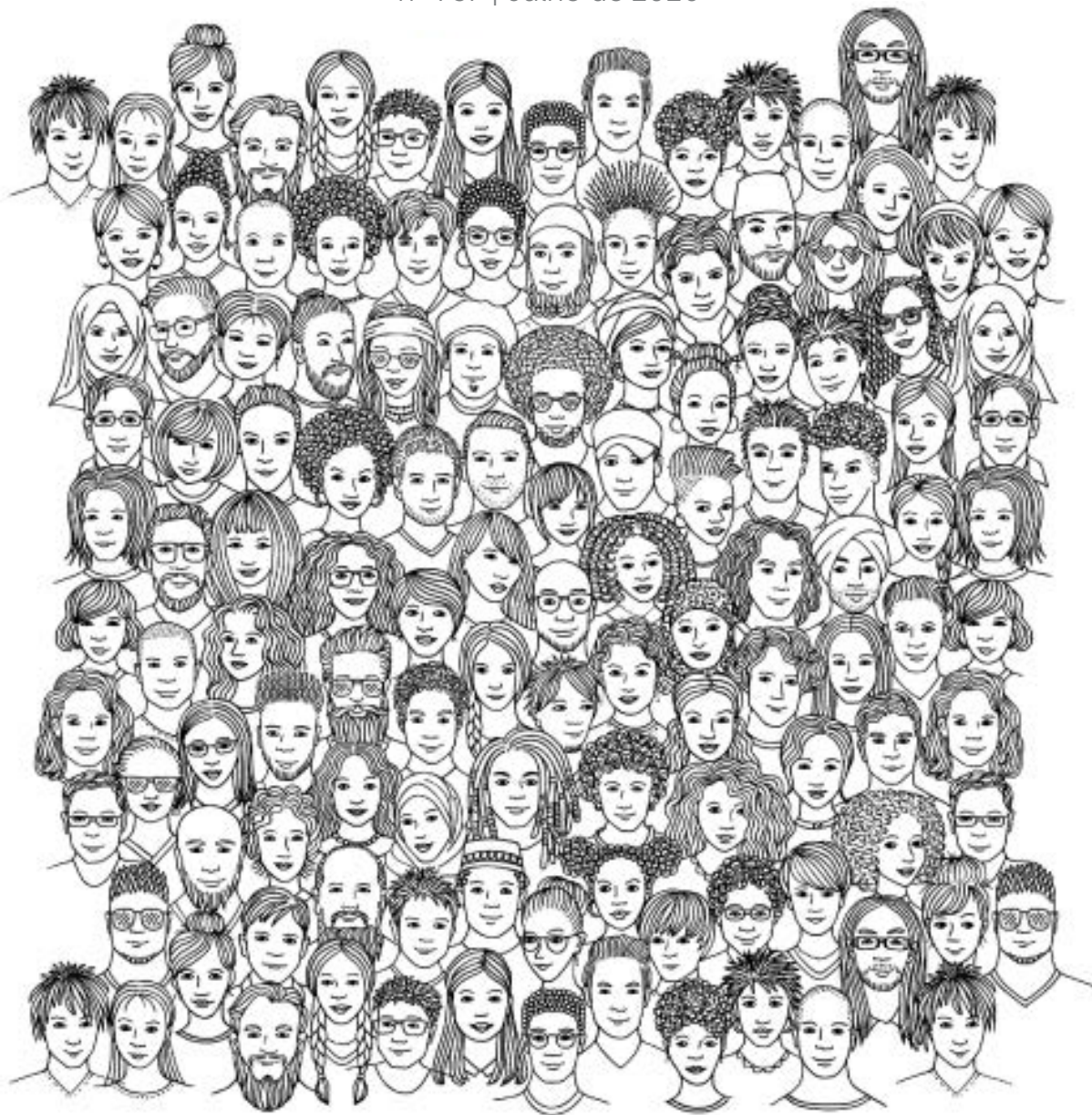




RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

AMPLIAÇÃO DE USO DE TRANSPLANTE DE CÉLULAS PROGENITORAS HEMATOPOÉTICAS (TCPH) AUTOGÊNICO DE MEDULA ÓSSEA E DE SANGUE PERIFÉRICO

para os pacientes com diagnóstico de retinoblastoma com doença extraocular ou recidivada

