

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

VENETOCLAX EM COMBINAÇÃO COM AZACITIDINA
para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mieloide aguda recém-diagnosticada
e ineligível à quimioterapia intensiva

2026 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 em Saúde – SCTIE

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

E-mail: conitec@saude.gov.br

Elaboração do relatório

Marina Kuebler Silva

Luiza Nogueira Losco

Nayra Thamires Alves Ramos

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Layout e diagramação

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

VENETOCLAX EM COMBINAÇÃO COM AZACITIDINA

para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mielóide aguda recém-diagnosticada e inelegível à quimioterapia intensiva

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 16/01/2026 para o venetoclax (VENCLEXTA®):

É indicado para o tratamento de:

- Leucemia Linfocítica Crônica (LLC) em pacientes adultos.
- Em combinação com agentes hipometilantes, azacitidina ou decitabina, ou em combinação com citarabina em baixa dose, é indicado para pacientes recém-diagnosticados com Leucemia Mieloide Aguda (LMA) e que são inelegíveis para quimioterapia intensiva, a critério do médico.
- Em combinação com ibrutinibe para o tratamento de pacientes adultos com linfoma de células do manto (LCM) que receberam pelo menos uma terapia anterior.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de pacientes adultos recém-diagnosticados com LMA e inelegíveis à quimioterapia intensiva.

Recomendação final da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou, por unanimidade, a incorporação do venetoclax em combinação com azacitidina para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mielóide aguda recém-diagnosticada e inelegível à quimioterapia intensiva, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

Decisão final:

PORTARIA SCTIE/MS Nº 30, DE 12 DE JUNHO DE 2026: Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o venetoclax em combinação com azacitidina para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mielóide aguda recém-diagnosticada e inelegível à quimioterapia intensiva, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde.

*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.

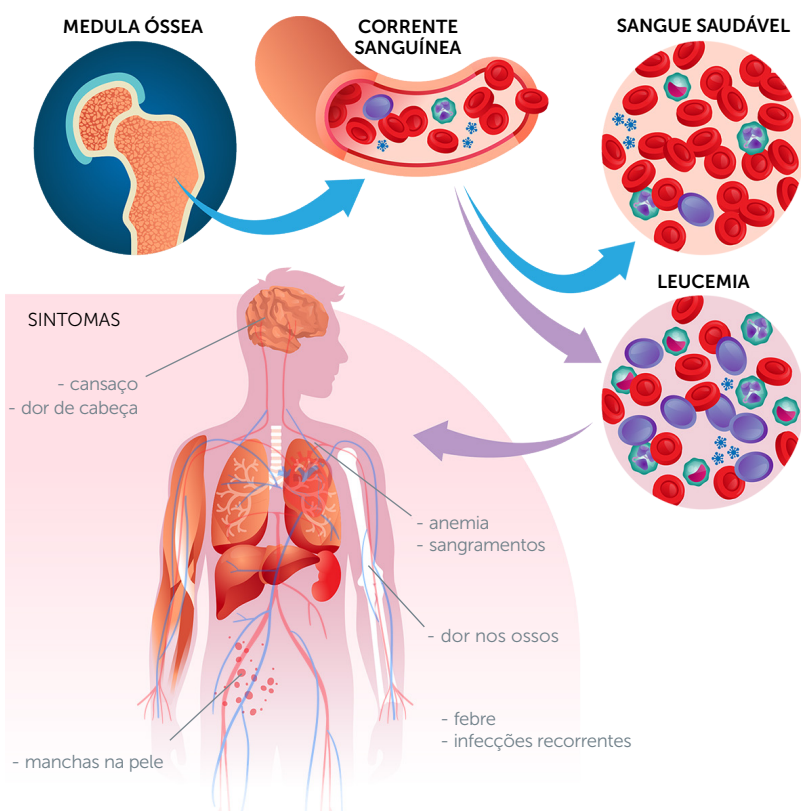
O que é a leucemia mielóide aguda (LMA)?

