

Análise de custo-minimização e impacto orçamentário de momelotinibe no tratamento de mielofibrose de risco intermediário ou alto: uma perspectiva da saúde suplementar brasileira

Cost-minimization and budget impact analysis of momelotinib for the treatment of intermediate- or high-risk myelofibrosis: a Brazilian supplementary healthcare perspective

Pedro Moraes¹, Marcella Alemar², Tarciso Sellani², Graziela Bernardino², Rodrigo Ribeiro³, Leo Sekine³, Straus Tanaka²

¹ Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP) e Hospital 9 de Julho, São Paulo, Brasil, ² GSK, São Paulo, Brasil,

³ HEMAP Consulting, Porto Alegre, Brasil

Objetivo: Estimar os resultados econômicos da adoção do momelotinibe (MMB) em comparação ao ruxolitinibe (RUX) em pacientes com mielofibrose primária (MFP), pós-policitemia vera (pós-PV) ou pós-trombocitemia essencial (pós-TE) com anemia, sem exposição prévia a inibidores de JAK (JAKi), sob a perspectiva do sistema de saúde suplementar Brasileiro. **Métodos:** No estudo SIMPLIFY-1, o MMB demonstrou não inferioridade em comparação a RUX no desfecho primário de redução de esplenomegalia e com benefícios relevantes no manejo de anemia, assim foi conduzida uma análise de custo-minimização (ACM) e análise de impacto orçamentário (AIO) comparando MMB com RUX. Foram considerados custos de tratamento com base nas doses efetivamente utilizadas no estudo SIMPLIFY-1, bem como nas terapias associadas, terapias subsequentes, transfusões e manejo de eventos adversos. Um cenário alternativo foi explorado com a utilização da apresentação de menor concentração de RUX na composição da dose de administração. Os custos foram obtidos de fontes oficiais brasileiras (CMED e CBHPM). O horizonte temporal foi de 120 meses, com taxa de desconto de 5% ao ano para os custos. **Resultados:** No cenário base, MMB apresentou economia por paciente de R\$ 113.221,35 em relação ao RUX. No cenário com a utilização da apresentação de menor concentração de RUX, MMB apresentou uma economia por paciente de R\$ 807.923,33. A AIO estimou uma economia de R\$ 1,2 milhões no primeiro ano, atingindo uma redução de R\$ 11,0 milhões, totalizando R\$ 28,8 milhões em cinco anos acompanhada do aumento da adoção de MMB. **Conclusões:** A análise demonstrou que o MMB é custo-minimizador em comparação ao RUX e pode gerar uma economia crescente a partir do primeiro ano com o aumento da adoção da tecnologia no sistema de saúde suplementar brasileiro. Essa economia proporcionada por MMB está associada a uma menor necessidade de transfusão e também ao menor custo de aquisição da medicação.

Palavras-chave: momelotinibe, ruxolitinibe, mielofibrose, anemia, análise de custo-minimização, impacto orçamentário, saúde suplementar brasileira.

Recebido: 14/09/2026 **Aprovado:** 13/10/2026 **Publicado:** 23/10/2026

Conflitos de interesse: ST, TS, MA: Funcionários da GSK. PM: Recebeu pagamento ou honorários por palestras, apresentações, comitês de palestrantes (speakers bureaus), redação de manuscritos ou eventos educacionais da Amgen, Janssen, BMS, Takeda, Kite, Novartis, Lilly, GSK, MSD e Pfizer; recebeu apoio para comparecer a reuniões e/ou despesas de viagem da Abbvie, Zodiak, Janssen, Kite, GSK e MSD; participou de um Comitê de Monitoramento de Segurança de Dados (Data Safety Monitoring Board) ou Conselho Consultivo (Advisory Board) para Kite, Janssen e Pfizer. GB: Funcionário da GSK e detém ações financeiras na empresa. RR: Recebeu taxas de consultoria da Amgen, Pfizer, Roche, GSK, Sanofi, Abbott, Gilead, BMS, Janssen, AstraZeneca e Biogen. LS: Nenhum conflito de interesse a declarar.

Financiamento: Este estudo foi patrocinado pela GSK (Identificador do estudo: 309362).

Autor correspondente: Pedro Moraes

ABSTRACT

Objective: Estimate the economic outcomes of adopting momelotinib (MMB) compared to ruxolitinib (RUX) in patients with primary myelofibrosis (PMF), post-polycythemia vera myelofibrosis (PPV-MF), or post-essential thrombocythemia (post-ET) with anemia and no prior exposure to Janus kinase inhibitors (JAKi), from the perspective of the Brazilian private healthcare system. **Methods:** In the SIMPLIFY-1 study, MMB demonstrated non-inferiority compared with RUX regarding the primary endpoint of spleen volume reduction and showed clinically relevant benefits in anemia management. Therefore, a cost-minimization analysis (CMA) and a budget impact analysis (BIA) were conducted comparing MMB with RUX. Treatment costs were adjusted for the frequencies of doses used in the SIMPLIFY-1 study, as well as associated therapies, subsequent therapies, transfusions, and adverse-event management. An alternative scenario was explored considering the lowest-strength RUX formulation in treatment dose composition. Cost inputs were obtained from official Brazilian sources (CMED and CBHPM). The timeframe was 120 months, and costs were discounted at an annual rate of 5%. **Results:** In the baseline scenario, MMB showed savings of R\$ 113,221.35 per patient compared to RUX. In the alternative scenario, which incorporated the lowest-strength RUX formulation, MMB showed savings of R\$ 807,923.33 per patient. BIA estimated savings of R\$ 1.2 million in the first year, reaching R\$ 11.0 million in the fifth year, with cumulative savings of R\$ 28.8 million over five years as MMB adoption increased. **Conclusions:** The analysis demonstrated that MMB is a cost-minimizing option compared with RUX and may generate increasing savings from the first year onward as adoption expands within the Brazilian private healthcare system. These savings are associated with a reduced need for blood transfusions and lower drug acquisition costs.