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

Maisa Gomes da Silva Pardo

Revisão técnica

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

Pedro Henrique Santos Moraes

Layout e diagramação

Patricia Mandetta Gandara

Supervisão

Luciene Fontes Schluckebier Bonan

Sumário

O que é retinoblastoma?	4
Como os pacientes com retinoblastoma são tratados no SUS?	5
Procedimento analisado: transplante de Células Progenitoras Hematopoéticas (TCPH) autogênico de medula óssea e de sangue periférico.....	6
Perspectiva do Paciente.....	8
Discussão da Conitec na apreciação inicial.....	8
Recomendação inicial da Conitec.....	8
Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa.....	10

AMPLIAÇÃO DE USO DE TRANSPLANTE DE CÉLULAS PROGENITORAS HEMATOPOÉTICAS (TCPH) AUTOGÊNICO DE MEDULA ÓSSEA E DE SANGUE PERIFÉRICO

para os pacientes com diagnóstico de retinoblastoma com doença extraocular ou recidivada

O que é retinoblastoma?

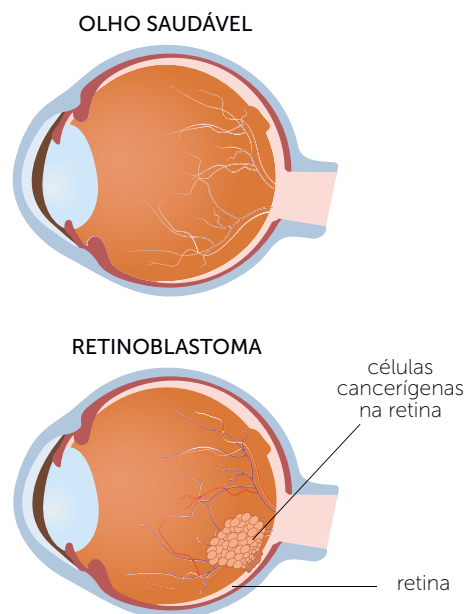
Retinoblastoma é um tipo raro de câncer que se desenvolve dentro do olho. Ele afeta principalmente crianças pequenas e, na maioria dos casos, é diagnosticado antes dos cinco anos de idade. Quando o retinoblastoma é diagnosticado cedo e tratado adequadamente, as chances de cura são altas. Porém, quando a doença ultrapassa o olho ou retorna após o tratamento, a evolução costuma ser menos favorável e o risco de morte é maior.

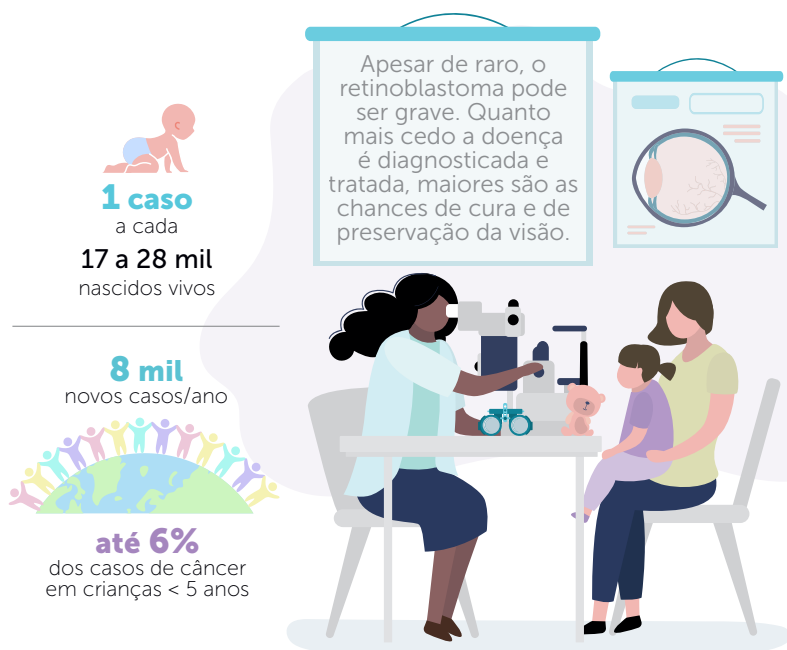
Em fases mais avançadas, o tumor pode atingir também áreas próximas ao olho. Essa situação é chamada de retinoblastoma extraocular. A doença também pode voltar depois do tratamento, condição chamada de recidiva, ou se espalhar para outras partes do corpo, como ossos, medula óssea, fígado ou sistema nervoso central, condição chamada de metástase. Quando há comprometimento do sistema nervoso central, a evolução da doença tende a ser mais grave.