A leucemia é um tipo de câncer no sangue e se caracteriza por um processo descontrolado e anormal de multiplicação de células doentes (cancerígenas) na medula óssea, comprometendo

a produção de células sanguíneas saudáveis. Existem quatro tipos principais da doença: leucemia mieloide aguda; leucemia mieloide crônica; leucemia linfóide aguda; e leucemia linfóide crônica. Nas formas agudas, ocorre a transformação maligna das células jovens, responsáveis pela produção, renovação e diferenciação de todas as células sanguíneas (células hematopoéticas imaturas, também chamadas de blastos). Esse processo leva ao acúmulo de células anormais e ao desenvolvimento de neoplasias (tumores).

A leucemia mieloide aguda (LMA) é caracterizada pelo bloqueio na maturação dessas células hematopoéticas jovens, o que leva ao acúmulo de células imaturas na medula óssea e no sangue. Essa doença pode causar a falência medular, processo no qual a medula óssea para de produzir células sanguíneas funcionais, e a invasão das células leucêmicas em outros órgãos e tecidos. As manifestações clínicas estão relacionadas à redução no número de células sanguíneas normais e os sintomas mais observados são: cansaço, anemia, sangramentos, dor de cabeça, manchas roxas, azuladas ou avermelhadas na pele, dor nos ossos, febre e infecções recorrentes.

No Brasil, o Instituto Nacional de Câncer (INCA) estimou 11.540 novos diagnósticos por ano do triênio 2023-2025, o que correspondeu a 5,33 novos casos a cada 100 mil habitantes. A LMA é uma doença rara e dentre os principais tipos de leucemia é o mais agressivo. Ainda assim, dados do Global Burden of Disease (GBD) demonstram que a incidência dessa doença aumentou em 34,6% entre os anos de 1990 e 2019.



A LMA tem uma evolução rápida e agressiva, de modo que o diagnóstico precoce e o tempo de adoção de um tratamento adequado são determinantes para a melhoria da condição. O diagnóstico deve ser fundamentado em achados laboratoriais, citogenéticos e moleculares, podendo incluir a realização de biópsia quando indicada. Em regra, é confirmado pela identificação do percentual de blastos igual ou superior a 20% no sangue periférico (sangue circulante no corpo) e/ou na medula óssea. Em situações nas quais o percentual de blastos é inferior a esse limiar, o diagnóstico

pode ser estabelecido na presença de alterações genéticas específicas que caracterizam a doença.

Além da agressividade e rápida evolução, essa doença prejudica a qualidade de vida dos pacientes e gera uma carga econômica significativa para cuidadores e para o sistema de saúde, com hospitalizações, custos relacionados ao tratamento, transfusões sanguíneas e infecções.

Como os pacientes com leucemia mielóide aguda (LMA) são tratados no SUS?

O objetivo do tratamento da LMA é alcançar a remissão completa da doença, caracterizada pela normalização da medula óssea e das células do sangue. A definição da estratégia terapêutica pode variar de acordo com o subtipo de LMA, os achados citogenéticos, moleculares e o histórico clínico do paciente. A depender do estado de saúde, é recomendada a quimioterapia intensiva e a realização de transplante de células-tronco hematopoéticas. Pessoas com 75 anos ou mais, histórico de doenças cardíacas, renais, pulmonares, do fígado ou de condições mentais são inelegíveis à quimioterapia intensiva. Esses casos podem se beneficiar de terapias de baixa intensidade que podem aliviar os sintomas, melhorar sua qualidade de vida e aumentar sua sobrevida.

No Brasil, as Diretrizes Diagnósticas e Terapêuticas (DDTs) para LMA, orientam que, para pacientes muito idosos — definidos como aqueles com 75 anos ou mais —, a alternativa terapêutica preconizada é a utilização de citarabina em baixas doses por via subcutânea, opção atualmente disponibilizada no Sistema Único de Saúde (SUS) para esse contexto clínico da LMA.