Keywords: Momelotinib; Ruxolitinib; myelofibrosis; anemia; cost-minimization analysis; budget impact; Brazilian private healthcare system.

Introdução

A mielofibrose (MF) é uma neoplasia mieloproliferativa, Philadelphia negativa, crônica e progressiva, associada a elevada morbimortalidade e importante comprometimento da qualidade de vida relacionada à saúde (QVRS) (Tefferi et al., 2023; Mesa et al., 2022). Pode se apresentar como mielofibrose primária (MFP) ou secundária à policitemia vera (MF pós-PV) ou trombocitemia essencial (MF pós-TE) (Bose et al., 2018). A doença é caracterizada pela desregulação da via JAK-STAT, inflamação sistêmica, fibrose progressiva da medula óssea, hematopoiese extramedular e esplenomegalia, resultando em citopenias, sintomas constitucionais e complicações sistêmicas (Ritchie et al., 2022; Pemmaraju et al., 2022).

A anemia é uma das manifestações clínicas mais frequentes da MF e um importante fator prognóstico adverso, representando uma das principais necessidades médicas não atendidas na doença. Sua relevância é refletida pela inclusão da anemia nos principais sistemas prognósticos da MF, como o DIPSS e o MIPSS (Tefferi et al., 2023; Chifotides et al., 2022; Tefferi et al., 2021).

Cerca de 40% dos pacientes com MF apresentam anemia no diagnóstico, proporção que aumenta ao longo da evolução da doença, com uma parcela expressiva evoluindo para dependência transfusional (DT) (Gerds et al., 2022; Naymagon et al., 2017). DT e anemia estão associadas a piores sobrevida e QVRS, além de aumentarem as complicações e custos hospitalares (Mesa, et al., 2022; Naymagon et al., 2017; Elena et al., 2011).

Em relação as opções terapêuticas, o transplante alogênico de células tronco hematopoiéticas é a única terapia potencialmente curativa, mas apresenta restrições como a idade, comorbidades e morbidade elevada (Passamonti, et al., 2022; Tribelli et al., 2020). Já o tratamento farmacológico baseia-se em inibidores de JAK (JAKi) que tem como principal objetivo o controle dos sintomas constitucionais e da esplenomegalia. O ruxolitinibe (RUX), primeiro aprovado, reduz a esplenomegalia e melhora os sintomas (Harrison et al., 2012; Verstovsek et al., 2012). Contudo, não trata a fisiopatologia da anemia e pode agravá-la, especialmente durante as primeiras semanas de tratamento, quando é comum observar redução dos níveis de hemoglobina. Esse efeito pode exigir suporte transfusional e ajustes de dose, potencialmente comprometendo a efetividade do tratamento (Chifotides, et al., 2022;

Passamonti, et al., 2022; Palandri et al., 2021; Gupta et al., 2016). Adicionalmente, as terapias atuais para anemia na MF (estimuladores da eritropoiese, andrógenos, imunomoduladores e transfusões) têm eficácia limitada, transitória ou alta toxicidade, mantendo elevada a carga clínica, humanística e econômica da doença (Naymagon et al., 2017; Passamonti et al., 2022).

Dessa forma, apesar dos avanços com os JAKis, a MF apresenta necessidades médicas não atendidas e nesse cenário, o momelotinibe (MMB), inibidor oral de JAK1/JAK2 e ACVR1, apresenta um mecanismo de ação diferente, capaz de atuar simultaneamente sobre as 3 principais manifestações: sintomas constitucionais, esplenomegalia e anemia (Verstovsek et al., 2021).

O estudo pivotal de fase 3, SIMPLIFY-1, que avaliou a eficácia e segurança de MMB foi conduzido em pacientes sem exposição prévia a JAKi. Neste estudo, MMB demonstrou não inferioridade em relação ao RUX no desfecho primário de redução do volume esplênico na semana 24 (SRR24) com uma diferença de proporções para não inferioridade de 0,09; IC95% 0,02–0,16; $p=0,011$). Além disso, sugeriu que o MMB é superior ao RUX quanto a diminuição na demanda transfusional, devido a redução na incidência de anemia. Mais pacientes no grupo MMB atingiam independência transfusional (IT) na semana 24 (66,5%) em relação ao grupo RUX (49,3%; P nominal $<0,001$) (Mesa et al., 2017).

