de resposta tumoral e qualidade de vida em diversos tipos de tumores, o que demonstra o potencial de atuação transversal da medicação, independentemente do local primário do tumor., Enquanto farmacêutica, sei que avanços como esse, baseados em terapias-alvo com alta especificidade, revolucionam o cenário do câncer, especialmente em subgrupos com necessidades tão urgentes e não atendidas e ainda mais sendo um xarope de uso oral, o que traz total aceitação para as crianças.	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Empresa fabricante da tecnologia avaliada 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, A Bayer entende que a incorporação deste medicamento representa um avanço significativo no tratamento do câncer pediátrico, especialmente considerando a limitação de opções terapêuticas disponíveis para essa população com a fusão NTRK positiva. Muitas crianças ainda enfrentam terapias com resultados mutilantes e impactos negativos sobre sua qualidade de vida e desenvolvimento. O acesso a uma terapia-alvo, com alta eficácia e bom perfil de tolerabilidade, é fundamental para transformar o cenário terapêutico atual. Disponibilizar esta alternativa inovadora marca um progresso importante para a oncologia pediátrica, proporcionando às crianças e suas famílias uma opção terapêutica capaz de modificar o curso da doença e oferecer melhores perspectivas de futuro. O compromisso da Bayer é de levar acesso ao medicamento para esses pacientes pediátricos, com o melhor tratamento para tumores com fusão do gene NTRK. Por isso, a Bayer está à disposição para discutir com o Ministério da Saúde modelos de acesso gerenciados que possam facilitar o acesso de larotrectinibe para estes pacientes, além do compromisso de financiar os testes diagnósticos de acordo com o algoritmo explorado no documento anexado a esta contribuição.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Larotrectinibe é uma terapia-alvo indicada para uma condição ultrarrara, a de tumores avançados/metastáticos que apresentam a fusão do gene NTRK. Devido às limitações inerentes a característica da doença, as evidências clínicas de larotrectinibe fogem dos usuais estudos randomizados de fase 3. Entretanto, existem diversas publicações abordando eficácia e segurança de larotrectinibe em pacientes pediátricos desde 2016. A publicação mais recentes do tratamento de larotrectinibe em pacientes pediátricos foi publicada por Mascarenhas et al. (2025) [https://doi.org/10.1200/JCO.24.00], incluindo 91 pacientes na análise. Este estudo utilizou um protocolo “wait-and-see”, com mediana de tempo de tratamento de 14,7 meses. As taxas de resposta objetiva foram de 94% para fibrossarcoma e 80% para outros tumores, com resposta rápida (mediana de 1,8 meses) e duradoura (mediana de 51 meses). Foram observadas taxas de resposta completa de 45% em fibrossarcoma e 29% em outros tumores. Esses resultados reforçam o potencial de larotrectinibe como alternativa eficaz e bem tolerada para tumores pediátricos com fusão NTRK., Um outro estudo, publicado por Laetsch et al. (2024) [https://doi.org/10.1200/JCO-24-0185] avaliou 33 pacientes pediátricos divididos entre fibrossarcoma infantil e outros tumores sólidos, recebendo larotrectinibe por períodos de 6 a 26 ciclos. As	5ª - A Bayer manteve a proposta de preço de larotrectinibe atualizado pela SOBOPE em sua submissão. O preço foi o mesmo da submissão de 2021 que abrangia uma população maior, incluindo pacientes adultos. A Bayer apenas atualizou a faixa de desconto, que de acordo com o reajuste da CMED em 2025, aumentou de 11,5% para 14,76%. Com isso, a apresentação de 60 cápsulas de 100mg passaria a custar R\$ 42.675,01, enquanto o frasco de solução oral, R\$ 14.224,99., A Bayer se compromete a financiar integralmente os exames necessários para o diagnóstico da fusão do gene NTRK em pacientes pediátricos. O algoritmo de diagnostico segue as recomendações do consenso canadense de testagem e tratamento de pacientes pediátricos NTRK positivos. Todos esses exames serão oferecidos para pacientes com doença em estágio avançado ou metastático, ampliando o acesso ao diagnóstico preciso e ao tratamento adequado., Larotrectinibe está incorporado em 36 países, para população pediátrica e adulta. As principais agências internacionais de ATS reconheceram os benefícios de eficácia e perfil de tolerabilidade da terapia, cada uma com seu rito e decisão apropriada para a realidade de