Medicamento analisado: venetoclax em combinação com azacitidina

A Associação Brasileira de Hematologia, Hemoterapia e Terapia Celular (ABHH) solicitou à Conitec a avaliação para incorporação, ao SUS, do venetoclax em combinação com azacitidina para o tratamento de pacientes adultos inelegíveis à quimioterapia intensiva com leucemia mieloide aguda recém-diagnosticada. A administração do medicamento é por via oral, uma vez ao dia, de acordo com o cronograma de escalonamento de dose. Para o tratamento de LMA, deve ser administrado por via oral em combinação com um agente hipometilante, como azacitidina, ou com citarabina de baixa dose. Além disso, a European Society for Medical Oncology (ESMO) preconiza, como opções de tratamento para os casos de LMA inelegíveis à quimioterapia intensiva, a combinação do venetoclax com agentes hipometilantes (como azacitidina ou decitabina) ou com a citarabina de baixa dose.

O venetoclax é um inibidor da proteína de linfoma de células B 2 (BCL-2), uma proteína responsável por impedir a apoptose (morte) das células cancerígenas. Com isso, o medicamento reduz a capacidade de resistência e induz a morte dessas células, servindo como uma estratégia terapêutica para alcançar a remissão da doença.

Os estudos clínicos analisados compararam a eficácia do tratamento com o venetoclax em combinação com a azacitidina à eficácia da terapia padrão, com a citarabina em baixas doses. As combinações terapêuticas à base de venetoclax demonstraram o aumento significativo da sobrevida global, redução consistente do risco de morte quando comparado às terapias padrão, elevação das taxas de remissão completa e rápida obtenção de resposta, indicando um maior controle da doença. Contudo, foram observados eventos adversos de toxicidade no sangue, com o aumento da frequência de neutropenia (diminuição das taxas de neutrófilos no sangue), neutropenia febril (neutropenia em associação com episódios de febre), trombocitopenia (diminuição das taxas de plaquetas no sangue) e anemia, maior risco de infecções e maior ocorrência de eventos graves. Esses eventos foram considerados compatíveis com o mecanismo de ação do venetoclax e manejáveis.

A avaliação econômica determinou que o venetoclax em combinação à azacitidina teve um custo de R\$ 117.099,00 por ano de vida com qualidade adquirido com o tratamento. Diante da gravidade da doença e da ausência de alternativas terapêuticas eficazes para essa população, observa-se que, embora a relação custo-efetividade esteja em uma faixa considerada potencialmente aceitável no contexto do SUS, o impacto orçamentário é elevado. Diante disso, também foram destacadas algumas incertezas relacionadas às fontes e estrutura dos estudos e a necessidade de redução no valor do impacto orçamentário.

A análise de impacto orçamentário estimou os custos da incorporação do medicamento, ao SUS, ao longo de cinco anos em dois cenários distintos. No primeiro cenário, a incorporação do medicamento chegaria a 50% da população elegível ao final do quinto ano pelo custo de R\$ 97,4 milhões. O segundo cenário prevê uma incorporação mais agressiva, em que se alcança 80% da população elegível ao final do quinto ano, por um custo de R\$ 178 milhões.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 92/2025 foi aberta de 31/10/2025 a 10/11/2025 para a inscrição de interessados em participar da Perspectiva do Paciente sobre este tema. Entretanto, não houve inscrições. A Secretaria-Executiva da Conitec também realizou uma busca ativa junto a especialistas, associações de pacientes e centros de tratamento, mas não identificou um participante para este tema. Assim, não houve a participação.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente, por maioria simples, a não incorporação, ao SUS, do venetoclax em combinação com azacitidina para pacientes adultos inelegíveis à quimioterapia intensiva com leucemia mieloide aguda recém-diagnosticada. Esse tema foi discutido durante a 27ª Reunião Extraordinária da Comissão, realizada no dia 23 de fevereiro de 2026. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos reconheceu o benefício clínico relevante da associação dos medicamentos, mas considerou a necessidade de uma proposta de preço com desconto maior por parte da empresa detentora do registro do venetoclax e de adequações nas análises do impacto orçamentário. Além disso, ressaltaram a possibilidade de uma compra descentralizada na Política de Assistência Oncológica.