Adicionalmente, a análise de Mesa et al. (2022) apresentou os dados de sobrevida global (SG) do estudo SIMPLIFY-1. Com uma mediana de acompanhamento de 3,43 anos para o grupo momelotinibe (MMB) e 3,47 anos para o ruxolitinibe (RUX), registraram-se os óbitos de 66 (30,8%) e 73 (33,8%) pacientes, respectivamente — destacando que o último grupo realizou crossover para o MMB. Tanto a SG quanto a sobrevida livre de leucemia (SLL) foram comparáveis entre os braços (SG: HR=1,02; IC95%: 0,73-1,43; SLL: HR=1,08; IC95%: 0,78-1,50). Com distribuições de sobrevida semelhantes aos 2, 4 e 6 anos foram de 81,6%, 62,9% e 56,5% com MMB, versus 80,6%, 64,4% e 52,7% com RUX; já as taxas de SLL nos mesmos períodos foram de 80,7%, 59,7% e 53,6% no braço MMB, comparadas a 79,3%, 63,8% e 52,2% no braço RUX.

Nesse contexto, considerando a eficácia comparável entre MMB e RUX em um desfecho central no tratamento da mielofibrose (redução do volume esplênico), foi

conduzida uma análise de custo-minimização (ACM), no tratamento de pacientes com MF sem exposição prévia a JAKis, com o objetivo de estimar o impacto econômico da adoção do MMB em comparação ao RUX sob a perspectiva do sistema de saúde suplementar Brasileiro.

Métodos

Estrutura do modelo

Foi desenvolvido um modelo de custo-minimização do tipo Markov para estimar os custos acumulados de pacientes com mielofibrose, tratados com MMB ou RUX em um horizonte temporal de 10 anos no cenário da saúde suplementar brasileira. Após a descontinuação do tratamento ativo, todos os pacientes passaram a receber a mesma terapia subsequente [melhor tratamento disponível (MTD)], independentemente da terapia inicial com RUX ou MMB, de modo que a terapia subsequente não gerasse desbalanceamento na análise.

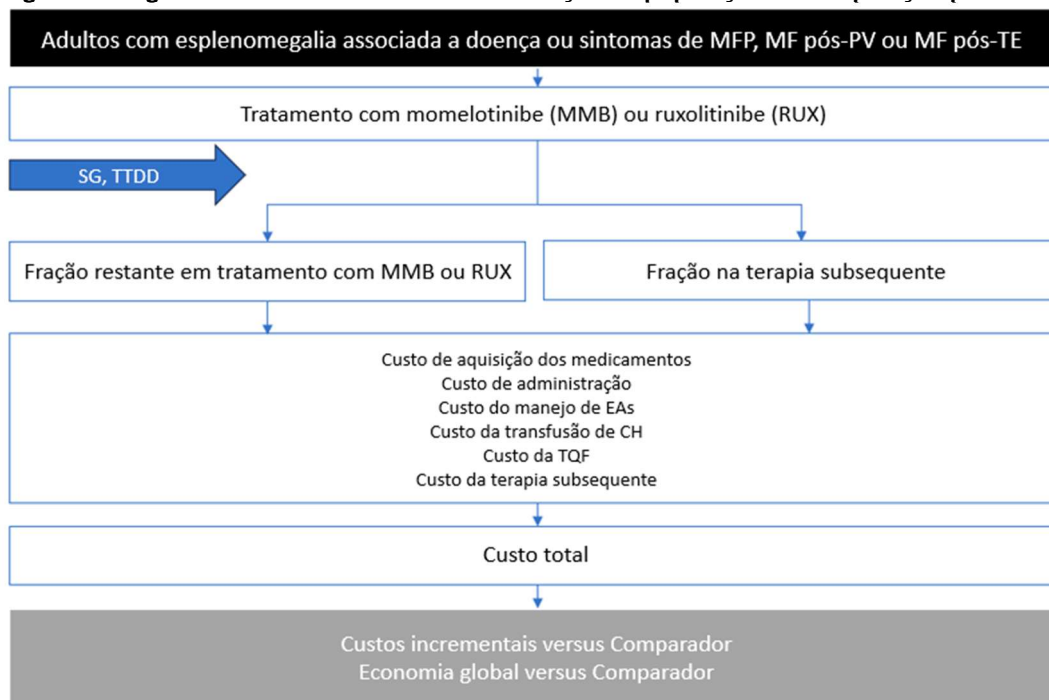
A composição do MTD do estudo SIMPLIFY-2 foi usada no modelo como base para as distribuições de tratamento subsequente. Os regimes de MTD incluíam: RUX, quimioterapia (por exemplo, hidroxiureia), anagrelida, corticosteroides, fator de crescimento hematopoético, agentes imunomoduladores, andrógeno (danazol) e interferon.

Os estados de saúde foram definidos com base no tempo até a descontinuação do tratamento ou morte (TTDD) e na sobrevida global (SG). A descontinuação e a mortalidade foram modeladas por meio de taxas constantes derivadas de ensaios clínicos.

As taxas de TTDD e os dados de SG foram extraídos do estudo SIMPLIFY-1, que demonstrou SG comparável entre MMB e RUX. Evidências adicionais provenientes de revisão sistemática e meta-análise em rede não indicaram diferenças estatisticamente significativas entre os fármacos quanto ao desfecho primário dos estudos clínicos, a redução do volume esplênico. Assim, considerando ainda que pertencem à mesma classe terapêutica, assumiu-se equivalência de eficácia clínica, adotando-se como premissa valores equivalentes de SG e TTDD entre MMB e RUX no modelo.

A estrutura do modelo de custo-minimização é mostrada na Figura 1.

Figura 1. Diagrama do modelo de custo-minimização da população sem exposição prévia a JAKi.



