



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1424/2022

Rio de Janeiro, 14 de dezembro de 2022.

Processo nº 5089826-11.2022.4.02.5101,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **3º Juizado Especial Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Patisirana** (Onpattro®).

I – RELATÓRIO

1. Para avaliação do pleito, foi analisado o documento médico mais recente acostado aos autos (Evento 14_PARECER2_Página 1), emitido em impresso próprio, em 08 de dezembro de 2022, pelo médico .
2. De acordo com o referido documento, a Autora está em acompanhamento desde 01 de dezembro de 2021, por quadro de fraqueza muscular e perda de sensibilidade em mãos e pés, em progressão há cerca de 4 a 5 anos. Exame de eletroneuromiografia definiu tal quadro como **polineuropatia amiloidótica familiar**, com posterior confirmação de *presença de mutação no gene da Transtirretina* (PAF-TTR).
3. Sua condição clínica inclui déficit motor grau 4 em mãos e grau 2 em pés, perda de sensibilidade superficial abaixo dos joelhos e antebraços, com anestesia de extremidades, desequilíbrio, pés caídos, uso de órteses e necessidade de apoio para marcha, classificado como **estágio 2** (intermediário) de incapacidade de PAF-TTR.
4. Após diagnóstico foi prescrito Tafamidis Meglumina (Vyndaquel®), única opção terapêutica aprovada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS – CONITEC, fornecida pelo Sistema Único de Saúde. Entretanto, a indicação de benefício é para pacientes no estágio 1 – fase inicial da doença, não sendo efetivo em estágios mais avançados, como o caso da Requerente (estágio 2).
5. Já no sexto mês de uso do Tafamidis, a Autora vem apresentando piora progressiva, evoluindo com disautonomia (hipotensão postural, taquicardia e diarreia), além de anestesia de extremidades com lesões corto contusas recorrentes, as quais nem são percebidas pela Requerente, pela profunda falta de sensibilidade, além de quedas frequentes por desequilíbrio e dor neuropática intratável. Sua qualidade de vida está deteriorando rapidamente e há um risco real de óbito nos próximos anos, caso não seja adequadamente tratada.
6. Desse modo, o médico assistente indica outra terapia, no lugar do Tafamidis, o **Patisirana** (Onpattro®) na dose de 20mg (0,3mg/kg), por via intravenosa, a cada 3 semanas. O objetivo é a melhora dos déficits neurológicos, além de acrescentar qualidade de vida. Caso não seja instituído o tratamento adequado, a Autora pode evoluir com incapacidades permanentes e óbito por conta da doença, com sobrevida média estimada de 10-12 anos do início dos sintomas, nos casos não tratados, caracterizando urgente o início do tratamento com o **Patisirana**



(Onpattro®). Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doença (CID-10): **E85.1 – Amiloidose heredofamiliar neuropática.**

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 **amiloidoses** sistêmicas são um grupo de doenças que se caracterizam pelo depósito de substância amiloide nos tecidos. Existem diferentes tipos de amiloidoses sistêmicas, entre elas as **amiloidoses hereditárias ligadas a proteínas precursoras que sofreram mutação, tais como a transtirretina (TTR)**. A TTR é uma proteína predominantemente sintetizada no fígado (98%) e que tem a função de ser carreadora da tiroxina e do retinol. Quando a TTR sofre desestabilização de sua estrutura tetramérica, seja por mutação, no caso das formas hereditárias, ou outro mecanismo, na forma senil, esta última ligada ao depósito tecidual de TTR nativa, há a consequente dissociação em monômeros e deposição tecidual sob a forma de agregados de filamentos amiloides, são as amiloidoses ligadas à TTR. As amiloidoses por TTR manifestam-se por meio de dois quadros clínicos principais: a **polineuropatia amiloidótica familiar (PAF-TTR)** e a cardiomiopatia amiloidótica familiar (CAF-TTR). A presença de um desses quadros, ou da combinação dos mesmos, em presença de disautonomia, em especial em indivíduos com história familiar autossômica dominante, levanta a suspeita clínica de uma amiloidose por TTR¹.

DO PLEITO

1. **Patisirana (Onpattro®)** é indicada para o tratamento de adultos com amiloidose hereditária mediada por transtirretina (amiloidose hATTR) com polineuropatia em estágio 1 ou 2².

III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autora com diagnóstico de **polineuropatia amiloidótica familiar**, com *presença de mutação no gene da Transtirretina (PAF-TTR)*, com quadro clínico classificado como **estágio 2** (intermediário). Em uso de Tafamidis, vem apresentado piora progressiva, evoluindo com disautonomia. Apresenta solicitação médica para tratamento com **Patisirana (Onpattro®)**.

