



Ojjaara (momelotinibe) é aprovado pela ANVISA para pacientes com mielofibrose de risco intermediário ou alto e anemia^{1,2}

- *Ojjaara é o primeiro e único medicamento aprovado no Brasil para o tratamento de pacientes com mielofibrose de risco intermediário ou alto que apresentam anemia.^{1,2}*
- *Estima-se que aproximadamente 44% dos pacientes com mielofibrose são anêmicos ao diagnóstico e quase todos desenvolverão anemia ao longo da doença. A anemia severa pode levar à necessidade de transfusão sanguínea, o que está associado à menor sobrevida e prognóstico desfavorável.³⁻⁵*
- *Ojjaara atua nas principais manifestações da mielofibrose, incluindo alívio dos sintomas constitucionais, redução da esplenomegalia e melhora da anemia, reduzindo a necessidade transfusional.^{6,7}*

A GSK comunica a aprovação de Ojjaara (momelotinibe) pela ANVISA para o tratamento de mielofibrose de risco intermediário ou alto, incluindo mielofibrose primária ou secundária (pós-policitemia vera e pós-trombocitemia essencial), em adultos com anemia, publicado no Diário Oficial da União no dia 10 de março de 2025.^{1,2}

Ojjaara é um inibidor oral de JAK1/JAK2 e do receptor activina A do tipo 1 (ACVR1), administrado uma vez ao dia. Até o momento, é o único medicamento aprovado para pacientes com mielofibrose que apresentam anemia, abordando as principais manifestações da doença: anemia, sintomas constitucionais e esplenomegalia.^{1,6,7,8}

A mielofibrose é um tipo de câncer hematológico raro caracterizado pela proliferação clonal de células-tronco, frequentemente associada a mutações nos genes *JAK2*, *CALR* ou *MPL*, que desregulam a produção de células sanguíneas e resultam em fibrose na medula óssea, fazendo parte do grupo de neoplasias mieloproliferativas. A maioria dos pacientes tem em média 65 anos ou mais no momento do diagnóstico e apresenta doença de risco intermediário ou alto.⁸⁻¹⁰

“A mielofibrose é uma neoplasia maligna do sistema hematopoiético que tem uma progressão lenta e muitas vezes pode ser assintomática no início. No entanto, na maioria dos casos, é acompanhada de fraqueza crescente, anemia e aumento do baço, além de alterações no hemograma,” explica o Dr. Renato Tavares, professor adjunto de hematologia da faculdade de medicina da Universidade Federal de Goiás (UFG). “É uma doença rara e mais comum em idosos, mas pode atingir pessoas mais jovens. Por isso, a conscientização é essencial para o diagnóstico precoce e melhor manejo dos casos”.

A mielofibrose pode resultar em contagens sanguíneas extremamente baixas, resultando em anemia e trombocitopenia, além de sintomas como fadiga, sudorese noturna, dor óssea e esplenomegalia, afetando significativamente a qualidade de vida do paciente. Aproximadamente 44% dos pacientes apresentam anemia moderada a



grave no momento do diagnóstico e potencialmente, 100% dos pacientes com mielofibrose irão desenvolver anemia em algum momento do curso da doença. A maioria deles, se tornará dependente de transfusões sanguíneas, o que está associado a menor taxa de sobrevida e prognóstico desfavorável.^{3,4,5,12}

“A aprovação de momelotinibe representa um marco significativo para esses pacientes, como o único tratamento disponível que vai além do controle dos sintomas da doença, atuando na melhora da anemia,” afirma Fabio Lawson, Diretor Médico da GSK Brasil. “Estamos entusiasmados em oferecer aos pacientes brasileiros uma opção terapêutica eficaz, que atende a uma necessidade médica urgente, visando melhorar as manifestações desse tipo de neoplasia de difícil tratamento e com poucas opções terapêuticas disponíveis no país.”

“O momelotinibe é uma opção de tratamento que atenderá a um nicho que, até o momento, estava desassistido no Brasil. Além de melhorar a anemia, ele reduz a necessidade transfusional, que é um fator crítico para esses pacientes, já que a politransfusão aumenta o risco de infecções e compromete tratamentos como o transplante alogênico de medula,” afirma o Dr. Renato Tavares. “A aprovação pela Anvisa é um passo importante, mas precisamos garantir que, no futuro, o medicamento esteja disponível tanto no sistema público de saúde quanto nos convênios.”