Nota: MFP: mielofibrose primária; MF pós-PV: mielofibrose pós-policitemia vera; MF pós-TE: mielofibrose pós-trombocitose essencial; SG: sobrevida global; TTDD: tempo para descontinuação do tratamento ou morte (time to treatment discontinuation or death); EAs: eventos adversos; CH concentrado de hemácias; TQF: terapia de quelação de ferro. A TQF não foi considerada na presente análise dada a sua dispensação via Ministério da Saúde, uma vez que a perspectiva considerada é a da Saúde Suplementar.

Uso de recursos e custos

Foram considerados todos os custos relevantes que podem diferir entre as alternativas, incluindo: aquisição dos medicamentos, transfusões de concentrado de hemácias, manejo eventos adversos grau ≥ 3 que ocorreram em pelo menos 5% dos pacientes (restringindo a análise aos eventos com complicações de maior relevância clínica e impacto econômico) e terapias subsequentes. Os custos relacionados ao manejo geral da doença foram assumidos equivalentes entre os grupos e, portanto, excluídos. Custos indiretos também não foram incluídos na análise.

Para a valoração dos recursos utilizados, foram utilizadas as seguintes fontes de referência:

- **Medicamentos:** Preço Fábrica (PF) com ICMS de 18%, conforme a lista da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED) de junho de 2026.
- **Procedimentos e Materiais:** Tabelas da Classificação Brasileira Hierarquizada de Procedimentos Médicos (CBHPM) porte 2024.

Para o cálculo do custo de tratamento, foram consideradas as posologias descritas em bula e ajustadas à distribuição das doses utilizadas de MMB e RUX no estudo SIMPLIFY-1, resultando em doses equivalentes a 90,2% da dose inicial de MMB e 70% da dose inicial de RUX (Gupta et al., 2020). O custo unitário das transfusões de hemácias foi de R\$ 3.252,87, conforme tabela CBHPM, porte 2024. No cenário base, foram consideradas as apresentações dos medicamentos que mais se adequassem à dose utilizada de cada produto.

Em um cenário alternativo foi explorado o uso da apresentação de 5 mg de RUX na composição das doses de tratamento, dada a frequente necessidade de ajustes posológicos ao longo da terapia, especialmente para o manejo da anemia. Como os custos não são proporcionais e equivalentes entre as diferentes apresentações e concentrações disponíveis, essa variação pode impactar o custo total do tratamento.

O custo unitário (PF18) das apresentações de MMB e RUX é apresentado na Tabela 1.

Tabela 1. Custo unitários das apresentações disponíveis de MMB e RUX

Tratamento	Dose do comprimido (mg)	Comprimidos por Caixa	Preço Caixa (R\$)	Fonte
Momelotinibe	100	30	R\$17.070,69	CMED
Momelotinibe	150	30	R\$25.606,03	CMED
Momelotinibe	200	30	R\$34.141,37	CMED
Ruxolitinibe	5	60	R\$19.407,06	CMED
Ruxolitinibe	10	60	R\$ 27.432,64	CMED
Ruxolitinibe	15	60	R\$34.985,42	CMED
Ruxolitinibe	20	60	R\$34.985,42	CMED

Nota: Preços conforme tabela CMED, de junho de 2026, considerando o PF18%.

Taxa de desconto

Uma vez que a análise excede o período de um ano, aplicou-se uma taxa de desconto de 5% ao ano sobre os custos. A aplicação dessa taxa de desconto empregada neste modelo segue as recomendações das Diretrizes Metodológicas para Estudos de Avaliação Econômica de Tecnologias em Saúde (Brasil, 2026).

Análise de sensibilidade

Um importante elemento em um estudo econômico para a tomada de decisão é a quantificação de incerteza envolvida nos seus resultados e a identificação das variáveis que mais afetam essa incerteza. Portanto, foram realizadas análises de sensibilidade univariadas para melhor compor o resultado da análise.

Impacto orçamentário

A análise de impacto orçamentário (AIO) teve como objetivo estimar as consequências econômicas da incorporação de MMB em um cenário sem a adoção de MMB para MF de risco intermediário ou alto em adultos com anemia na saúde suplementar brasileira.

O impacto econômico foi determinado pela estimativa do número de pacientes elegíveis e dos custos associados a cada tratamento nos seguintes cenários:

- Cenário base – sem a utilização de MMB
- Cenário proposto – com a adoção de MMB

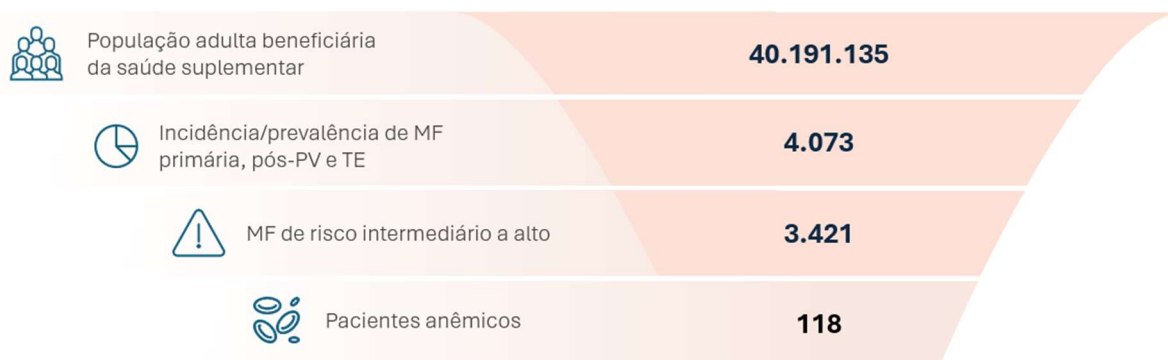
Os parâmetros de custo incluídos foram os mesmos avaliados na ACM e os custos indiretos foram excluídos da análise. Os resultados são expressos em termos de impacto orçamentário incremental sob um horizonte temporal de cinco anos.