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				taxas de resposta objetiva foram de 94% para fibrossarcoma e 60% para outros tumores nos primeiros seis ciclos. A sobrevida global em dois anos foi de 93,5% para ambas as coortes. Entre os pacientes que apresentaram progressão após o tratamento, 75% responderam novamente a reexposição ao tratamento.,	larotrectinibe nos seus sistemas de saúde, como o NICE no Reino Unido, CDA-AMC no Canadá, HAS na França, PBAC na Austrália e a CIPM na Espanha.,
Interessado no tema 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não costumo enviar documentos pessoais	5ª - Não costumo enviar documentos pessoais
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Em nosso serviço (Hospital Pequeno Príncipe), tivemos 3 (três) pacientes que fizeram uso da medicação, sendo um ainda durante a fase de estudo clínico, na Espanha. É muito impressionante a resposta destes pacientes: os 3 estão vivos, fora de terapia, até mesmo o único que apresentou resistência posterior e foi realizada radioterapia. Dois destes pacientes foram previamente tratados com quimioterapia por terem tumores irresssecáveis, sem sucesso algum., Apesar do alto custo da medicação, por tratar-se de medicação oral e com baixo índice de efeitos colaterais, deve-se considerar o valor total de ambos os tratamento (p.ex. custo de internações por neutropenia febril, gastos com cirurgia, diárias de UTI, etc), além dos anos de vida trabalhados perdidos para os pacientes que infelizmente falecem sem a medicação.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe 20mg/ml, Positivo e facilidades: Medicação com pouquíssimos efeitos colaterais e extremamente eficiente para pacientes com tumores que apresentam a fusão do gene NTRK identificada na biologia molecular, mesmo em situações de tumores quimiorrefratários., Negativo e dificuldades: Valor de cada frasco muito elevado.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Cirurgia de ressecção (nem sempre possível) e quimioterapia (sem sucesso nos dois pacientes que utilizaram posteriormente a medicação)., Positivo: A cirurgia para ressecção total é, sempre que possível, o método de escolha. Infelizmente, muitos pacientes apresentam tumores de grandes dimensões já ao diagnóstico, impossibilitando esta conduta. No caso de fibrossarcomas, tumores malignos da bainha de mielina e outras neoplasias, estas são sabidamente quimio e radiorresistentes., Negativo: Ausência de resposta, mielossupressão grave, toxicidade renal e hepática, mucosite, risco de segunda neoplasia.	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Larotrectinibe é excelente para o tratamento de pacoentes com tumores solidos localmente avançados ou metastaticos q apresentem fusao do gene ntrk, Medicamento por via oral, auxiliando na desospitalização dos pacientes, com bemeficois clinicos e do ponto de vista de farmacoconomia, inegaveis, Negativo e dificuldades: Nao houve	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considerando a população pediátrica e que tumores com fusão de gene NTRK são tumores raros e sem tratamento disponível, a incorporação dará acesso e possibilidade de tratamento aos pacientes desse nicho, proporcionando possibilidade de aumento de sobrevida e aumento de qualidade de vida.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Possibilidade de tratamento de pacientes com tumores que apresentam fusão do gene NTRK (doença rara) que hoje não têm opção. , Aumento da sobrevida e melhora significativa na qualidade de vida e melhora clínica do paciente., Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Considero fundamental a incorporação do medicamento Larotrectinibe no SUS para pacientes pediátricos com tumores sólidos localmente avançados ou metastáticos com fusão do gene NTRK. Trata-se de uma opção terapêutica inovadora, com perfil de segurança e eficácia já comprovados para esse grupo específico de pacientes, que muitas vezes não têm outras alternativas de tratamento. Garantir o acesso a essa medicação representa um avanço importante na equidade e na qualidade do cuidado oncológico infantil no Brasil.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, As terapias alvo melhoram significativamente taxa de resposta especialmente nos tumores muito.infiltrativos e metastáticos que nao podem ser ressecados e tem poucos efeitos colaterais	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta tumoral satisfatória, Negativo e dificuldades: Única experiencia negativa é o custo da medicacao e envolvimento de processo judicial	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapias convencionais, Positivo: Redução do tumor, Negativo: Muitos efeitos colaterais graves e respostas parciais, com remissoes temporarias	4ª - Não	5ª - Não