Estudos clínicos

A aprovação de momelotinibe pela ANVISA baseia-se nos resultados dos estudos SIMPLIFY-1 e MOMENTUM, ambos de fase III. O estudo SIMPLIFY-1 avaliou o uso de momelotinibe comparado diretamente ao ruxolitinibe em pacientes adultos com mielofibrose primária ou secundária sem histórico prévio de uso de outros inibidores da JAK. Confirmou-se a eficácia de momelotinibe em comparação ao ruxolitinibe, com uma redução da resposta esplênica na semana 24 observada em 26,5% dos pacientes que fizeram uso de momelotinibe. A taxa de independência transfusional na semana 24 foi de 67% no grupo momelotinibe comparado a 49% no grupo ruxolitinibe, sendo associado com uma melhora da sobrevida global.⁷

Ao analisar os resultados, o Dr. Renato Tavares diz que “de forma geral, os estudos demonstraram que momelotinibe é equivalente ao ruxolitinibe em termos de controle dos sintomas da mielofibrose, mas se destaca por oferecer benefícios significativos na melhora da anemia e na redução da necessidade de transfusões”.

Consistente com os resultados da população total do grupo momelotinibe incluída no estudo SIMPLIFY-1, houve um aumento ou manutenção da taxa de independência transfusional com melhora da taxa de sobrevida para aquele subgrupo de pacientes do momelotinibe que eram anêmicos no início do estudo (Hb < 10 g/dL).¹¹

O estudo MOMENTUM foi desenhado para avaliar a segurança e a eficácia do momelotinibe em comparação com danazol no tratamento e redução das principais manifestações da mielofibrose em uma população anêmica, sintomática e previamente tratada com inibidores de JAK. O estudo alcançou todos os desfechos primários e secundários, demonstrando resposta estatisticamente significativa favorecendo o grupo de pacientes que receberam o momelotinibe em relação aos sintomas constitucionais (25% momelotinibe vs 9% danazol), independência de transfusão (30% momelotinibe



vs 20% danazol) e resposta esplênica (39% momelotinibe vs 6% danazol) quando comparado com o grupo que recebeu o danazol.⁶

“Essa é uma conquista importante para os pacientes brasileiros, especialmente aqueles que não tinham nenhuma alternativa terapêutica disponível para tratar a anemia associada à mielofibrose”, finaliza o Dr. Renato Tavares.

“Estamos empenhados em ampliar o acesso a terapias transformadoras no Brasil. A aprovação de momelotinibe reforça nosso compromisso de oferecer soluções inovadoras para áreas de alta necessidade médica, marcando o retorno da GSK na Onco-Hematologia,” destaca Patrick Eckert, Presidente da GSK Brasil. “Continuaremos investindo para que novas opções de tratamento estejam à disposição dos pacientes e profissionais de saúde brasileiros, proporcionando avanços que melhorem a qualidade de vida e o prognóstico dos pacientes com mielofibrose e outras doenças”.

Sobre OJJAARA (momelotinibe)

Ojjaara atua com mecanismo de ação duplo, inibindo as quinases JAK1 e JAK2, o que diminui a fosforilação das proteínas STAT e resulta na redução da inflamação e dos sintomas constitucionais da mielofibrose. Além disso, Ojjaara também age como inibidor do ACVR1, levando à redução da secreção de hepcidina, com o consequente aumento da disponibilidade de ferro e promovendo a eritropoiese na medula óssea, agindo diretamente na anemia.^{6,7}

Sobre mielofibrose

A mielofibrose é um tipo de câncer hematológico raro caracterizado pela proliferação clonal de células-tronco, frequentemente associada a mutações nos genes JAK2, CALR ou MPL, que desregulam a produção de células sanguíneas e resultam em fibrose na medula óssea, fazendo parte do grupo de neoplasias mieloproliferativas. A maioria dos pacientes tem 65 anos ou mais no momento do diagnóstico e apresenta doença de risco intermediário ou alto.^{3-4,9,10}

Sobre o estudo clínico SIMPLIFY-1

O SIMPLIFY-1 foi um estudo multicêntrico, randomizado, duplo-cego e de fase III que comparou a segurança e eficácia do momelotinibe vs. ruxolitinibe em pacientes com mielofibrose que não haviam recebido tratamento prévio com inibidores de JAK (JAK naive). A eficácia do momelotinibe no tratamento de pacientes com mielofibrose no SIMPLIFY-1 foi baseada na resposta do volume esplênico (redução de 35% ou mais). Foi observada uma melhora da sobrevida global nos pacientes do grupo momelotinibe que alcançaram ou mantiveram a independência transfusional na semana 24.^{7,11}



