



## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2438/2023

Rio de Janeiro, 30 de outubro de 2023.

Processo nº 0829585-14.2023.8.19.0209,  
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do 2º **Juizado Especial de Fazenda Pública** da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **tafamidis meglumina 20mg** (Vyndaqel®).

### I – RELATÓRIO

1. De acordo com documento médico (Num. 78651459 - Págs. 1 e 2), em impresso próprio, em 07 de julho de 2023, por  o Autor, 80 anos de idade, encontra-se em acompanhamento médico com diagnóstico de **amiloidose cardíaca por transtirretina** - ATTRwt (forma “selvagem” ou “wild-type”). Possui os diagnósticos prévios de diabetes mellitus e doença arterial coronariana, em tratamento regular para essas comorbidades. Nos últimos meses passou a apresentar limitação funcional e quadro clínico compatível com insuficiência cardíaca com fração de ejeção preservada (ICFEP). Ecocardiograma realizado em 27/10/2022 evidenciou sinais de hipertrofia ventricular, a princípio desproporcional com suas comorbidades previamente conhecidas. Houve aumento progressivo dos níveis de peptídeo natriurético (NT-proBNP) que reforçaram as dúvidas quanto à existência de outra patologia que justificasse as alterações cocardiográficas e laboratoriais.

2. Em 13/06/2023 realizou ressonância magnética do coração que demonstrou aumento da espessura de parede do VE, com extenso realce tardio difuso, preferencialmente subendocárdico, e aumento do volume extracelular miocárdico, sugestivos de amiloidose cardíaca. Em 21/06/2023 realizado cintilografia cardíaca com pirofostato evidenciando hipercaptação do radiotraçador na projeção do coração (Grau 3 de Perugini) confirmando diagnóstico de amiloidose cardíaca por transtirretina. Por fim, realizado teste genético com ausência de mutação no gene TTR o que descarta a forma familiar da doença e corrobora tratar-se de ATTRwt. Encontra-se atualmente em classe funcional II (NYHA), com clearance de creatinina estimado em 40mL/min/1.73m<sup>2</sup>.

3. Tem indicação de tratamento específico com **tafamidis meglumina 20mg** (Vyndaqel®) na dose de 04 cápsulas, equivalente a dose diária de 80mg, para o tratamento específico de paciente com diagnóstico confirmado de **amiloidose cardíaca por transtirretina forma selvagem** (ATTRwt), e insuficiência cardíaca em classe funcional NYHA II, sem disfunção renal grave, com objetivo principal de redução da mortalidade além da redução da taxa de progressão da incapacidade física e da perda da qualidade de vida.

### II – ANÁLISE

#### DA LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de



setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.

2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.
3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.
5. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
6. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
7. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
8. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

## **DO QUADRO CLÍNICO**

1. As **Amiloidose sistêmicas** são um grupo de doenças que se caracterizam pelo depósito de substância amiloide nos tecidos. Entre os diferentes tipos de amiloidoses sistêmicas, encontram-se as amiloidoses hereditárias ligadas a proteínas precursoras que sofreram mutação, tais como a transtirretina (TTR)<sup>1</sup>.
2. A **TTR** tornou-se a forma mais prevalente de **Amiloidose Cardíaca** encontrada na prática clínica, com maior reconhecimento por ferramentas de diagnóstico por imagem não invasivas. O envolvimento cardíaco pela TTR apresenta-se mais comumente na sexta e sétima

<sup>1</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS nº 22, de 2 de outubro de 2018. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt\\_polineuropatia\\_amiloidotica\\_familiar\\_2018.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt_polineuropatia_amiloidotica_familiar_2018.pdf) >. Acesso em: 30 out. 2023.



décadas de vida como ICFEP, com o wild-type ou amiloidose sistêmica senil. O comprometimento cardíaco pela amiloidose pode levar a um quadro de insuficiência cardíaca<sup>2</sup>.

### **DO PLEITO**

1. O **tafamidis meglumina** é um estabilizador seletivo de transtirretina (TTR). Na dose diária de 20mg está indicado para o tratamento de **amiloidose associada à transtirretina** em pacientes adultos com polineuropatia sintomática, em estágio inicial ou intermediário, para atrasar o comprometimento neurológico periférico. Na dose diária de 80mg de tafamidis meglumina (quatro cápsulas de 20 mg) está indicado para o tratamento de amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com cardiomiopatia de tipo selvagem ou hereditária para reduzir mortalidade por todas as causas e hospitalização relacionada a doenças cardiovasculares<sup>3</sup>.

### **III – CONCLUSÃO**

1. Informa-se que o medicamento **tafamidis Meglumina possui indicação em bula**<sup>3</sup> para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor.