Interessado no tema 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Toda criança e ser humano deve ter opções de tratamento, quanto mais opções melhor pra garantir a saúde da população, especialmente a carente.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Esse medicamento é de extrema importância para pacientes que tenham a mutação NTRK, trazendo uma resposta rápida à doença. Por ser uma nova terapia, os efeitos do uso do medicamento são mínimos perto de outros tratamentos como a quimioterapia e radioterapia, proporcionando uma melhor qualidade de vida ao paciente.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Meu filho tem um tumor com mutação NTRK-3, e faz uso contínuo do larotrectinibe. O medicamento proporcionou regressão significativa do tumor rapidamente em poucos meses, e estabilizou a doença. O medicamento salvou a vida do meu filho, e proporciona a ele uma boa qualidade de vida., Negativo e dificuldades: É um medicamento que precisa ficar refrigerado, então o seu condicionamento é de extremo cuidado.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: Nenhum, Negativo: A quimioterapia não resolveu e nem trouxe benefícios. Muito pelo contrário, debilitou a saúde do meu filho. Depois que descobrimos a mutação, nossa salvação foi o larotrectinibe.	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Oferece chance de controle mesmo quando o câncer já se espalhou., , Pode melhorar qualidade de vida ao reduzir sintomas relacionados ao tumor. , Todo paciente tem direito á vida, á melhores tratamentos.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sou oncologista pediátrica e pude acompanhar paciente com tumor de sistema nervoso central - Tumor Glioneuronal Maligno, análogo grau IV da OMS, inoperável - com indicação de larotrectinibe. Este paciente foi submetido a diversos tratamentos quimioterápicos prévios, sem bom controle da doença. Quando teve acesso judicial a medicação, teve excelente resposta, com diminuição significativa do tumor, sem efeitos adversos significativos. Segue clinicamente bem, com bom controle da doença e com excelente qualidade de vida. Este medicamento mudou a história natural deste tumor. Além deste exemplo, sabemos da implicação muito positiva deste medicamento também para pacientes com outros tumores com fusão NTRK e principalmente os fibrossarcomas infantis - evitando cirurgias mutilantes! , Sabemos se tratar de uma medicação de indicação restrita, mas quando bem indicada, modifica a vida (sobrevida) dos pacientes de maneira muito impactante. Todos os nossos pacientes merecem essa chance!!	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Melhora clínica e radiológica significativa no paciente , Negativo e dificuldades: Custo e dificuldade de acesso pela necessidade de judicialização	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia, Positivo: , Negativo: Mais toxicidades, riscos e piores resultados	4ª - 1. A Study to Test the Safety and Efficacy of the Drug Larotrectinib for the Treatment of Tumors With NTRK-fusion in Children (SCOUT). ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02637687. https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT02637687 . , 2. Canadian Consensus for Biomarker Testing and Treatment of TRK Fusion Cancer in Adults. D. Gwyn Bebb, Shantanu Banerji, Normand Blais et al. Curr. Oncol. 2021, 28, 523-548, doi:10.3390/curroncol28010053. , 3. NTRK Fusions in Central Nervous System Tumors: A Rare, but Worthy Target. Alessandro Gambella, Rebecca Senetta, Giammarco Collelli et al. Int. J. Mol. Sci. 2020, 21, 753, doi:10.3390/ijms21030753. , 4. Efficacy of Larotrectinib in TRK Fusion & Positive Cancers in Adults and Children. A. Drilon, T.W. Laetsch, S. Kummar. The New England Journal of Medicine. 378, 8. nejm.org February 22, 2018, 731-739 ., 5. NTRK Fusion-Positive Congenital Spinal Glioblastoma treated with Carboplatin, Etoposide, and Larotrectinib. Graham Vallis. Pediatrics March 2021, 147 (3 Meeting Abstract) 874, DOI: https://doi.org/10.1542/peds.147.3_MeetingAbstract.874 ., 6. A newborn with a large NTRK fusion positive infantile fibrosarcoma successfully treated with larotrectinib. Caldwell KJ, Cuesta EDL, Morin C, Pappo A, Helmig S. Pediatr Blood Cancer. 2020, 67:e28330. https://doi.org/10.1002/pbc.28330 . , 7. Larotrectinib efficacy and safety in TRK fusion cancer: An expanded	5ª - Não