Sobre o estudo clínico pivotal MOMENTUM

O MOMENTUM foi um estudo de fase III, global, multicêntrico, randomizado e duplo-cego que investigou momelotinibe em comparação com danazol em pacientes com mielofibrose que eram sintomáticos e anêmicos e já haviam sido tratados previamente com inibidor de JAK. O estudo foi desenhado para avaliar a segurança e a eficácia do momelotinibe visando tratar e reduzir os principais aspectos da doença: sintomas constitucionais, transfusões de sangue (devido à anemia) e esplenomegalia. Os resultados do período de tratamento de 24 semanas foram apresentados na Reunião Anual da American Society of Clinical Oncology (ASCO) de 2022 e publicados posteriormente na [The Lancet](#)⁷

GSK na Onco-Hematologia

A GSK está comprometida em maximizar a sobrevida e qualidade de vida dos pacientes por meio de medicamentos transformacionais, com foco atual em avanços em imunooncologia e terapias direcionadas a células tumorais.

Sobre a GSK

A GSK é uma biofarmacêutica multinacional, presente em mais de 75 países, que tem como propósito unir ciência, tecnologia e talento para vencer as doenças e impactar a saúde global. A companhia pesquisa, desenvolve e fabrica vacinas e medicamentos especializados nas áreas de Doenças Infecciosas, HIV, Oncologia e Respiratória/Imunologia. No Brasil, a GSK é líder nas áreas de HIV e Respiratória e uma das empresas líderes em Vacinas. Para mais informações, visite www.gsk.com.br



Informações de segurança de OJJAARA:

Contraindicação: Hipersensibilidade à substância ativa ou a qualquer um dos excipientes da fórmula.

Interação Medicamentosa: A coadministração de indutores fortes de CYP3A4 pode levar a uma diminuição da exposição ao momelotinibe e, conseqüentemente, a um risco de eficácia reduzida. Como inibidor da proteína de resistência ao câncer de mama (BCRP), OJJAARA tem o potencial de aumentar a concentração plasmática de substratos sensíveis à BCRP, como rosuvastatina e sulfazalazina. O uso concomitante com um inibidor OATP1B1/B3, como a ciclosporina, resultou em um aumento moderado na exposição plasmática ao momelotinibe, o que pode aumentar o risco de reações adversas com OJJAARA. Monitore os pacientes que recebem concomitantemente um inibidor OATP1B1/B3 quanto a reações adversas e considere modificações na dose de OJJAARA.

Reações Adversas: Muito comum ($\geq 1/10$): infecções, trombocitopenia, tontura, dor de cabeça, tosse, diarreia, dor abdominal, náusea, astenia, fadiga; comum ($\geq 1/100$ a $<1/10$): neutropenia, deficiência de vitamina B1, síncope, neuropatia periférica, parestesia, visão embaçada, vertigem, hipotensão, hematoma, rubor, vômito, constipação, artralgia, dor nas extremidades, piroxia, alanina transaminase (ALT) aumentada, aspartato transaminase (AST) aumentada e contusão.

Referências:

- 1- OJJAARA (momelotinibe). Bula do produto.
- 2- DOU, Brasília, DF, 10 de março de 2025, Seção 1, p.91
- 3- Scherber RM, Mesa RA. Management of challenging myelofibrosis after JAK inhibitor failure and/or progression. *Blood Rev.* 2020 Jul;42:100716. doi: 10.1016/j.blre.2020.100716. Epub 2020 May 30. PMID: 32593470; PMCID: PMC8895349.
- 4- Nicolosi M, Mudireddy M, Lasho TL, Hanson CA, Ketterling RP, Gangat N, Pardanani A, Tefferi A. Sex and degree of severity influence the prognostic impact of anemia in primary myelofibrosis: analysis based on 1109 consecutive patients. *Leukemia.* 2018 May;32(5):1254-1258. doi: 10.1038/s41375-018-0028-x. Epub 2018 Jan 30. PMID: 29568091; PMCID: PMC5940639.
- 5- Mead AJ, Butt NM, Nagi W, Whiteway A, Kirkpatrick S, Rinaldi C, Roughley C, Ackroyd S, Ewing J, Neelakantan P, Garg M, Tucker D, Murphy J, Patel H, Bains R, Chiu G, Hickey J, Harrison C, Somerville TCP. A retrospective real-world study of the current treatment pathways for myelofibrosis in the United Kingdom: the REALISM UK study. *Ther Adv Hematol.* 2022 Mar 28;13:20406207221084487. doi: 10.1177/20406207221084487. PMID: 35371428; PMCID: PMC8966129.
- 6- Verstovsek S, Gerds AT, Vannucchi AM, Al-Ali HK, Lavie D, Kuykendall AT, Grosicki S, Iurlo A, Goh YT, Lazaroiu MC, Egyed M, Fox ML, McLornan D, Perkins A, Yoon SS, Gupta V, Kiladjian JJ, Granacher N, Lee SE, Ocroteala L, Passamonti F, Harrison CN, Klencke BJ, Ro S, Donahue R, Kawashima J, Mesa R; MOMENTUM Study Investigators. Momelotinib versus danazol in symptomatic patients with anaemia and myelofibrosis (MOMENTUM): results from an international, double-blind, randomised, controlled, phase 3 study. *Lancet.* 2023 Jan 28;401(10373):269-280. doi: 10.1016/S0140-6736(22)02036-0. Erratum in: *Lancet.* 2023 Apr 29;401(10386):1426. doi:

- 10.1016/S0140-6736(23)00819-X. Erratum in: *Lancet*. 2023 Dec 9;402(10418):2196. doi: 10.1016/S0140-6736(23)02708-3. PMID: 36709073.
- 7- Mesa RA, Kiladjian JJ, Catalano JV, Devos T, Egyed M, Hellmann A, McLornan D, Shimoda K, Winton EF, Deng W, Dubowy RL, Maltzman JD, Cervantes F, Gotlib J. SIMPLIFY-1: A Phase III Randomized Trial of Momelotinib Versus Ruxolitinib in Janus Kinase Inhibitor-Naïve Patients With Myelofibrosis. *J Clin Oncol*. 2017 Dec 1;35(34):3844-3850. doi: 10.1200/JCO.2017.73.4418. Epub 2017 Sep 20. PMID: 28930494; PMCID: PMC6553796.
 - 8- Mughal TI, Vaddi K, Sarlis NJ, Verstovsek S. Myelofibrosis-associated complications: pathogenesis, clinical manifestations, and effects on outcomes. *Int J Gen Med*. 2014 Jan 29;7:89-101. doi: 10.2147/IJGM.S51800. PMID: 24501543; PMCID: PMC3912063
 - 9- Mitra D, Kaye JA, Piccoro LT, Brown J, Reith K, Mughal TI, Sarlis NJ. Symptom burden and splenomegaly in patients with myelofibrosis in the United States: a retrospective medical record review. *Cancer Med*. 2013 Dec;2(6):889-98. doi: 10.1002/cam4.136. Epub 2013 Oct 5. PMID: 24403262; PMCID: PMC3892393.
 - 10- Shallis RM, Zeidan AM, Wang R, Podoltsev NA. Epidemiology of the Philadelphia Chromosome-Negative Classical Myeloproliferative Neoplasms. *Hematol Oncol Clin North Am*. 2021 Apr;35(2):177-189. doi: 10.1016/j.hoc.2020.11.005. Epub 2021 Jan 4. PMID: 33641862.
 - 11- Mesa R, Harrison C, Oh ST, Gerds AT, Gupta V, Catalano J, Cervantes F, Devos T, Hus M, Kiladjian JJ, Lech-Maranda E, McLornan D, Vannucchi AM, Platzbecker U, Huang M, Strouse B, Klencke B, Verstovsek S. Overall survival in the SIMPLIFY-1 and SIMPLIFY-2 phase 3 trials of momelotinib in patients with myelofibrosis. *Leukemia*. 2022 Sep;36(9):2261-2268. doi: 10.1038/s41375-022-01637-7. Epub 2022 Jul 22. PMID: 35869266; PMCID: PMC9417985.
 - 12- Naymagon L, Mascarenhas J. Myelofibrosis-Related Anemia: Current and Emerging Therapeutic Strategies. *Hemasphere*. 2017 Dec 20;1(1):e1. doi: 10.1097/HS9.000000000000001. PMID: 31723730; PMCID: PMC6745971.

Material dirigido ao público em geral. Por favor, consulte o seu médico.

NP-BR-MML-PRSR-240001 / MAR 2025