2. No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que **tafamidis meglumina 20mg é padronizado** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), sendo disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), conforme os critérios estabelecidos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Polineuropatia Amiloidótica Familiar<sup>1</sup>.

3. O referido PCDT destina-se aos pacientes adultos com diagnóstico de *amiloidose associada à transtirretina com polineuropatia sintomática em estágio inicial (estágio I)* – Classificação Internacional de Doenças (CID-10): E85.1 – Amiloidose heredofamiliar neuropática.

4. Portanto, considerando a descrição clínica do Autor, contida em documentos médicos apensados (amiloidose cardíaca por transtirretina forma selvagem (ATTRwt) e insuficiência cardíaca em classe funcional NYHA II), bem como a CID-10 informada – E85 Amiloidose. O médico relatou também que o Autor realizou teste genético com ausência de mutação no gene TTR o que descarta a forma familiar da doença e corrobora tratar-se de ATTRwt (Num. 78651459 - Pág. 1), cabe esclarecer que ele **não perfaz os critérios para o recebimento do medicamento, ora pleiteado, por via administrativa**.

5. Atualmente, o medicamento **tafamidis meglumina** encontra-se em análise pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – Conitec (agosto de 2023) para o tratamento da cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (ATTR-CM), do tipo selvagem ou hereditária, classes funcionais NYHA II e III, em pacientes acima de 60 anos de idade<sup>4</sup> (caso do Autor).

6. Vale acrescentar que a Conitec avaliou, em outros dois momentos diferentes, o uso do medicamento **tafamidis meglumina** no tratamento de pacientes com acometimento cardíaco da amiloidose (caso do Autor), como segue:

- (2021) **Tafamidis Meglumina** no tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide

<sup>2</sup> Jorge. Antonio Jose Lagoeiro, et al. Amiloidose Cardíaca com Insuficiência Cardíaca e Fração de Ejeção Intermediária. International Journal of Cardiovascular Sciences. 2018;31(4)457-460.

<sup>3</sup> Bula do medicamento Tafamidis Meglumina (Vyndaquel®) por Pfizer Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Vyndaquel>>. Acesso em: 30 out. 2023.

<sup>4</sup> CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 30 out. 2023.



associada a transtirretina (selvagem ou hereditária) acima de 60 anos<sup>5</sup>; e

- (2022) **Tafamidis Meglumina** no tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), classes NYHA II e III acima de 60 anos de idade<sup>6</sup>.

7. Em ambas as análises, a Conitec decidiu recomendar pela **não incorporação no SUS** do medicamento **tafamidis meglumina** para o tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide. Segundo os membros do plenário, embora a demanda envolva proposta de tratamento para uma condição clínica rara, **o preço proposto para incorporação da tecnologia apresentado pelo demandante é muito elevado e não é justificado pelas evidências científicas apresentadas**, pouco robustas, pois, ainda que a evidência tenha sido avaliada de boa qualidade, baixo risco de viés e alta certeza de evidência para o desfecho primário clinicamente importante, esta possui limitação amostral e imprecisões significativas a ser consideradas para recomendar uma decisão.

8. Convém mencionar que a análise dos processos de incorporação de tecnologias realizada pela CONITEC é baseada em evidências científicas, levando em consideração aspectos como eficácia, acurácia, efetividade e a segurança da tecnologia, além da avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já existente<sup>7</sup>.

9. No momento, os tratamentos disponíveis no SUS são usados **apenas para controle das complicações da cardiomiopatia amiloide, ou seja, não são específicos para tratamento da doença de base, como propõe o medicamento tafamidis meglumina**.

10. O medicamento pleiteado possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância sanitária (ANVISA).

**É o parecer.**

**Ao 2º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**MILENA BARCELOS DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 9714  
ID. 4391185-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

<sup>5</sup> CONITEC. Relatório de Recomendação, nº 600 (Março/2021). Tafamidis Meglumina no tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide associada a transtirretina (selvagem ou hereditária) acima de 60 anos. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210319\\_relatorio\\_600\\_tafamidis-meglumina\\_cm-ttr.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210319_relatorio_600_tafamidis-meglumina_cm-ttr.pdf) >. Acesso em: 30 out. 2023.

<sup>6</sup> CONITEC. Relatório de Recomendação, nº 795 (Dezembro/2022). Tafamidis Meglumina no tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), classes NYHA II e III acima de 60 anos de idade. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20221222\\_relatorio\\_tecnico\\_tafamidis\\_795\\_2022.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20221222_relatorio_tecnico_tafamidis_795_2022.pdf) >. Acesso em: 30 out. 2023.

<sup>7</sup> CONITEC. Conheça a Conitec. Disponível em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/a-comissao/conheca-a-conitec> >. Acesso em: 30 out. 2023.