2. Informa-se que o medicamento **Patisirana (Onpattro®)** possui indicação prevista em bula² para o tratamento do quadro clínico atribuído à Autora – **polineuropatia amiloidótica familiar, estágio 2**.

3. Atualmente, encontra-se em análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS – CONITEC, o uso da **Patisirana (Onpattro®)** no tratamento de pacientes diagnosticados com amiloidose hereditária relacionada a transtirretina (ATTRh) com polineuropatia em estágio 2 ou que apresentam resposta inadequada ao Tafamidis³.

4. Quanto à disponibilização, a **Patisirana (Onpattro®)** não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Osteoporose – Portaria Conjunta nº 22, de 02 de outubro de 2018. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Protocolos/PCDT_Polineuropatia_Amiloidotica_Familiar_2018.pdf>. Acesso em: 14 dez. 2022.

² Bula do medicamento Patisirana (Onpattro®) por Specialty Pharma Goias LTDA. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=193610001>>. Acesso em: 14 dez. 2022.

³ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 14 dez. 2022.



- Por não estar contemplado na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME⁴, e, conseqüentemente, em nenhuma lista e programas, **o fornecimento deste medicamento não é de atribuição administrativa do Estado e nem do Município supracitados.**

5. Para o tratamento da **Polineuropatia Amiloidótica Familiar** foi publicado o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)¹, do referido quadro clínico, aprovado pela Portaria Conjunta nº 22, de 02 de outubro de 2018. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES-RJ) disponibiliza, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), aos pacientes que perfaçam os critérios de inclusão do PCDT, o medicamento Tafamidis Meglumina 20mg.

6. Em consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica (Hórus), verificou-se que a Autora **está cadastrada** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para o recebimento do medicamento Tafamidis Meglumina 20mg, sendo efetuada a última dispensação em 06 de dezembro de 2022.

7. Neste momento, à vista do uso de Tafamidis pela Requerente, faz-se importante resgatar o relato médico mencionando que a Autora “... *no sexto mês de uso do Tafamidis, vem apresentado piora progressiva, evoluindo com disautonomia, além de anestesia de extremidades com lesões corto contusas recorrentes, as quais nem são percebidas pela Requerente, pela profunda falta de sensibilidade, além de quedas frequentes por desequilíbrio e dor neuropática intratável. Sua qualidade de vida está deteriorando rapidamente e há um risco real de óbito nos próximos anos, caso não seja adequadamente tratada*”.

8. Acrescenta-se que a **polineuropatia amiloidótica familiar** é uma doença rara, de caráter progressivo, irreversível e fatal. Nesse sentido, o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁵ tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

9. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras⁶. Assim, para o quadro clínico que acomete a Autora foi publicado o PCDT descrito no item 5 desta Conclusão.

10. O medicamento pleiteado Onpattro[®], de princípio ativo **Patisirana**, possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância sanitária (ANVISA).

11. Em atendimento ao Despacho/Decisão Judicial (Evento 9), acrescenta-se que, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município e do Estado do

⁴ BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais: RENAME. Brasília: Ministério da Saúde; 2020. Disponível em: <<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>>. Acesso em: 14 dez. 2022.

⁵ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 14 dez. 2022.

⁶ CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: <https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/diretrizes_atencao_integral_pessoa_doencas_raras_SUS.pdf>. Acesso em: 14 dez. 2022.



Rio de Janeiro, **não constam** opções terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento pleiteado **Patisirana** (Onpattro®). Ressalta-se que conforme descrito no item 7, a Autora já faz uso do medicamento **Tafamidis Meglumina**, padronizado no SUS, conforme PCDT de **Polineuropatia Amiloidótica Familiar**, *apresentado piora progressiva*.

12. No que concerne ao valor, no Brasil, para um medicamento ser comercializado é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)⁷.

13. De acordo com publicação da CMED, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

14. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se⁸.

- **Patisirana** (Onpattro®) – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 79.158,28 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 62.115,50.

É o parecer.

Ao 3º Juizado Especial Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

GABRIELA CARRARA

Farmacêutica
CRF-RJ 21.047
ID: 5083037-6

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

⁷ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<http://portal.anvisa.gov.br/cmed/apresentacao>>. Acesso em: 14 dez. 2022.

⁸ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: <[https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvg_2022_12_v2.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvg_2022_12_v2.pdf/@@download/file/lista_conformidade_pmvg_2022_12_v2.pdf)>. Acesso em: 14 dez. 2022.