O sinal mais comum do retinoblastoma é a leucocoria, que é um reflexo branco anormal na pupila quando ela recebe luz. Esse sinal aparece em cerca de 60% dos casos. Também pode ocorrer estrabismo, que é quando os olhos não ficam alinhados na mesma direção corretamente. Outros sinais incluem diminuição da visão, olho vermelho, aumento da pressão dentro do olho, dor e, nos casos mais avançados, perda da visão.

No mundo, estima-se a ocorrência de um caso de retinoblastoma a cada 17 mil a 28 mil nascidos vivos, com aproximadamente oito mil novos casos por ano. A doença representa até 6% dos cânceres diagnosticados em crianças menores de cinco anos. No Brasil, foram identificados 675 casos entre 2000 e 2018. Cerca de 90% dos diagnósticos ocorreram em crianças de zero a quatro anos. Nessa faixa etária, a incidência estimada foi de aproximadamente sete casos por um milhão de nascidos vivos.

A doença pode ser hereditária ou não hereditária. A forma hereditária costuma afetar os dois olhos ou causar tumores em diferentes áreas do olho e corresponde a cerca de 25% dos





casos. A forma não hereditária geralmente afeta apenas um olho e um único local, representando aproximadamente 75% dos casos. Essa classificação é importante porque as características da doença, sua extensão e o risco de ela se espalhar ajudam a definir o tratamento. Os bons resultados no tratamento dependem principalmente da extensão da doença no momento do diagnóstico e do acesso rápido ao tratamento especializado.

O diagnóstico é feito principalmente pela avaliação do interior do olho, geralmente com a criança sob anestesia. A ultrassonografia ocular pode ajudar a identificar as alterações dentro do olho, como a extensão da doença, presença de calcificações e deslocamento da retina. Outros exames de imagem, como a ressonância magnética, são usados para verificar se o tumor atingiu o nervo óptico, outras estruturas do olho ou o sistema nervoso central. Esses exames também ajudam a acompanhar a resposta ao tratamento e possíveis complicações.

Como os pacientes com retinoblastoma são tratados no SUS?

O tratamento do retinoblastoma é definido conforme as características e a extensão da doença e tem como objetivos aumentar a chance de a criança permanecer viva, controlar o tumor e, sempre que possível, preservar a visão, o olho e a qualidade de vida.

Entre os tratamentos disponíveis estão a retirada cirúrgica do olho afetado, chamada de enucleação, o congelamento do tumor (crioterapia), o uso de calor (termoterapia) e de laser (fotocoagulação a laser). Também são utilizadas quimioterapia sistêmica, radioterapia externa, quimioterapia intra-arterial e tratamentos aplicados diretamente no olho.

Na quimioterapia sistêmica, o medicamento é aplicado de forma a circular por todo organismo e é utilizada principalmente nos casos mais avançados, hereditários, que afetam os dois olhos ou que já ultrapassaram o globo ocular. Ela também pode ser associada a tratamentos locais na tentativa de preservar o olho. Na quimioterapia intra-arterial o medicamento é aplicado diretamente na artéria que leva sangue ao olho, ao redor do olho ou em seu interior, conforme indicação clínica. Esses procedimentos são realizados em serviços especializados.