Para a estimativa de pacientes elegíveis ao regime MMB, foi considerada uma série histórica do número de adultos da população brasileira coberta pela saúde suplementar (ANS tabnet). A partir dessa base, realizou-se uma projeção para os cinco anos do horizonte de análise utilizando o método de regressão linear.

Com base nessa estimativa populacional, foram aplicados parâmetros epidemiológicos referentes à incidência de MFP, PV e TE, bem como às taxas de transformação fibrótica em pacientes com PV e TE que evoluíram para MF secundária (Titmarsh et al., 2014; Tefferi et al., 2014). Adicionalmente, foram consideradas as proporções de pacientes diagnosticados nos grupos de risco intermediário-1, intermediário-2 e alto risco segundo a ferramenta DIPPS, além da fração de pacientes anêmicos (hemoglobina [Hb] < 10 g/dL) (Tefferi et al., 2012; Passamonti et al., 2010; Verstovsek et al., 2020).

Assim foram estimados no primeiro ano 118 novos pacientes com MF de risco intermediário e alto com anemias elegíveis ao tratamento com MMB (Figura 2).

Figura 2. Pacientes elegíveis ao tratamento com MMB



Com base na população elegível, realizou-se uma projeção para o cenário proposto, considerando uma taxa de adoção gradual de MMB de 20% ao ano até atingir 100% no quinto ano. Adicionalmente foram explorados cenários de adoção conservador e otimista com uma variação de $\pm 10\%$ sobre essas taxas, permitindo mapear a amplitude do impacto orçamentário.

Resultados

A Tabela 2 apresenta o cenário base e as economias potenciais associadas à adoção de MMB em comparação ao RUX. A principal economia foi observada nas transfusões de concentrado de hemácias, estimada em R\$ 95.575,89, seguida pelos custos de aquisição de medicamentos, com redução de R\$ 14.380,20. Assim, a terapia com MMB resultou em uma economia total estimada de R\$ 113.221,35 em relação ao RUX ao longo de um horizonte temporal de 10 anos.

Tabela 2. Resultado da análise de custo-minimização (cenário base)

Variável	MMB	RUX	Diferença
Aquisição de Medicamentos	R\$781.522,27	R\$795.902,48	-R\$ 14.380,20
Transfusão de Concentrado de Hemácias	R\$159.654,81	R\$255.230,70	-R\$ 95.575,89
Eventos Adversos	R\$10.190,54	R\$13.455,79	-R\$ 3.265,25
Tratamento Subsequente	R\$682.060,77	R\$682.060,77	R\$ 0,00
Custo Total	R\$1.633.428,39	R\$1.746.649,74	-R\$ 113.221,35

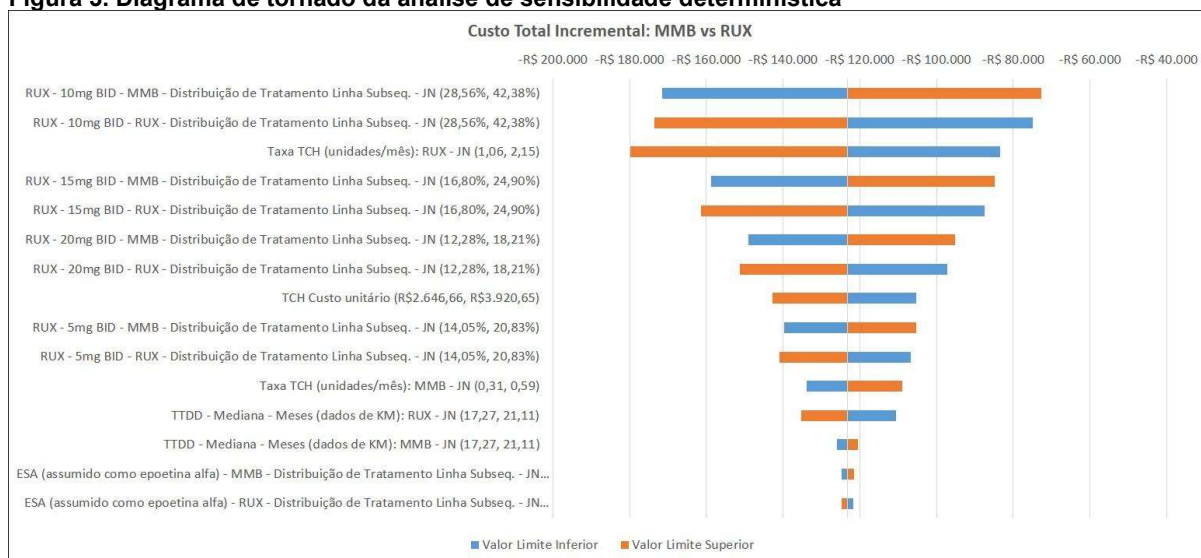
No cenário alternativo, considerando a utilização da apresentação de menor concentração de RUX (5mg x 60 comprimidos) para compor as doses de tratamento, observou-se um aumento substancial no custo de tratamento de RUX (Tabela 1). Nesse contexto, MMB apresentou uma economia total estimada de R\$ 807.923,33 ao longo de 10 anos (Tabela 3).

