

INFORME TÉCNICO DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍAS SANITARIAS

Venetoclax + azacitidina en Leucemia Mieloide Aguda

Autores:

Equipo de Asesoría Técnica en Evaluación de Tecnologías Sanitarias

Dirección Provincial de Calidad y Evaluación Sanitaria

Ministerio de Salud Pública de la Provincia de Santa Fe

Equipo de Asesoría Técnica:

Carlos González Malla – Lucas González – Verónica Alfie

Director:

Santiago Torales

El presente informe es producto del Equipo de Asesoría Técnica de la Agencia Provincial de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (APETS), del Ministerio de Salud Pública de la Provincia de Santa Fe. La misma tiene como objeto generar informes que relevan las evidencias a nivel nacional, regional e internacional respecto a la incorporación, forma de uso, modalidades de financiamiento y políticas de cobertura de las tecnologías sanitarias, para servir de insumos en la toma de decisión de los actores sanitarios en el ámbito de la provincia de Santa Fe. Para su elaboración se consideran criterios de eficacia, seguridad, eficiencia y equidad, evaluados bajo dimensiones éticas, médicas, económicas y sociales.

Conflictos de interés: No se presentaron.

Fecha de realización: Mayo 2026

Fecha de publicación: Mayo 2026

Contacto: calidadyevaluacionsanitaria@santafe.gov.ar

RESUMEN EJECUTIVO

La leucemia mieloide aguda (LMA) constituye la forma más frecuente de leucemia aguda en adultos. En pacientes añosos o con comorbilidades el objetivo del tratamiento es paliativo basándose en la administración de agentes hipometilantes (decitabina o azacitidina, citarabina en bajas dosis) y diferentes medidas de soporte. Actualmente dentro de las estrategias terapéuticas se encuentra el uso en combinación con venetoclax, un inhibidor selectivo de la proteína BCL-2.

Evidencia de alta calidad proveniente de un solo ensayo clínico aleatorizado fase 3 doble ciego señala que, en pacientes con diagnóstico reciente de LMA de riesgo intermedio o pobre no aptos para un tratamiento intensivo debido a la edad o presencia de comorbilidades, el uso combinado de azacitidina en combinación con venetoclax podría incrementar la supervivencia global (≈ 5 meses), y la tasa de remisión completa objetiva ($\approx 20\%$) en comparación con el uso de azacitidina sola. Actualmente existe consenso entre las guías de práctica clínica en su utilización en este contexto clínico como primera línea de tratamiento, aunque también se cita en las mismas como comparador válido el uso de dosis bajas de citarabina (opción más accesible y con mayor historial de utilización).

Evaluaciones económicas provenientes de países de altos ingresos Canadá y Reino Unido mostraron que su utilización no fue considerada costo-efectiva requiriéndose descuentos sustanciales (o absolutos) en el precio de la tecnología. En el mismo sentido, diferentes agencias de evaluación de tecnologías sanitarias han recomendado su utilización solo a través de acuerdos de acceso gestionados o reducciones considerables en el precio de adquisición.

En este contexto de evidencias, podría considerarse su cobertura sólo de manera condicional y en casos que cumplan las siguientes condiciones:

- Diagnóstico reciente de LMA de riesgo intermedio o pobre;
- En combinación con azacitidina;
- Cumplir con alguno de los siguientes criterios clínicos:
 - El paciente tiene 75 años y un ECOG 0 a 2
 - El paciente tiene más de 60 años y presenta comorbilidades severas que impiden el tratamiento con quimioterapia de inducción intensiva.
- Contraindicación absoluta del uso de citarabina en bajas dosis (como primera opción accesible);
- Una reducción sustancial en el precio de los medicamentos.