A radioterapia pode ser indicada em casos de doença recorrente ou extraocular, embora possa

causar complicações relacionadas à exposição à radiação. Na radioterapia externa, a radiação é aplicada de fora do corpo. O tratamento pode ajudar a preservar o olho e a visão, mas também pode causar danos aos olhos e aos tecidos próximos, além do risco de surgimento de novos tumores.

Não há um único tratamento para todos os casos de retinoblastoma extraocular. Conforme a extensão da doença, podem ser combinadas cirurgia, quimioterapia e radioterapia.

A quimioterapia em doses muito elevadas é necessária para aumentar a eficiência do tratamento, principalmente para os casos em que o retinoblastoma se espalhou para fora do olho (metástase) ou retornou após o tratamento (reicidiva). São utilizadas diferentes combinações de medicamentos e o tratamento completo pode durar de 48 a 52 semanas. Nestas situações, o medicamento combate o tumor, mas também reduz intensamente a capacidade da medula óssea de produzir células do sangue.

Procedimento analisado: transplante de células progenitoras hematopoéticas (TCPH) autogênico de medula óssea e de sangue periférico

Esta avaliação foi solicitada pela Secretaria de Atenção Especializada à Saúde do Ministério da Saúde (SAES/MS) para analisar a ampliação do uso do Transplante de Células Progenitoras Hematopoéticas (TCPH) autogênico, com o objetivo de oferecer mais uma opção de tratamento para crianças e adolescentes de zero a 19 anos com retinoblastoma extraocular ou recidivado, que apresentam maior risco de complicações e morte. Esse procedimento já é realizado no SUS para outras condições de saúde.

O TCPH autogênico de medula óssea e de sangue periférico utiliza células do próprio paciente responsáveis pela formação das células do sangue. Essas células são retiradas da medula óssea ou do sangue que circula pelo corpo e armazenadas. Após a quimioterapia em doses muito elevadas, elas são devolvidas ao organismo para ajudar a medula óssea a voltar a produzir as células do sangue.

Foram avaliadas duas modalidades: o transplante com células retiradas da medula óssea e o transplante com células retiradas do sangue periférico.

No TCPH de sangue periférico, são utilizados medicamentos para fazer com que as células-tronco saiam da medula óssea e passem para o sangue. Depois, elas são coletadas, armazenadas e devolvidas à própria pessoa após a quimioterapia em altas doses. Essa é a modalidade mais utilizada, pois não exige cirurgia e permite uma recuperação mais rápida da produção das células do sangue. No transplante de células da medula óssea, as células são retiradas por aspiração, com necessidade de anestesia. Essa modalidade pode apresentar recuperação mais

lenta e maior necessidade de transfusões.

Foram incluídos dois estudos relacionados ao uso de células da medula óssea e cinco sobre células do sangue periférico. Os estudos avaliaram pequenos grupos de crianças com doença avançada, e nenhum comparou diretamente os pacientes transplantados com um grupo semelhante que recebeu apenas o tratamento convencional.

Os estudos relataram casos de controle prolongado da doença, com pacientes vivos e sem sinais ou retorno do câncer por vários anos. Nos dados sobre o uso de células da medula óssea, a estimativa de pacientes vivos e sem a doença foi de 67,1%, embora esse resultado tenha sido calculado para um grupo mais amplo do que a população desta avaliação. Também foram registrados oito casos de retorno da doença, sete deles inicialmente no sistema nervoso central.

Considerando o conjunto dos tratamentos utilizados nos estudos com células do sangue periférico, a proporção de pacientes vivos após três anos variou de 12,3% a 88,1%, conforme a extensão da doença. Os resultados foram mais favoráveis entre os pacientes que responderam à quimioterapia inicial e não apresentavam comprometimento do sistema nervoso central. Nos estudos menores os resultados variaram, parte das crianças permaneceu viva e sem sinais da doença.