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
				clinical dataset showing consistency in an age and tumor agnostic approach. U.N. Lassen, C.M. Albert, S. Kummar et al. Annals of Oncology 29 (Supplement 8): viii133¿viii148, 2018. doi:10.1093/annonc/mdy279. , 8. Larotrectinib for paediatric solid tumours harbouring NTRK gene fusions: phase 1 results from a multicentre, open-label, phase 1/2 study. Theodore W Laetsch, Steven G DuBois, Leo Mascarenhas et al. Lancet Oncol 2018, 19: 705¿14. Published Online March 29, 2018. http://dx.doi.org/10.1016/S1470-2045(18)30119-0 , 9. Larotrectinib in patients with TRK fusion-positive solid tumours: a pooled analysi	
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta parcial, Negativo e dificuldades:	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

I

I

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Organização da Sociedade Civil 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O Oncoguia, em total consonância com a Sociedade Brasileira de Oncologia Pediátrica (SOBOPE), reitera a urgência da inclusão de um tratamento específico para tumores sólidos com fusão positiva de NTRK no Sistema Único de Saúde (SUS). Reforçamos o parecer técnico da SOBOPE, que segue anexo para apreciação., Atualmente, o SUS não possui um protocolo padrão para essa condição. Isso deixa pacientes sem a terapia direcionada, que já é uma realidade na oncologia moderna. A medicina de precisão, focada no perfil molecular da doença, tem revolucionado o tratamento do câncer, proporcionando resultados significativos e impactando diretamente a sobrevida e a qualidade de vida., É imprescindível considerar o profundo impacto dos tumores pediátricos na vida das crianças e de suas famílias. O tratamento de uma criança exige dedicação integral dos responsáveis, afetando a dinâmica familiar, o trabalho e a renda. A incorporação de terapias com altas taxas de resposta, controle da progressão da doença e até regressão tumoral, como o caso da mãe de paciente compartilhado na reunião da Conitec, representa um avanço crucial. Estudos destacados pela SOBOPE corroboram esses dados, evidenciando o impacto positivo na sobrevida livre de progressão e outros desfechos., A eficácia e a segurança desse tratamento são reconhecidas internacionalmente, com aprovação por agências renomadas de avaliação de tecnologias em saúde, como NICE (Reino Unido), CAD-AMC (Canadá) e CIPM (Espanha)., Para que a inclusão desse tratamento seja efetiva, é fundamental garantir o acesso ao teste de identificação da fusão de NTRK. A implementação desse diagnóstico no sistema de saúde é uma etapa indispensável para que os pacientes elegíveis possam se beneficiar plenamente dessa inovação terapêutica., A inclusão deste tratamento no SUS não é apenas uma questão de avanço médico, mas de equidade e garantia de acesso às melhores alternativas terapêuticas para os pacientes brasileiros.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - -	5ª - -