Tabela 3. Resultado da análise de custo-minimização (cenário alternativo)

Variável	MMB	RUX	Diferença
Aquisição de Medicamentos	R\$781.522,27	R\$1.490.604,45	-R\$ 709.082,18
Transfusão de Concentrado de Hemácias	R\$159.654,81	R\$255.230,70	-R\$ 95.575,89
Eventos Adversos	R\$10.190,54	R\$13.455,79	-R\$ 3.265,25
Tratamento Subsequente	R\$1.084.535,41	R\$1.084.535,41	R\$ 0,00
Custo Total	R\$2.035.903,04	R\$2.843.826,36	-R\$ 807.923,33

Análise de sensibilidade univariada

A análise de sensibilidade determinística univariada é mostrada na Figura 3 para quantificar a incerteza encontrada no resultado. Observa-se que nenhum parâmetro altera a conclusão de que o MMB é custo-minimizador em relação ao RUX, mesmo nas variáveis com maior amplitude de impacto no resultado.

Figura 3. Diagrama de tornado da análise de sensibilidade determinística

Legenda: MMB: momelotinibe; RUX: ruxolitinibe; TCH: taxa de concentrado de hemácias; TTDD: tempo para descontinuação ou morte.

Impacto Orçamentário

Os resultados da AIO apresentados na Tabela 4 mostraram economia progressiva ao longo do período analisado, acompanhando o aumento anual de 20% na adoção de MMB. Estimou-se R\$ 1,2 milhões de economia no primeiro ano, atingindo R\$ 11 milhões no quinto ano e R\$ 28 milhões acumulados em cinco anos de economia. Nos cenários conservador e otimista a economia estimada acumulada em cinco anos foi de R\$ 23,4 e 32,1 milhões respectivamente.

Tabela 4. Resultado da análise de impacto orçamentário

	2026	2027	2028	2029	2030	Acumulado
Custos no cenário atual						
Gasto com RUX	R\$ 48.816.953	R\$ 89.044.288	R\$ 123.373.193	R\$ 152.900.974	R\$ 178.520.546	R\$ 592.655.954
Gasto com MMB	R\$ 0	R\$ 0	R\$ 0	R\$ 0	R\$ 0	R\$ 0
Total	R\$ 48.816.953	R\$ 89.044.288	R\$ 123.373.193	R\$ 152.900.974	R\$ 178.520.546	R\$ 592.655.954
Custos no cenário proposto						
Gasto com RUX	R\$ 38.888.081	R\$ 61.088.857	R\$ 70.316.402	R\$ 68.416.676	R\$ 56.891.460	R\$ 295.601.475
Gasto com MMB	R\$ 8.747.256	R\$ 24.884.783	R\$ 47.647.846	R\$ 76.399.037	R\$ 110.604.039	R\$ 268.282.960
Total	R\$ 47.635.337	R\$ 85.973.639	R\$ 117.964.247	R\$ 144.815.713	R\$ 167.495.499	R\$ 563.884.436
Impacto orçamentário	-R\$ 1.181.616	-R\$ 3.070.649	-R\$ 5.408.945	-R\$ 8.085.261	-R\$ 11.025.048	-R\$ 28.771.519

Adicionalmente, o cenário alternativo (com a utilização da apresentação de menor concentração de RUX) de adoção de momelotinibe estimou uma economia acumulada em 5 anos de aproximadamente R\$ 202,6 milhões. Com economia estimada nos cenários de adoção conservador e otimista de R\$ 164,7 e 233,7 milhões, respectivamente.

Discussão

AACM demonstrou que o tratamento com MMB pode gerar economia relevante principalmente em função da menor necessidade de transfusões de concentrado de hemácias, um desfecho de grande relevância clínica no manejo da MF. Esse parâmetro conferiu uma economia estimada de R\$ 95,5 mil ao longo de um horizonte de 10 anos.

Além disso MMB apresentou no custo de aquisição medicamentosa uma economia estimada de aproximadamente R\$ 14,4 mil a R\$ 709,1 mil ao longo de 10 anos. Essa variação está relacionada principalmente às diferenças no custo entre as diferentes apresentações de RUX, nas quais não há proporcionalidade entre o preço e a concentração do medicamento.

A apresentação de menor concentração apresenta custo por miligrama aproximadamente 2,2 vezes superior ao da apresentação de maior concentração. Esse cenário é relevante na prática clínica, dada a frequente necessidade de ajustes de dose de RUX no tratamento da MF e o uso de apresentações de menor concentração já no início da terapia, em função de evidências que demonstram alta necessidade de ajuste nas primeiras semanas de tratamento (Gupta et al., 2020).

