

RELATÓRIO PARA **SOCIEDADE**

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

LUSPATERCEPTE

para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente
de transfusão associada com beta-talassemia

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

Melina Sampaio de Ramos Barros

Dyana Helena de Souza

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

LUSPATERCEPTE

para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada com beta-talassemia

Indicação em bula aprovada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) em 13/08/2025 para o luspatercepte (REBLOZYL®):

Síndromes Mielodisplásicas (SMD):

- Tratamento de pacientes adultos com anemia devido à síndrome mielodisplásica (SMD) de risco muito baixo a intermediário que requeira transfusão.
- Tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão devido a síndromes mielodisplásicas (SMD) de risco muito baixo a intermediário com sideroblastos em anel e que sejam refratários, intolerantes ou inelegíveis para tratamento com agente estimulante da eritropoiese (ESA).

Beta-Talassemia:

- Tratamento de pacientes adultos com anemia associada à beta-talassemia dependente de transfusão.
- Tratamento de pacientes adultos com anemia associada à beta-talassemia não dependente de transfusão.

Indicação proposta pelo demandante para avaliação da Conitec*:

Tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada com beta-talassemia.

Recomendação final da Conitec:

O Comitê de Medicamentos da Conitec recomendou a não incorporação do luspatercepte para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada à beta-talassemia no SUS.

Decisão final:

PORTARIA SCTIE/MS Nº 15/2026: Torna pública a decisão de não incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o luspatercepte para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada com beta-talassemia.

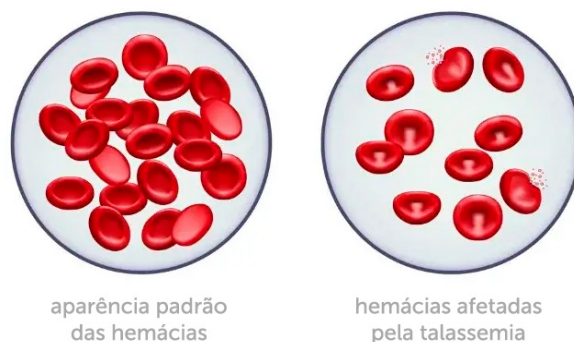
*De acordo com o §6º do art. 32 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017, o pedido de incorporação de uma tecnologia em saúde deve ter indicação específica. Portanto, a Conitec não analisará todas as hipóteses previstas na bula em um mesmo processo.

O que é a beta-talassemia?

A talassemia é um grupo de doenças sanguíneas hereditárias, ou seja, passadas de pais para filhos. Ela é ocasionada por mutações genéticas que afetam a produção de hemoglobina, uma proteína rica em ferro presente no interior dos glóbulos vermelhos do sangue (hemácias)

e responsável pelo transporte de oxigênio no organismo. Como consequência, a medula óssea produz hemácias menores e com menos hemoglobina, o que causa anemia.

A beta-talassemia (B-Tal) é um tipo de talassemia em que a mutação genética resulta na produção insuficiente de uma das partes da hemoglobina, a cadeia beta-globina, provocando uma anemia crônica de intensidade variável. A depender da gravidade, torna-se necessária a realização de transfusões sanguíneas para repor componentes saudáveis do sangue. A B-Tal é classificada em três tipos, a saber:



1. **Talassemia menor (ou traço talassêmico):** É a forma mais leve da anemia e geralmente não apresenta sintomas, sendo identificada em exames de rotina ou investigação familiar.
2. **Talassemia intermediária:** A anemia é moderada, podendo necessitar de transfusões ocasionais.
3. **Talassemia maior (anemia de Cooley):** É a forma mais grave. A anemia surge nos primeiros meses de vida, com sintomas como pele amarelada, aumento do fígado e do baço e alterações ósseas, como deformidade facial e atraso no crescimento. Nesses casos, as transfusões são frequentes, realizadas a cada 2-4 semanas.

Os indivíduos afetados podem ser agrupados pela necessidade transfusional: independentes de transfusão, baixa dependência, média dependência e alta dependência. O início precoce e a intensidade dessa terapia estão associados à prevenção de complicações e ao aumento do tempo de vida. Contudo, o acúmulo de ferro resultante das transfusões recorrentes pode intoxicar órgãos vitais, gerando complicações graves.

Estima-se que entre 1% e 15% da população mundial tenham talassemia. O dado varia conforme a região, sendo mais comum em populações do Mediterrâneo, Oriente Médio, Ásia Central, Índia, África e Brasil. No Brasil, cerca de 1,5% da população branca tem talassemia menor.

Como os pacientes com beta-talassemia são tratados no SUS?

O documento técnico "Orientações para o diagnóstico e tratamento das talassemias beta", publicado em 2016 pelo Ministério da Saúde, estabelece que o tratamento se baseia, conforme gravidade, em: transfusão de hemácias, terapia de quelação de ferro (medicamentos para eliminar excesso de ferro do organismo), transplante de medula óssea e cuidados de suporte, como suplementação e acompanhamento por equipe multidisciplinar.