Nos estudos de TCPH de células da medula óssea, não foram registradas mortes atribuídas diretamente à toxicidade do tratamento. Nos estudos com células do sangue periférico, foram frequentes eventos adversos graves, como febre associada à redução das células de defesa, infecções, feridas e inflamações na boca, alterações dos sais minerais do organismo e sepse.

A certeza das evidências foi considerada muito baixa porque os estudos incluíram poucas pessoas, não tinham grupo de comparação e avaliaram pacientes com diferentes características e níveis de gravidade.

Diante da gravidade do retinoblastoma extraocular ou recidivado, do maior risco de morte — especialmente quando o sistema nervoso central está comprometido — e das poucas opções de tratamento com possibilidade de cura, os estudos sugerem que o transplante autogênico pode trazer benefícios e prolongar a vida de alguns pacientes. No entanto, esse benefício ainda é incerto, considerando que a certeza das evidências foi considerada muito baixa.

A avaliação econômica indicou que o TCPH autogênico de medula óssea ou de sangue periférico tem custo maior do que a quimioterapia convencional associada à radioterapia, mas também pode proporcionar mais anos de vida com qualidade. O custo médio foi estimado em R\$ 33,1 mil por paciente com o transplante e em R\$ 15,8 mil com o tratamento convencional.

Para estimar o impacto no orçamento do SUS, considerou-se que cerca de 89 pacientes receberiam o transplante no período de cinco anos. O gasto adicional acumulado seria de aproximadamente R\$ 1,46 milhão em cinco anos, podendo variar entre R\$ 1,05 milhão e R\$ 1,87 milhão.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 63/2026 foi aberta de 09 até 18 de junho de 2026 para a inscrição de interessados em participar da Perspectiva do Paciente sobre este tema e não houve inscritos. Assim, não houve participação de paciente neste tema.

Discussão da Conitec na apreciação inicial

O Comitê de Produtos e Procedimentos discutiu a ampliação do uso do TCPH autogênico de medula óssea e de sangue periférico para pacientes com retinoblastoma extraocular ou recidivado. Os membros destacaram a gravidade desses casos, o prognóstico desfavorável e a limitação das alternativas terapêuticas. O procedimento pode prolongar a sobrevivência de pacientes selecionados que respondem ao tratamento inicial e não apresentam comprometimento do sistema nervoso central.

O Comitê reconheceu a possibilidade de efeitos tóxicos agudos relevantes, analisados em conjunto com a gravidade da doença e a falta de outras opções efetivas. Também foi ressaltado que o procedimento já é realizado no SUS para outras indicações, em centros de referência, e que a ampliação poderia padronizar o acesso e reduzir diferenças entre os serviços.

Os membros também consideraram os resultados da avaliação econômica e a estimativa de impacto financeiro. Apesar da certeza muito baixa das evidências, devido às limitações dos estudos, prevaleceu o entendimento favorável à ampliação do uso do TCPH autogênico para essa população.

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a incorporação, ao SUS, do Transplante de Células Progenitoras Hematopoéticas (TCPH) autogênico de medula óssea e de sangue periférico para o tratamento dos pacientes com diagnóstico de retinoblastoma com doença extraocular ou recidivada. Esse tema foi discutido durante a 153ª Reunião Ordinária da Conitec, realizada nos dias 1º, 2 e 3 de julho de 2026.

Na ocasião, o Comitê de Produtos e Procedimentos presente na reunião considerou que a ampliação do uso do TCPH autogênico poderia beneficiar pacientes com retinoblastoma extraocular ou recidivado, diante da gravidade da doença, do prognóstico desfavorável e da necessidade de outra opção de tratamento. Também considerou que a medida poderia padronizar o acesso ao procedimento no SUS e que sua realização em centros de referência favoreceria sua implementação. Por isso, recomendou preliminarmente, pela ampliação do uso da tecnologia, e a matéria foi encaminhada para consulta pública.

O assunto está disponível na Consulta Pública nº 65/2026, durante 20 dias, no período de 29/07/2026 a 17/08/2026, 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](#).

Informações sobre o registro da tecnologia na Anvisa

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa):

Não se aplica.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de retinoblastoma com doença extraocular ou recidivada.

*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.