

Recebido: 05 jun. 2025

Aceito: 22 jul. 2025

#### Autor de correspondência

Thayna Pizzocaro Gomez  
thaynapizzocaro@gmail.com

#### Como citar (Vancouver):

Pizzocaro Gomez T,  
Bulgareli JV. Efeitos  
econômicos da  
incorporação de terapias  
agnósticas oncológicas.  
J Manag Prim Health Care.  
2025;17(Esp):e024.  
[https://doi.org/  
10.14295/jmphc.v17.1495](https://doi.org/10.14295/jmphc.v17.1495).

#### Contribuição autoral:

Autor 1: concepção do  
projeto; análise e  
interpretação dos dados;  
redação do resumo.  
Autor 2: revisão crítica  
relevante do conteúdo  
intelectual; aprovação final  
da versão a ser publicada.

#### Conflito de interesses:

Os autores declaram não  
haver nenhum interesse  
profissional ou pessoal que  
possa gerar conflito de  
interesses em relação a este  
manuscrito.

#### Copyright:

Este é um artigo  
de acesso aberto, distribuído  
sob os termos da Licença  
Creative Commons (CC-BY-  
NC). Esta licença permite  
que outros distribuam,  
remixem, adaptem e criem a  
partir do seu trabalho,  
mesmo para fins comerciais,  
desde que lhe atribuam o  
devido crédito pela criação  
original.



## Efeitos econômicos da incorporação de terapias agnósticas oncológicas

Thayna PIZZOCARO GOMEZ<sup>1</sup> <https://orcid.org/0000-0001-9300-5844>  
Jaqueline Vilela BULGARELI<sup>2</sup> <https://orcid.org/0000-0002-5632-4333>

<sup>1</sup> Universidade de São Paulo – USP, Faculdade de Saúde Pública – FSP. São Paulo, SP, Brasil.

<sup>2</sup> Universidade Federal de Uberlândia – UFU, Faculdade de Odontologia – FO. Uberlândia, MG, Brasil.

### Resumo

Dados epidemiológicos apontam que o câncer é a segunda principal causa de mortes em todo o mundo, atrás somente de doenças cardiovasculares. E ainda, as tendências apontam que pode se tornar a principal causa de morte globalmente. Em 2022 ocorreu aproximadamente 9,7 milhões de mortes por câncer em todo o mundo. A busca por novas abordagens para o tratamento do câncer é constante, visando superar os desafios associados a essa doença. O tratamento do câncer não se restringe apenas aos métodos convencionais, como quimioterapia, radioterapia e cirurgia. Nos últimos anos, abordagens como imunoterapia, terapia gênica e terapias direcionadas ganharam destaque, trazendo avanços significativos para os tratamentos. Dentre essas novas abordagens terapêuticas, as terapias agnósticas vêm ganhando relevância como uma alternativa para o tratamento de diversos tipos de câncer, especialmente para aqueles cânceres considerados raros ou para aqueles que as terapêuticas convencionais são limitadas ou ineficazes. As terapias agnósticas não se baseiam no local específico onde o câncer se origina, mas em alterações moleculares ou genéticas que podem estar presentes em diferentes tipos de tumores. Assim, elas se concentram na identificação de mutações genéticas acionáveis que são compartilhadas entre diferentes tipos de tumores, permitindo que uma mesma terapia possa combater diversos cânceres. O pembrolizumabe, um inibidor de *checkpoint* imunológico, foi a primeira terapia agnóstica aprovada pelo *Food and Drug Administration* – FDA em 2017, com indicação para o tratamento de tumores com alta instabilidade de microssatélites (MSI-H) ou deficiência de reparo de incompatibilidade (dMMR). Desde então, outras terapias agnósticas têm surgido no mercado e sido aprovadas pelo FDA, como o larotrectinibe e entrectibine (inibidores de NTKR), dostarlimabe (para cânceres dMMR/MSI-H), dabrafenibe/tranetinibe (para cânceres com mutação BRAFV600E), selpercatinibe (tumores que apresentam fusões no gene RET). Além de outras terapias em desenvolvimento. Os tipos de estudos para o desenvolvimento de terapias agnósticas, baseiam-se principalmente em estudos *basket*, que permitem investigar a eficácia de um fármaco em múltiplos tipos de tumor que compartilham um biomarcador comum. Esse tipo de estudo, no entanto, pode enfrentar desafios nas avaliações econômicas devido a potencial variabilidade nos efeitos do tratamento, amostras reduzidas de pacientes e ausência de dados comparativos (braço único). Os elevados custos dessas terapias também são outra barreira para o acesso. Diante desse cenário, este trabalho trata-se de uma revisão integrativa que tem como objetivo compreender o impacto financeiro e a viabilidade das terapias agnósticas no tratamento de cânceres, orientada pela seguinte pergunta de pesquisa: “O que a literatura científica tem produzido a respeito dos efeitos econômicos da incorporação de terapias agnósticas oncológicas?”. A partir da pergunta de pesquisa, foram definidos três polos orientadores