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O larotrectinibe é uma terapia oral, de uso domiciliar, que atua de forma direcionada em, tumores com fusão do gene NTRK, independentemente do tipo ou local de origem do câncer. Estudos demonstram redução significativa no tamanho tumoral e um perfil de segurança favorável, com efeitos colaterais geralmente leves, - o que pode contribuir para a melhoria da, qualidade de vida desses pacientes.	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Melhor tratamento , Negativo e dificuldades: ..	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Os tumores que apresentam fusão gênica envolvendo o NTRK são raros na pediatria. O número de anos de vida salvos nesta faixa etária, a qualidade de vida comparada com sequelas neurológicas e motoras sem o seu uso são fatores que tornam a relação custo-benefício favorável à sua incorporação pelo SUS.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta clínica e de exames de imagem, com melhor qualidade de vida., Negativo e dificuldades: Disponibilidade.	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Vimblastina, Positivo: Resposta parcial transitória., Negativo: Risco clínico associado a neutropenia febril.	4ª - Em 2024, o Comitê de Medicina de Precisão da SOBOPE fez um estudo de vida real, analisando retrospectivamente 17 pacientes que apresentaram fusões envolvendo o NTRK, durante um período de 5,5 anos e meio, ou seja 3 pacientes ao ano. As respostas descritas no artigo são animadoras. Partiram da participação de um grupo de 65 profissionais de saúde interessados em biologia molecular e medicina de precisão. Se considerarmos que o número de pacientes identificados possa aumentar com a liberação do larotrectinibe, o que sempre acontece quando surge uma opção terapêutica atualizada, estimamos que este número ainda assim não deva ultrapassar 15 pacientes por ano.	5ª - A melhora clínica, a diminuição de custos com tratamento de sequelas ortopédicas e/ou neurológicas, a menor dependência do cuidador familiar (pai ou mãe) que muitas vezes tem que abandonar o emprego, contribuindo menos economicamente para a sociedade precisam ser consideradas.
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Sobrevida aumentada e muito boa resposta ao tratamento	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta completa de sarcoma , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: Sem resposta e progressão de doença , Negativo: Toxicidade	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicação com efeito modificador do curso da doença, muito boa resposta, com baixa ou nenhuma toxicidade.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Medicamento fundamental para tratamento e qualidade de vida dos pacientes que têm indicação para seu uso., Modifica significativamente de maneira positiva o curso do tratamento e resposta terapêutica , Negativo e dificuldades: A dificuldade é que nao esta disponível para a grande maioria dos pacientes que são atendidos pelo SUS. Só possível utilização pelos convênios e pacientes particulares. O preço também é uma dificuldade para sua aquisição. Não tive resultados negativos.com os.pacientes.	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O medicamento é de extrema importância, pra salvar vidas e famílias. Não só a vida do paciente, mas da família também. , Meu sobrinho faz uso da medicação, e se adaptou super bem, com resultado excelente. Ele ainda está em tratamento, desde os 3 meses de vida. , Hoje ele já tem 2 anos.	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Medicamento Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Diminuição do tumor intracardiaco do meu sobrinho. Ele nasceu com o tumor. , Negativo e dificuldades: Dificuldade de chegar ao diagnóstico e também a compra da medicação. Além de ser de alto valor.	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Meu sobrinho fez sessões de quimioterapia sem nenhum resultado. , Somente teve redução do tumor com o Larotrectinibe , Positivo: Com outros medicamentos não teve melhora. , Negativo: Deficiência de imunidade, já que a Quimioterapia é muito agressiva e sem resultado positivo	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: Redução da doença, porém não duradoura., Negativo: Toxicidade	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Não	3ª - Não	4ª - Não	5ª - Não