Medicamento analisado: luspatercepte

A empresa BMS Bristol Myers Squibb Ltda. solicitou à Conitec a avaliação de incorporação, ao SUS, do luspatercepte para pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada com beta-talassemia. O medicamento atua corrigindo os sinais enviados à medula óssea, que passa a produzir mais hemácias, elevando os níveis de hemoglobina no organismo.

As evidências clínicas demonstraram que o uso do luspatercepte reduziu consideravelmente (de 33% a 50%) a necessidade de os pacientes realizarem transfusões sanguíneas. Além disso, os pacientes apresentaram uma melhora contínua na produção das hemácias, sem precisarem de transfusões temporariamente. No entanto, houve alta ocorrência de eventos adversos leves a moderados, como dor óssea e articular, tontura e pressão alta, além de eventos tromboembólicos (formação de coágulos que obstruem os vasos sanguíneos, como trombose e embolia) em uma parcela de pacientes com fatores de risco. A frequência de eventos adversos graves foi superior no grupo que usou o medicamento, levando à descontinuação do tratamento de 5,4% pacientes.

A empresa que propôs a incorporação do medicamento (demandante) apresentou uma avaliação econômica que comparou o luspatercepte, associado ao melhor tratamento de suporte (MTS), incluindo transfusão de concentrado de hemácias (TCH) e terapia quelante de ferro (TQF), com o tratamento atualmente disponível no sistema de saúde (MTS, incluindo TCH e TQF). O custo foi calculado em R\$ 777.320,64 por ano de vida ganho com qualidade, considerando o preço com impostos, e R\$ 557.234,19 por ano de vida ganho com qualidade, com base em um preço sem impostos. O grupo elaborador do relatório técnico da Conitec apontou a não consideração do transplante de medula óssea como opção de tratamento e as incertezas das projeções de longo prazo como limitações da avaliação do demandante.

Para calcular o impacto orçamentário no SUS, caso o luspatercepte seja incorporado, foram considerados três cenários diferentes de adoção do tratamento pelos pacientes após cinco anos de incorporação: cenário proposto, em que 60% dos pacientes utilizariam o medicamento, cenário conservador, onde 40% de pacientes realizariam o tratamento, considerando dificuldades de acesso, e cenário acelerado, que alcançaria 80% de pessoas em tratamento. O custo total para o sistema de saúde seria de R\$ 51,5 milhões no cenário proposto, R\$ 29,3 milhões no cenário conservador e R\$ 67 milhões no cenário acelerado.

Perspectiva do Paciente

A Chamada Pública nº 51/2025 esteve aberta durante o período de 28/5/2025 a 6/6/2025 e recebeu quatro inscrições. Os representantes titular e suplente foram definidos a partir de sorteio realizado em plataforma digital, com transmissão em tempo real e gravação enviada posteriormente para todos os inscritos.

O representante titular declarou como conflitos de interesses ter a condição de saúde indicada, fazer uso da tecnologia e integrar uma associação de pacientes que recebe recursos da empresa detentora do registro do medicamento em avaliação, a Associação Brasileira de Talassemia. Conforme o Manual de Gerenciamento e Gestão de Conflitos da Conitec, os conflitos informados foram considerados pouco importantes para a participação na ação da Perspectiva do Paciente.

O participante, de 46 anos, relatou ser paciente de talassemia maior, com dependência de transfusão sanguínea. Sua primeira transfusão ocorreu aos sete meses de vida. À época, conforme relato, os médicos estimavam uma expectativa de vida de apenas sete anos. Informou que, durante a infância, se deslocava do sul de Minas Gerais até Campinas para realizar as transfusões sanguíneas, o que acarretava cansaço, além de elevado gasto de tempo e de recursos financeiros.

Antes do uso do luspatercepte, realizava transfusões sanguíneas com três concentrados de hemácias a cada três semanas e apresentava acúmulo significativo de ferro hepático, mesmo com o uso combinado de dois quelantes de ferro.

Declarou fazer uso do luspatercepte há dois anos, por meio de plano privado de saúde, como primeiro paciente a utilizar o medicamento no Brasil. Mencionou que a tecnologia apresentou resultados positivos, uma vez que reduziu a quantidade de concentrados de hemácia utilizados (de três para um) no mesmo intervalo de tempo, eliminou o acúmulo de ferro no fígado, possibilitou a redução da dosagem de quelantes de ferro e preveniu o cansaço pré-transfusional, em razão do aumento dos níveis de hemoglobina. Referiu, ainda, não ter apresentado eventos adversos associados ao uso da tecnologia.

Ademais, avaliou ter obtido ganho significativo de qualidade de vida, especialmente devido à redução do tempo despendido com as transfusões sanguíneas. Anteriormente, destinava, em média, seis horas por transfusão (duas horas para cada concentrado de hemácias utilizado). Desse modo, considerou que passou a ser mais produtivo no trabalho e nas atividades cotidianas.

