



# RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

informações sobre recomendações de incorporação  
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

## **ASCIMINIBE**

Para o tratamento de pacientes adultos com Leucemia Mieloide Crônica cromossomo Philadelphia positivo, em fase crônica, previamente tratados com dois ou mais inibidores de tirosina quinase (ITQs)

## **2025 Ministério da Saúde.**

É permitida a reprodução parcial ou total desta obra, desde que citada a fonte e que não seja para venda ou qualquer fim comercial.

A responsabilidade pelos direitos autorais de textos e imagens desta obra é do Ministério da Saúde.

Elaboração, distribuição e informações

## **MINISTÉRIO DA SAÚDE**

Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde – SECTICS

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde – DGITS

Coordenação de Incorporação de Tecnologias – CITEC

Esplanada dos Ministérios, bloco G, Edifício Sede, 8º andar CEP: 70058-900 - Brasília/DF

Tel.: (61) 3315-2848

Site: [gov.br/conitec/pt-br](http://gov.br/conitec/pt-br)

E-mail: [conitec@saude.gov.br](mailto:conitec@saude.gov.br)

### **Elaboração do relatório**

Melina Sampaio de Ramos Barros

Dyana Helena de Souza

### **Revisão técnica**

Andrea Brígida de Souza

Gleyson Navarro Alves

Laura Mendes Ribeiro

Mariana Dartora

### **Layout e diagramação**

Ana Júlia Trovo da Mota

Marina de Paula Tiveron

### **Supervisão**

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

# ASCIMINIBE

Para o tratamento de pacientes adultos com Leucemia Mieloide Crônica cromossomo Philadelphia positivo, em fase crônica, previamente tratados com dois ou mais inibidores de tirosina quinase (ITQs)

## Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 03/04/2025 para o cloridrato de asciminibe (Scemblix®):

Tratamento de pacientes adultos com Leucemia Mieloide Crônica cromossomo Philadelphia positivo, em fase crônica, previamente tratados com dois ou mais inibidores da tirosina quinase.

## Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec\*:

Tratamento de Leucemia Mieloide Crônica cromossomo Philadelphia positivo, em fase crônica, para pacientes adultos previamente tratados com dois ou mais inibidores de tirosina quinase.

## Recomendação inicial da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente a não incorporação do asciminibe para o tratamento de Leucemia Mieloide Crônica.

\*De acordo com o §6º do art. 32 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, o pedido de incorporação de uma tecnologia em saúde deve ter indicação específica. Portanto, a Conitec não analisará todas as hipóteses previstas na bula em um mesmo processo.

## O que é Leucemia Mieloide Crônica?

A Leucemia Mieloide Crônica (LMC) é um tipo de câncer no sangue causado por uma mutação genética que altera o funcionamento das células sanguíneas. A doença caracteriza-se pelo tipo de célula sanguínea acometida, chamada mieloide, e pela velocidade de crescimento dessas células, bem como pela superprodução de glóbulos brancos, que são células de defesa do organismo.

Os sintomas da LMC aparecem conforme sua evolução e incluem anemia, fadiga, mal-estar, infecções, sangramentos, entre outros. A doença é classificada em três fases, a saber:

- 1) Crônica – corresponde à fase inicial, com menos sintomas e com maior probabilidade de controle, ligada a melhores resultados clínicos em comparação às fases seguintes. Apresenta leucocitose, ou seja, um aumento do número de leucócitos (glóbulos brancos) no sangue acima do valor considerado normal.
- 2) Acelerada ou transformação – caracteriza-se pela piora e pela intensidade dos sintomas. É representada pelo aumento persistente de leucócitos e/ou alterações nas plaquetas sem resposta à intervenção terapêutica.

---

3) Blástica ou aguda – comprehende o estágio mais crítico da doença, quando os sintomas ficam mais intensos e podem ocasionar complicações graves por infecções, formação de coágulos ou anemia. Isso ocorre porque a medula óssea perde a capacidade de produzir células sanguíneas saudáveis em quantidade suficiente para o organismo. Nessa fase, a quantidade de blastos (células imaturas) no sangue ou na medula óssea é igual ou superior a 20%, podendo também ocorrer a proliferação de blastos fora da medula (proliferação blástica extramedular).

Estima-se que a LMC representa aproximadamente 15% dos casos de todas as leucemias em adultos. No Brasil, em 2022, houve 11.859 casos de leucemia, sendo a estimativa de 0,56 casos a cada 100 mil habitantes. Ademais, a doença acomete mais homens, considerando a mediana de 67 anos de idade.

## Como os pacientes com Leucemia Mieloide Crônica são tratados no SUS?

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para o tratamento da LMC em adultos do Ministério da Saúde, publicado em 2021, recomenda que a definição da terapia medicamentosa deve considerar a fase da doença, os benefícios, a finalidade do tratamento e o uso prévio de outros medicamentos.

O documento preconiza o tratamento com inibidores de tirosina quinase (ITQs), recomendando, como primeira opção de tratamento, o uso de imatinibe. Na falha ou intolerância a essa terapia, o nilotinibe e o dasatinibe são recomendados para segunda linha.

Recentemente, o Ministério da Saúde incorporou o ponatinibe como terceira opção de linha terapêutica após falha dos ITQs em segunda linha. No entanto, a recomendação ainda não está descrita no PCDT, que está em atualização para preconizar o uso da tecnologia.

A administração de hidroxiureia deve ser considerada para reduzir a quantidade de leucócitos apenas quando o diagnóstico estiver pendente. Além disso, o transplante de medula óssea com células por um doador compatível continua a ser uma alternativa terapêutica com chances de cura, sendo necessária em alguns casos. Para este tratamento, também devem ser analisadas a elegibilidade do paciente e a disponibilidade de doador.