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Ha um perfil de paciente que realmente tera um beneficio imensurável com a incorporação da medicação , resultados oncológicos mais favoráveis com menor risco de efeito colateral. Pacientes adultos e pediátricos com tumores sólidos avançados localmente ou metastaticos com fusão NTRK	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectnibe , Positivo e facilidades: A minha prática clínica com a medicação foi excelente . Prestei assistência a um lactente com fibrossarcoma juvenil em membro inferior , extremamente extenso , acometendo todo membro do lactente . Nesse momento tinhamos duas possíveis condutas - cirurgia extremamente mórbida com risco de perda de membro ou passagem de cateter e quimioterapia convencional semanal com imunossupressão , risco infeccioso elevado , risco de hemotransfusao , trombose pela presença de cateter em lactente . Apos resultado da biopsia tivemos a felicidade de confirmar a fusão NTRK. Com isso , conseguimos liberação de uso do larotrectinibe , com redução da lesão de maneira extremamente significativa , sem efeitos colaterais com excelente tolerância e após redução significativa discutimos ressecção da lesão residual com um resultado funcional e estético excelente , ja que a cirurgia foi extremamente pouco extensa . Realmente um resultado extremamente positivo em diversos aspectos : resultado final, efeitos adversos e tolerância. . , Negativo e dificuldades: Acesso difícil com espera angustiante por parte da equipe medica e familiares	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional - vincristina , actinomicina , ciclofosfamida , doxorubicina , Positivo: Resposta parcial , porem muito defeitos colaterais , Negativo: Efeitos colaterais : neutropenia , infecção , hemotransfusao	4ª - Vince CSC, Brassesco MS, Mançano BM, Gregianin LJ, Carbone EK, do Amaral E Castro A, Dwan VSY, Menezes da Silva RZ, Mariano CS, da Mata JF, Silva MO, Caran EMM, Macedo CD, Alves da Costa G, Esteves TC, Silva LN, Ferman SE, Martins FD, Cristófani LM, Odone-Filho V, Silva MM, Reis RM, Pianovski MAD, Campregher PV, Kunii MS, de Sá Rodrigues KE, Carvalho Filho NP, Valera ET, Brazilian Committee of Precision Medicine in Pediatric Oncology (BC-PMPO)—the Brazilian Society of Pediatric Oncology (SOBOPE). Beyond Clinical Trials: Understanding Neurotrophic Tropomyosin Receptor Kinase Inhibitor Challenges and Efficacy in Real-World Pediatric Oncology. JCO Precis Oncol. 2024 May; 8:e2300713. doi: 10.1200/PO.23.00713. PMID: 38810175, PMCID: PMC11371084.	5ª - Nao tenho conhecimento de estudos farmacoeconomicos para esta medicação mas pela minha experiencia ha inúmeros beneficios : diretos - medicação oral em domicilio , nao ha necessidade de cateter , risco infeccioso e hemotransfusao . indiretos - menor necessidade de absenteismo por parte dos cuidadores uma vez que o tratamento é domiciliar
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Essa medicação faz grande diferença no tratamento, principalmente dos recaídos.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe , Positivo e facilidades: Boa resposta clínica com estabilização do tumor, Negativo e dificuldades: Custo da medicação	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapico de 1º linha , Positivo: Custo benefício , Negativo: Recaída precoce	4ª - Não	5ª - Não
Empresa 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Medicina de precisao é a revolucao para o tratamento do cancer. Medicacoes alvo sao mais efetivas e possuem menos efeitos colaterais	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Melhora na qualidade de vida do paciente, aumento da sobrevida , Negativo e dificuldades: Dificuldade para adquirir a medicação	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional, Positivo: , Negativo: Muitos efeitos colaterais, imunossupressao, sangramentos	4ª - Não	5ª - Não
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Muito positivo , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso	3ª - Sim, como cuidador ou responsável, Qual: Quimioterapia que nao teve resultado como teve o Larotrectinibe em uma semana , Positivo: Além da ótima resposta os efeitos colaterais são menores que uma quimioterapia , Negativo:	4ª - Não enviar documentos pessoais	5ª - Não enviar documentos pessoais