Por fim, destacou que outros pacientes com talassemia enfrentam dificuldades logísticas para realizar as transfusões sanguíneas, como aqueles que residem em áreas remotas e precisam se deslocar por dias até o hemocentro, bem como aqueles em situação de vulnerabilidade social, que não conseguem custear o deslocamento ou acessar o auxílio de Tratamento Fora de Domicílio (TFD) para realizar o tratamento adequado. Nesse sentido, defendeu que a incorporação de novas tecnologias para talassemia pode ampliar as possibilidades de garantia de acesso ao tratamento para muitos pacientes.

O vídeo da 147ª Reunião Ordinária pode ser acessado [aqui](#).

Recomendação inicial da Conitec

A Conitec recomendou inicialmente a não incorporação, ao SUS, do luspatercepte para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada com beta-talassemia. Esse tema foi discutido durante a 147ª Reunião Ordinária da Comissão, realizada nos dias 8, 9, 10, 11 e 12 de dezembro de 2025. Na ocasião, o Comitê de Medicamentos considerou as incertezas quanto à relevância clínica e a imprecisão das evidências, bem como o alto custo do tratamento e o elevado impacto orçamentário para o SUS.

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

- Com o uso do luspatercepte, houve diminuição da frequência de transfusões sanguíneas ou do concentrado de hemácias?
- Com o uso do luspatercepte, houve redução do excesso de ferro no organismo?
- Após o uso do medicamento em avaliação, ocorreu a redução do uso de quelantes de ferro?

O assunto esteve disponível na Consulta Pública nº 103, durante 20 dias, no período de 30/12/2025 a 19/01/2026, para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema.

Resultado da consulta pública

Foram recebidas 293 contribuições. A maioria das contribuições foi favorável à incorporação do luspatercepte, com opiniões que abordaram sobre o aumento da qualidade de vida, a redução das transfusões sanguíneas e, conseqüentemente, dos eventos adversos, as dificuldades logísticas do tratamento, bem como acerca das taxas de mortalidade do público-alvo, da necessidade de acesso, da ampliação de opções terapêuticas, dos benefícios clínicos do tratamento e da possível economia de custos para o sistema de saúde. Como aspectos

positivos da experiência com o medicamento, foram mencionadas a boa tolerabilidade, a comodidade posológica e a redução da esplenomegalia. Sobre os efeitos negativos, os respondentes citaram o custo elevado, a dificuldade de acesso e o fato de não ser um tratamento curativo. No que se refere à experiência com outras tecnologias, como quelantes de ferro, hidroxiureia e transfusões sanguíneas, referiram os benefícios clínicos, como o controle da anemia, a comodidade posológica e a redução da esplenomegalia como aspectos positivos. No âmbito dos efeitos negativos, mencionaram os eventos adversos, a posologia incômoda, as dificuldades logísticas do tratamento e a perda de qualidade de vida.

Nas contribuições sobre evidências clínicas, o demandante apresentou dados adicionais. Conforme avaliação do grupo elaborador do relatório técnico, um dos estudos demonstrou redução da carga transfusional em parcela minoritária dos pacientes, com qualidade da evidência classificada como moderada por se basear em único estudo clínico. O outro estudo adicional, baseado em evidência de mundo real, sugeriu redução transfusional em parte dos pacientes, embora com elevada taxa de descontinuação do tratamento. Foram identificadas limitações metodológicas neste estudo, o que não permitiu confirmar benefícios clínicos a longo prazo. Além disso, o demandante apresentou uma nova proposta comercial, com redução de 10% adicional de preços para o luspatercepte nas apresentações de 25 mg (R\$ 4.668,66) e 75 mg (R\$ 14.004,40), bem como um cenário alternativo de aquisição com desoneração tributária, com valores de R\$ 3.418,12 para a apresentação de 25 mg e R\$ 10.253,22 para a de 75 mg. Com efeito, as análises econômicas foram atualizadas e resultaram em um custo de R\$ 733.239,71 por ano de vida com qualidade, em um cenário com impostos, e de R\$ 524.739,54 por ano de vida com qualidade, em um cenário sem impostos. A análise de impacto orçamentário atualizada estimou um gasto de R\$ 48.029.438 ao longo de cinco anos no cenário com impostos e de R\$ 32.893.204 no cenário com desoneração tributária.

Recomendação final da Conitec

A 27ª Reunião Extraordinária da Conitec foi realizada no dia 23 de fevereiro de 2026. O Comitê de Medicamentos recomendou a não incorporação, ao SUS, do luspatercepte para o tratamento de pacientes adultos com anemia dependente de transfusão associada à beta-talassemia. A decisão considerou as incertezas quanto à manutenção dos benefícios clínicos e à segurança da tecnologia, a ausência de critérios objetivos para identificar previamente subgrupos de pacientes com maior probabilidade de resposta clínica e a necessidade de uso prolongado da tecnologia para identificação de respondedores. Ademais, os membros ponderaram o elevado custo anual por paciente, estimado entre R\$ 170 mil e R\$ 200 mil, e o alto impacto orçamentário no contexto do SUS.

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