(Fenômeno: “Terapias Agnósticas”; População: “Pacientes Oncológicos” e Contexto: “Efeitos Econômicos”) para a construção da estratégia de busca, utilizando descritores indexados no MeSH e os operadores booleano ‘OR’ e ‘AND’. A revisão na literatura foi realizada em cinco bases de dados: Embase, PubMed, *Web of Science*, Lilacs e Google Scholar, com posterior triagem dos resultados por meio da ferramenta Rayyan. Foram incluídos artigos completos em português, inglês e espanhol, publicados a partir de 2017 (ano da primeira aprovação agnóstica pelo FDA), que contemplavam o tema e eram direcionados ao uso agnóstico das terapias. Foram excluídas publicações fora dos critérios de idioma, publicações anteriores a 2017, *abstracts*, estudos clínicos, artigos que não se referiam ao tema proposto de análise ou que não abordaram a parte econômica e/ou tratavam de uma indicação para um tumor específico. Foram identificadas 3.628 publicações, 480 duplicatas foram excluídas automaticamente, 1.297 descartadas por estarem publicadas antes de 2017, após a análise dos títulos 1.573 foram excluídas e na análise dos resumos 250 foram removidas. Para a leitura completa, foram selecionadas 18 publicações, das quais nove foram incluídas e sintetizadas. Dos estudos incluídos na análise, os tipos de estudo mais prevalentes foram avaliações de custo-efetividade e modelagens econômicas, conduzidos principalmente em países europeus, com destaque para o Reino Unido e Holanda, além de publicação dos Estados Unidos. As terapias agnósticas mais frequentemente avaliadas foram Entrectinibe e Larotrectinibe, indicadas para tumores sólidos com fusão do gene NTRK, seguidas pelo pembrolizumabe, utilizado para tumores com instabilidade de microssatélites (MSI-H) ou deficiência na enzima de reparo do DNA (dMMR). A maioria das publicações identificadas concentrou-se nos anos de 2023 e 2024, refletindo a recente expansão das discussões e do desenvolvimento dessas terapias. A análise preliminar dos nove estudos selecionados indicou que a maioria das terapias agnósticas avaliadas, apresenta custo elevado, mas com variações significativas quanto à custo-efetividade, dependendo do contexto nacional, da perspectiva adotada e do tipo tumoral avaliado. Modelos de custo-efetividade mostraram que, em países como Reino Unido e Países Baixos, algumas terapias foram consideradas custo-efetivas dentro dos limiares locais, principalmente quando não considerados os custos de testagem genética. Os estudos também destacaram a importância de abordagens metodológicas específicas para lidar com a ausência de comparadores diretos e com a heterogeneidade entre histologias, fatores que influenciam diretamente os desfechos econômicos. De forma geral, os achados evidenciam que, embora as terapias agnósticas demonstrem potencial clínico promissor validado por aprovações regulatórias, apresentam desafios econômicos relevantes à sua incorporação sustentável nos sistemas de saúde.

**Descritores:** Terapia de Alvo Molecular; Biomarcadores Tumoriais; Neoplasias; Análise Custo-Benefício.

**Descriptores:** Terapia Molecular Dirigida; Biomarcadores de Tumor; Neoplasias; Análisis Costo-Beneficio.

**Descriptors:** Molecular Targeted Therapy; Biomarkers, Tumor; Neoplasms; Cost-Benefit Analysis.