1

2

3

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Resposta efetiva ,duradoura com curabilidade nos tumores com presença de fusão do gene NTRK.Medicacao utilizada vai oral, Negativo e dificuldades: Custo da medicação e indisponibilidade para uso no SUS ,o que dificulta o acesso ao uso da medicação em questão	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia sistêmica convencional, Positivo: Redução efetiva do tumor ,menor toxicidade hematológica e redução de tempo e de internação hospitalar ,melhoria rápida na qualidade de vida do paciente., Negativo: Necessidade de fracionamento de dose a depender da idade ,peso do paciente	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Medicamento Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Utilização da medicação para pacientes com tumor sólido refratário que apresentava NTRK positivo e teve excelente resposta clínica e radiológica ao medicamento, Negativo e dificuldades: Dificuldade em dispor da medicação para o paciente devido ao alto custo e indisponibilidade pelo SUS	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapias convencionais, Positivo: Respostas parciais e temporárias ao tratamento, Negativo: Terapias convencionais frequentemente são insuficientes para o tratamento das crianças e adolescentes com câncer	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, O uso do larotrectinib para tumores sólidos NTRK positivos em crianças já está liberado pelo FDA , com várias publicações mostrando sua eficácia . Além disso, a medicação pode modificar a evolução da doença em casos inoperáveis e sem opções terapêuticas , com menos efeitos adversos , sem necessidade de internações e melhora da qualidade de vida e sobrevida desta população pediátrica .	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Criança com tumor de sistema nervoso central , baixo grau , astrocitoma, Pilocítico, localização ponte , com resposta muito boa após , Negativo e dificuldades: Nenhuma	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia , Positivo: Progressão de doença , Negativo: Progressão	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Há pacientes com diversos cânceres infantojuvenis que têm alteração molecular do NTRK que, às vezes, vão a óbito sem acesso ao Larotrectnibe e que teriam a história natural de sua doença modificada e a sobrevida melhorada com o uso da medicação. Ela deve ser incorporada ao uso no SUS. Trabalho como oncologista pediátrica há 20 anos e testemunhei a descoberta de medicações alvo pode salvar a vida de muitos pacientes.	2ª - , Sim,, como profissional de saúde, Qual: Larotrectnibe para tumores pediátricos com alteração NTRK, Positivo e facilidades: Diminuição tumoral , Negativo e dificuldades: Dificuldade de acesso ao medicamento	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Quimioterapia convencional , Positivo: Resposta parcial , Negativo: Toxicidades relacionada a quimioterapia	4ª - Não	5ª - Não
Profissional de saúde 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Opção terapêutica mais direcionada e mais eficaz	2ª - Não	3ª - Sim, como profissional de saúde, Qual: Tratamentos convencionais para tumores sólidos , Positivo: Alguns pacientes apresentam respostas favoráveis e atingem remissão , Negativo: Intensos efeitos colaterais, podendo levar a óbito, Pacientes sem resposta aos tratamentos com progressão de doença	4ª - -	5ª - -

1

2

3

4

Contribuiu como:	1ª Opinião, comentário:	2ª Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade, outros efeitos:	3ª Outra tecnologia - Experiência, efeitos, facilidade, dificuldade:	4ª Evidências clínicas:	5ª Estudos econômicos:
Familiar, amigo ou cuidador de paciente 30/06/2025	1ª - Eu acho que deve ser incorporado no SUS, Por achar que o SUS deva suprir todas as condições de tratamento das doenças, especialmente quando o uso tem o aval de instituições de referência para a indicação de uso	2ª - Sim,, como cuidador ou responsável, Qual: Larotrectinibe, Positivo e facilidades: Regressão do tumor, Negativo e dificuldades: Controle da imunidade	3ª - Não	4ª - Especificamente há indicações precisas para o uso da medicação no tipo de tumor aoresentado	5ª - Nao