Os resultados desta análise foram fundamentados nos dados clínicos do estudo pivotal de fase 3 SIMPLIFY-1, que demonstrou eficácia comparável no desfecho primário de controle da esplenomegalia e benefícios clínicos relevantes em desfechos relacionados à anemia. Pacientes tratados com MMB apresentaram maior taxa de independência transfusional na semana 24 em comparação ao RUX (66,5% vs. 49,3%; p nominal <0,001) e menor proporção de dependência transfusional (30,2% vs. 40,1%; p nominal = 0,019), resultados que corroboram a economia estimada e observada na análise de custo-minimização. Ainda, análises adicionais exploratórias sugerem que a independência transfusional foi associada a uma melhor SG (Elena et al., 2011).

Por fim, a AIO demonstrou potencial economia associada à utilização do MMB no sistema de saúde suplementar brasileiro, estimada em aproximadamente R\$ 1,2 milhão a partir do primeiro ano e alcançando R\$ 28,8 milhões de economia acumulada em cinco anos.

Limitações

Como limitações desta análise econômica, destacam-se a ausência de dados de vida real da população brasileira, a utilização do preço fábrica como referência e as incertezas inerentes às projeções de “*market share*” da nova tecnologia.

Conclusões

Portanto, os resultados da análise econômica, aliados às evidências clínicas do estudo SIMPLIFY-1, reforçam o papel potencial do MMB como alternativa terapêutica relevante para pacientes com MF e com ganhos econômicos importantes relacionados à anemia e à necessidade transfusional e ao menor custo de aquisição medicamentosa podendo assim contribuir para uma alocação mais eficiente de recursos no sistema de saúde, particularmente em um contexto de restrição orçamentária.

Financiamento

Este estudo foi patrocinado pela GSK (Identificador do estudo: 309362)

Agradecimentos

Os autores agradecem à Costello Medical pela assistência editorial e coordenação da publicação, em nome da GSK.

Contribuições dos Autores

Contribuições substanciais para a concepção e desenho do estudo: ST, TS, PM, GB, MA, RR, LS; contribuições substanciais para a análise e interpretação dos dados: ST, TS, PM, GB, MA, RR, LS; redação do artigo ou revisão crítica de conteúdo intelectual importante: ST, TS, PM, GB, MA, RR, LS; aprovação final da versão do artigo a ser publicada: ST, TS, PM, GB, MA, RR, LS.

Conflitos de Interesse

ST, TS, MA: Funcionários da GSK. PM: Recebeu pagamento ou honorários por palestras, apresentações, comitês de palestrantes (speakers bureaus), redação de manuscritos ou eventos educacionais da Amgen, Janssen, BMS, Takeda, Kite, Novartis, Lilly, GSK, MSD e Pfizer; recebeu apoio para comparecer a reuniões e/ou despesas de viagem da Abbvie, Zodiac, Janssen, Kite, GSK e MSD; participou de um Comitê de Monitoramento de Segurança de Dados (Data Safety Monitoring Board) ou Conselho Consultivo (Advisory Board) para Kite, Janssen e Pfizer. GB: Funcionário da

GSK e detém ações financeiras na empresa. RR: Recebeu taxas de consultoria da Amgen, Pfizer, Roche, GSK, Sanofi, Abbott, Gilead, BMS, Janssen, AstraZeneca e Biogen. LS: Nenhum conflito de interesse a declarar.

Referências Bibliográficas

1. Tefferi A. Primary myelofibrosis: 2023 update on diagnosis, risk-stratification, and management. *Am J Hematol* 2023;98(5):801-821. DOI: 10.1002/ajh.26857.
2. Mesa R, Harrison C, Oh ST, et al. Overall survival in the SIMPLIFY-1 and SIMPLIFY-2 phase 3 trials of momelotinib in patients with myelofibrosis. *Leukemia* 2022;36(9):2261-2268. DOI: 10.1038/s41375-022-01637-7.
3. Bose P, Verstovsek S. Management of Myelofibrosis-Related Cytopenias. *Curr Hematol Malig Rep* 2018;13(3):164-172. (In eng). DOI: 10.1007/s11899-018-0447-9.
4. Ritchie E, Al-Janadi A, Kessler C, et al. Patient-reported outcomes of patients with myelofibrosis or essential thrombocythemia enrolled in the MOST study. *Leuk Lymphoma* 2022;63(13):3138-3153. DOI: 10.1080/10428194.2022.2113531.
5. Pemmaraju N, Verstovsek S, Mesa R, et al. Defining disease modification in myelofibrosis in the era of targeted therapy. *Cancer* 2022;128(13):2420-2432. DOI: 10.1002/cncr.34205.
6. Chifotides HT, Bose P, Verstovsek S. Momelotinib: an emerging treatment for myelofibrosis patients with anemia. *J Hematol Oncol* 2022;15(1):7. (In eng). DOI: 10.1186/s13045-021-01157-4.
7. Tefferi A. Primary myelofibrosis: 2021 update on diagnosis, risk-stratification and management. *Am J Hematol* 2021;96(1):145-162. DOI: 10.1002/ajh.26050.
8. Gerds AT, Harrison C, Thompson S, Snopek F, Pemmaraju N. The Burden of Illness and the Incremental Burden of Transfusion Dependence in Myelofibrosis in the United States. *Blood* 2022; 140:3974-3975. (Conference Abstract). DOI: 10.1182/blood-2022-162657.
9. Naymagon L, Mascarenhas J. Myelofibrosis-Related Anemia: Current and Emerging Therapeutic Strategies. *Hemasphere* 2017;1(1): e1. DOI: 10.1097/hs9.0000000000000001.