## Medicamento analisado: asciminibe

A empresa Novartis Biociências SA solicitou à Conitec a incorporação, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS), do asciminibe para o tratamento de LMC cromossomo Philadelphia positivo (Ph+), em fase crônica, para pacientes adultos previamente tratados com dois ou mais ITQs.

---

O asciminibe é um ITQ que atua inibindo a atividade da enzima ABL1. Desde 2023 o medicamento possui registro aprovado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) para a mesma indicação proposta para avaliação da Conitec. Trata-se de um medicamento de uso oral, que deve ser ingerido de uma a duas vezes ao dia, sem consumir alimentos por pelo menos duas horas antes e uma hora após sua administração.

Para a análise de evidências clínicas, não foram encontrados estudos comparativos com tecnologias indicadas para a mesma condição de saúde, nem revisões sistemáticas comparando a outros medicamentos. Assim, os dados analisados basearam-se em técnica de comparação indireta, a partir de ensaios clínicos e estudos observacionais avaliados isoladamente. Em comparação ao ponatinibe, o asciminibe apresentou melhor taxa de resposta molecular, ou seja, reduziu mais a quantidade de células ou alterações da doença no sangue e na medula óssea, ao longo de seis a doze meses de tratamento. Já em relação ao nilotinibe e ao desatinibe, o medicamento avaliado demonstrou resposta citogenética maior, ou seja, menos células com expressão do cromossomo Philadélfia, no mesmo período. Vale salientar que o grau de certeza das evidências foi considerado muito baixo, o que significa que os dados disponíveis nos estudos não são muito confiáveis e não garantem que os efeitos observados se mantenham consistentes em diferentes situações.

Na análise econômica, o asciminibe apresentou custo mais elevado em relação aos benefícios adicionais, quando comparado aos demais tratamentos (ponatinibe, desatinibe e nilotinibe). Comparado com o ponatinibe, a relação entre o custo e os benefícios foi de R\$ 109.711 por ano de vida ganho com qualidade. Já comparado com ITQs de segunda geração (nilotinibe e dasatinibe), foi de R\$ 189.999 e R\$ 206.114 por ano de vida ganho com qualidade, respectivamente. Caso a tecnologia fosse incorporada ao SUS, o impacto orçamentário seria de R\$ 7,21 milhões no acumulado de cinco anos.

## **Perspectiva do Paciente**

A Chamada Pública nº 52/2025 esteve aberta durante o período de 28/5/2025 a 6/6/2025 e recebeu 14 inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de sorteio realizado em plataforma digital com transmissão em tempo real e com gravação enviada posteriormente para todos os inscritos.

O representante titular da Perspectiva do Paciente, de 31 anos, é natural de Manaus/AM e reside atualmente em Quebec, no Canadá. Antes de iniciar o relato, declarou vínculo com a indústria fabricante da tecnologia, responsável por disponibilizar o medicamento e custear parte de seu tratamento.

Diagnosticado com a doença em 2021, iniciou tratamento com imatinibe, que causou eventos

---

adversos intensos, como dores musculares, fraqueza e náusea, e não alcançou a resposta molecular esperada. Após um ano, suspendeu o uso e passou a utilizar dasatinibe, mas os eventos adversos persistiram e surgiram novos, como baixos níveis de fósforo no sangue. Desse modo, interrompeu também o dasatinibe e iniciou o uso do nilotinibe, que reduziu parcialmente os eventos adversos e apresentou melhor resposta molecular, mas ainda insuficiente.

Sem indicação para o uso de ponatinibe, no final de 2022 foi informado sobre o lançamento do asciminibe no Canadá e iniciou o tratamento com o medicamento. Desde então, relatou melhora significativa na resposta ao tratamento e na qualidade de vida. Os eventos adversos anteriores desapareceram e, atualmente, sente apenas náusea matinal.

O representante mencionou o desejo de retornar ao Brasil, mas afirmou sentir-se inseguro diante da realidade de pacientes com LMC no país, que enfrentam a interrupção do fornecimento de medicamentos e não têm acesso ao asciminibe. Como integrante de associação de pacientes, destacou que muitos continuam o tratamento com imatinibe, dasatinibe ou nilotinibe, mesmo apresentando eventos adversos relevantes, devido à ausência de alternativas terapêuticas.

O vídeo da 144<sup>a</sup> Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

## Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, de asciminibe para o tratamento de Leucemia Mieloide Crônica (LMC). Esse tema foi discutido durante a 144<sup>a</sup> Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 3, 4 e 5 de setembro de 2025. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou a necessidade de receber mais dados acerca da eficácia e da efetividade da tecnologia para posicionar-se sobre a melhor linha de tratamento, bem como de uma proposta de equiparação de preços com os outros medicamentos disponíveis no protocolo terapêutico. Ademais, o Comitê solicitou uma melhor explicação sobre a proposta comercial recebida pela empresa fabricante e sobre a análise de impacto orçamentário.

Dessa forma, entende-se que as contribuições recebidas durante a consulta pública poderão ajudar a compreender melhor os seguintes aspectos:

- Utilizou algum medicamento antes do tratamento com asciminibe? Se sim, qual?
- Quais fatores motivaram a substituição dos tratamentos anteriores até a adoção do asciminibe?
- Foram observadas melhorias nos índices de resposta molecular?
- Qual é a previsão estimada de duração do tratamento com asciminibe?

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 86, durante 20 dias, no período de 23/10/2025

---

---

a 11/11/2025, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Clique [aqui](#) para enviar sua contribuição.

O relatório técnico completo de recomendação da Conitec está disponível [aqui](#).