

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0773/2025

Rio de Janeiro, 05 de maio de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Cumpre esclarecer que para o presente processo, este Núcleo elaborou o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0604/2025, emitido em 05 de maio de 2025 (Evento 6), no qual foram esclarecidos os aspectos relativos à indicação e ao fornecimento dos medicamentos tisagenlecleucel (Kymriah®) e tocilizumabe para realização da terapia CarTCell, no âmbito do SUS.

Em atendimento ao questionamento efetuado no Evento 8, informa-se que a eficácia e segurança do tisagenlecleucel em leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B precursoras, especialmente em pacientes pediátricos e adultos jovens com doença refratária ou em segunda ou mais recaída, estão bem estabelecidas em estudos multicêntricos de fase 2, revisões sistemáticas e diretrizes internacionais. Um estudo global, multicêntrico, de fase 2, demonstrou uma taxa de remissão global de 81% em até três meses após a infusão, com negatificação da doença residual mínima em praticamente todos os pacientes. A sobrevida livre de recaída em 12 meses foi de 59% e a sobrevida global em 12 meses foi de 76%. Dados de mundo real confirmam taxas de remissão morfológica de 85% e durabilidade de resposta semelhante à observada nos ensaios clínicos,,.

O perfil de segurança do tisagenlecleucel é caracterizado principalmente pela síndrome de liberação de citocinas (CRS), que ocorre em 77–88% dos pacientes, sendo grave (grau 3/4) em 22–27% dos casos. Eventos neurológicos (neurotoxicidade) são observados em 31–45% dos pacientes, geralmente de grau 1–3, raramente grau 4. Citopenias prolongadas, infecções e aplasia de células B são eventos frequentes, mas manejáveis com suporte adequado. O uso de tocilizumabe, um antagonista do receptor de IL-6, é padrão para o manejo da CRS moderada a grave, sendo administrado em cerca de 40% dos pacientes tratados com



tisagenlecleucel. O tratamento com tocilizumabe não compromete a expansão ou a eficácia do CAR-T, conforme análise farmacocinética e de resposta clínica.

Além do uso reativo, o tocilizumabe foi avaliado em estratégia preemptiva para pacientes com alto risco de CRS grave, sem impacto negativo na eficácia antitumoral do CAR-T e com tendência à redução da incidência de CRS grau 4. O manejo adequado da CRS e da neurotoxicidade, com protocolos bem estabelecidos, é fundamental para a segurança do tratamento.

As diretrizes internacionais, como as da National Comprehensive Cancer Network – NCCN, recomendam o tisagenlecleucel para pacientes até 25 anos com LLA de células B refratária ou em segunda ou mais recaída, ressaltando a durabilidade das respostas e a possibilidade de cura sem necessidade de transplante alogênico subsequente em parcela significativa dos pacientes².

Em resumo, a terapia com tisagenlecleucel apresenta alta taxa de remissão e respostas duráveis em LLA B precursoras refratária/recidivada em crianças e jovens adultos, com perfil de segurança manejável, sendo a CRS o principal evento adverso, tratada de forma eficaz com tocilizumabe sem prejuízo da eficácia do CAR-T^{1,4,5}.

É o parecer.

À 34ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Secretaria de
Saúde



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde