

# 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 mielóide 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](http://gov.br/conitec/pt-br)

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

### **Elaboração do relatório**

Marina Kuebler Silva

Luiza Nogueira Losco

### **Revisão técnica**

Andrea Brígida de Souza

Laura Mendes Ribeiro

### **Layout e diagramação**

Patricia Mandetta Gandara

Ana Júlia Trovo da Mota

### **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 inicial da Conitec:**

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou inicialmente, por maioria simples, a não incorporação do venetoclax em combinação com azacitidina para pacientes adultos inelegíveis à quimioterapia intensiva com leucemia mielóide aguda recém-diagnosticada.

\*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.

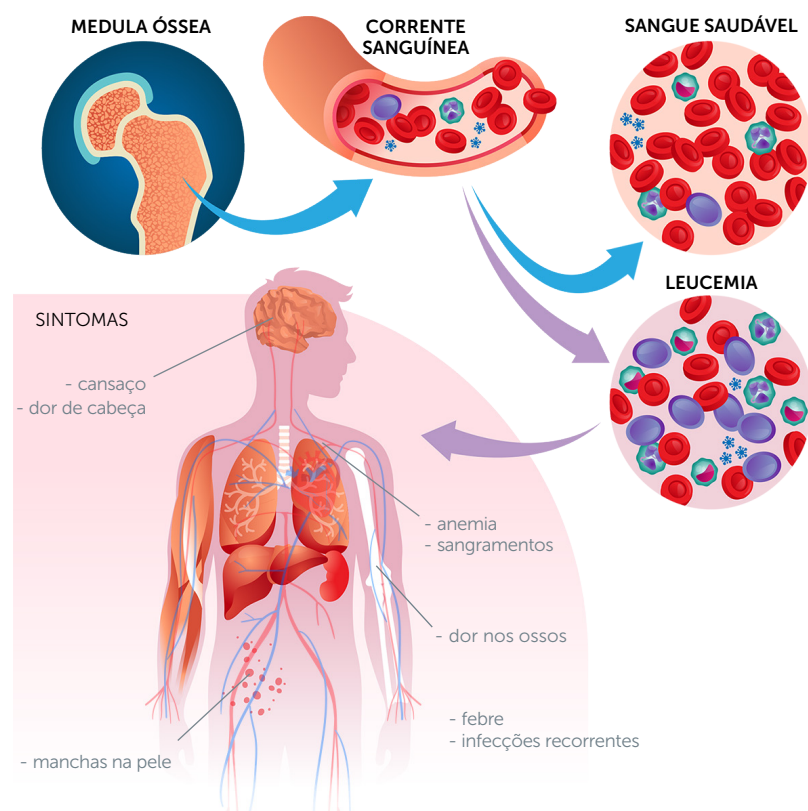
## **O que é a leucemia mielóide aguda (LMA)?**

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 mielóide aguda; leucemia mielóide 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 hematopoiéticas imaturas, também chamadas de blastos). Esse processo leva ao acúmulo de células anormais e ao desenvolvimento de neoplasias (tumores).

A leucemia mielóide 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 está disponível na Consulta Pública nº 18, durante 20 dias, no período de 24/03/2026 a 13/04/2026, 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](#).