10. Elena C, Passamonti F, Rumi E, et al. Red blood cell transfusion-dependency implies a poor survival in primary myelofibrosis irrespective of IPSS and DIPSS. *Haematologica* 2011;96(1):167-70. (In eng). DOI: 10.3324/haematol.2010.031831.
11. Passamonti F, Harrison CN, Mesa RA, et al. Anemia in myelofibrosis: Current and emerging treatment options. *Crit Rev Oncol Hematol* 2022;180:103862. DOI: 10.1016/j.critrevonc.2022.103862.
12. Tribelli M, Palandri F, Sant'Antonio E, et al. The role of allogeneic stem-cell transplant in myelofibrosis in the era of JAK inhibitors. *Bone Marrow Transplant* 2020;55(4):708-716. DOI: 10.1038/s41409-019-0683-1.
13. Harrison C, Kiladjian JJ, Al-Ali HK, et al. JAK inhibition with ruxolitinib versus best available therapy for myelofibrosis. *N Engl J Med* 2012;366(9):787-98. (In eng). DOI: 10.1056/NEJMoa1110556.
14. Verstovsek S, Mesa RA, Gotlib J, et al. A double-blind, placebo-controlled trial of ruxolitinib for myelofibrosis. *N Engl J Med* 2012;366(9):799-807. DOI: 10.1056/NEJMoa1110557.
15. Palandri F, Palumbo GA, Elli EM, et al. Ruxolitinib discontinuation syndrome: incidence, risk factors, and management in 251 patients with myelofibrosis. *Blood Cancer J* 2021;11(1):4. DOI: 10.1038/s41408-020-00392-1.
16. Gupta V, Harrison C, Hexner EO, et al. The impact of anemia on overall survival in patients with myelofibrosis treated with ruxolitinib in the COMFORT studies. *Haematologica* 2016;101(12): e482-e484. (In eng). DOI: 10.3324/haematol.2016.151449.
17. Verstovsek S, Chen CC, Egyed M, et al. MOMENTUM: momelotinib vs danazol in patients with myelofibrosis. *Future Oncol* 2021;17(12):1449-1458. DOI: 10.2217/fon-2020-1048.
18. ANVISA. Bula do medicamento Ojjaara (dicloridrato de momelotinibe). Brasil: Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA); aprovado em 26 out. 2025.
19. Gerds AT, Gotlib J, Ali H, et al. Myeloproliferative Neoplasms, Version 1.2025, NCCN Clinical Practice Guidelines in Oncology. *J Natl Compr Canc Netw* 2025 (In eng).

20. McLornan DP, Psaila B, Ewing J, et al. The management of myelofibrosis: A British Society for Haematology Guideline. *Br J Haematol* 2024;204(1):136-150. DOI: 10.1111/bjh.19186.
21. Mesa RA, Kiladjian JJ, Catalano JV, et al. SIMPLIFY-1: a Phase III Randomized Trial of Mometinib Versus Ruxolitinib in Janus Kinase Inhibitor-Naïve Patients With Myelofibrosis. *J Clin Oncol* 2017;35(34):3844-3850. DOI: 10.1200/JCO.2017.73.4418.
22. Gupta V, et al. MPN-148: Mometinib Dose-Intensity is Maintained in JAK Inhibitor-Naïve and Previously JAK Inhibitor-Treated Intermediate-/High-Risk Myelofibrosis Patients. *Clinical Lymphoma Myeloma and Leukemia*, 2020 Sup 1; 20: S330.
23. BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação em Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Diretrizes metodológicas: diretriz de avaliação econômica em saúde [recurso eletrônico]. 3. ed. Brasília: Ministério da Saúde, 2026.
24. AGÊNCIA NACIONAL DE SAÚDE SUPLEMENTAR (ANS). ANS TabNet: informações em saúde suplementar. 2026. Disponível em: <https://www.ans.gov.br/anstabnet/cgi-bin/dh?dados/tabnet_br.def>. Acesso em: 2 jul. 2026.
25. Titmarsh GJ, Duncombe AS, McMullin MF, et al. How common are myeloproliferative neoplasms? *Am J Hematol* 2014;89(6):581-7. DOI: 10.1002/ajh.23690.
26. Tefferi A, Guglielmelli P, Larson DR, et al. Long-term survival and blast transformation in molecularly annotated essential thrombocythemia, polycythemia vera, and myelofibrosis. *Blood* 2014;124(16):2507-13. DOI: 10.1182/blood-2014-05-579136.
27. Tefferi A, Lasho TL, Jimma T, et al. One thousand patients with primary myelofibrosis: the Mayo Clinic experience. *Mayo Clin Proc* 2012;87(1):25-33. DOI: 10.1016/j.mayocp.2011.11.001.
28. Passamonti F, Cervantes F, Vannucchi AM, et al. A dynamic prognostic model to predict survival in primary myelofibrosis. *Blood* 2010;115(9):1703-8. DOI: 10.1182/blood-2009-09-245837.

29. Verstovsek S, Yu J, Kish JK, et al. Real-world risk assessment and treatment initiation among patients with myelofibrosis. *Ann Hematol* 2020;99(11):2555-2564. DOI: 10.1007/s00277-020-04055-w.
30. Associação Médica Brasileira. Comunicado CBHPM 2024-2025 [Internet]. Disponível em: https://abcdi.org.br/wp-content/uploads/2024/12/COMUNICADO-CBHPM-2024_2025.pdf