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

- Após o diagnóstico de LMA, foi considerada a adoção de quimioterapia intensiva?
- Houve uso de outro medicamento antes do venetoclax? Se sim, o que motivou a troca terapêutica ou adição do venetoclax ao tratamento?
- O uso do medicamento foi associado à utilização de outras tecnologias? Em caso positivo, quais?
- Após o início do tratamento, foram observados eventos adversos como o aumento da toxicidade no sangue ou do risco de infecções?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 18, durante 20 dias, no período de 24/3/2026 a 13/4/2026, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 587 contribuições validadas. A maioria dos participantes (98,3%) foi favorável à incorporação da tecnologia em avaliação ao SUS e, como argumentos, apontaram o acesso equitativo como um direito fundamental, criticando a disparidade entre os sistemas público e privado e o alto custo do medicamento. Além disso, destacaram ausência de alternativas terapêuticas adequadas no SUS e como benefícios clínicos a: remissão completa; ausência de sinais detectáveis de células leucêmicas pelos exames mais sensíveis disponíveis (Doença Residual Mínima negativa); maior sobrevida global; eliminação de transfusões de sangue; redução de eventos adversos no tratamento da condição; e possibilidade de tornar pacientes

elegíveis ao transplante de medula óssea. Além disso, os participantes que tiveram experiência com o venetoclax afirmaram que o medicamento foi efetivo no controle da doença, na redução de hospitalizações e transfusões sanguíneas, e de fácil administração.

Em relação à experiência com outras tecnologias para o tratamento de LMA, por um lado destacaram a facilidade de acesso e a fácil administração de alguns medicamentos. Por outro lado, relataram baixa efetividade, necessidade de transfusão e hospitalização, aumento da mortalidade, eventos adversos e redução da qualidade de vida.

Além da opinião e experiência de participantes, a Consulta Pública recebeu contribuições sobre aspectos técnico-científicos da tecnologia. Entre as recebidas, não houve evidências adicionais, destacaram a eficácia, efetividade e segurança do venetoclax associado à azacitidina para os pacientes com LMA. A empresa fabricante fez uma nova proposta de preço, com aumento do desconto em 10 pontos percentuais em relação à proposta anterior, totalizando R\$ 32.251,58 a caixa do venetoclax com 120 comprimidos. Em um novo cálculo de impacto orçamentário, o total estimado seria de R\$ 115.368.063 em cinco anos.

Recomendação final da Conitec

A 151ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 6, 7 e 8 de maio de 2026. No dia 6, Comitê de Medicamentos recomendou, por unanimidade, a incorporação do venetoclax em combinação com azacitidina para o tratamento de pacientes adultos com leucemia mieloide aguda recém-diagnosticada e inelegível à quimioterapia intensiva, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Após a apresentação dos dados da consulta pública, o Comitê destacou a eficácia e efetividade do medicamento, a importância do rápido início do tratamento para a LMA devido às características agressivas da doença e alta mortalidade associada. A nova proposta de preço enviada pelo fabricante da tecnologia impactou na redução do valor de custo – utilidade e no impacto orçamentário. Para a incorporação do medicamento, destacaram que a apresentação de um cenário com taxa de difusão mais acelerado que impactou na redução do custo-utilidade e no impacto orçamentário, sendo essa mais próxima da realidade, e que a incorporação deve estar condicionada a dos protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas (PCDT) para LMA.

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