



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0686/2023

Rio de Janeiro, 30 de maio de 2023.

Processo nº 5025019-45.2023.4.02.5101,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **23ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Patisirana** (Onpattro®).

I – RELATÓRIO

1. Para avaliação do pleito, foram analisados os documentos médicos mais recentes acostados aos autos (Evento 22_ANEXO3_Páginas 1/2), emitidos em impresso do Complexo Hospitalar de Niterói, em 02 de maio de 2023, pela médica
2. Narram os referidos documentos que o Autor, idoso, com quadro clínico de diabetes não dependente de insulina, doença renal crônica em tratamento conservador, doença arterial coronariana prévia, dislipidemia, hiperuricemia, é portador de **amiloidose ATTRh** com mutação *p.Vall42Ile*, acometimento cardíaco NYHA II e neuropatia associada em estágio II de Coutinho.
3. Vem com necessidade de paracentese de alívio e internações hospitalares recorrentes em decorrência da insuficiência cardíaca pela **amiloidose** em progressão, além de piora progressiva da função renal, denotando clara evolução para estágio terminal da doença.
4. Atualmente, está em uso de Tafamidis 20mg/dia para neuropatia, porém com doença em progressão. Desse modo, faz-se urgente o tratamento específico para **amiloidose – Patisirana** (Onpattro®), na posologia de 0,3 miligramas por quilo de peso, peso 66kg (~20mg), a ser administrado por via intravenosa, a cada 3 semanas.
5. Manter-se sem tratamento implica em **morte** mediante progressão da doença.
6. Acostado no Evento 22_ANEXO2_Página 1, encontra-se exame laboratorial em impresso do Mendelics Análise Genômica, liberado em 12 de maio de 2019 evidenciando suscetibilidade para amiloidose associada ao gene TTR.

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 *transstirretina* (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 I ou II².

III – CONCLUSÃO

1. Insta mencionar que acostado ao Evento 1, ANEXO3, encontram-se os PARECERES TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS N° 2317/2020 (Páginas 50 a 53) e N° 2596/2020 (Páginas 108 a 109), ambos em resposta ao Processo, pelo 1º Juizado Especial Fazendário da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro ajuizado pelo Autor – – com o mesmo pleito **Patisirana**.

2. Refere-se a Autor, portador de **amiloidose ATTRh** com neuropatia em estágio II. Em uso de Tafamidis, vem apresentado evolução para estágio terminal da doença. Apresenta solicitação médica para tratamento com **Patisirana** (Onpattro[®]). Manter-se sem tratamento implica em **morte**.

3. Posto isso, informa-se que o medicamento **Patisirana** (Onpattro[®]) possui indicação prevista em bula² para o tratamento do quadro clínico atribuído ao Autor – **amiloidose ATTRh** e neuropatia em estágio II.

4. Atualmente, encontra-se em análise após consulta pública pela 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.

5. Os membros da Comissão deliberaram, por unanimidade, encaminhar o tema para consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação da Patisirana Sódica para o tratamento de pacientes diagnosticados com amiloidose hereditária relacionada à transtirretina (ATTRh) com polineuropatia em estágio II ou que apresentem resposta inadequada a Tafamidis. Considerou-se o custo anual do tratamento com Patisirana, as incertezas quanto as utilidades aplicadas no modelo econômico e a razão de custo-utilidade incremental estimada⁴.

6. Sendo assim, a **Patisirana** (Onpattro[®]) ainda 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:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt_polineuropatia_amiloidotica_familiar_2018.pdf>. Acesso em: 30 mai. 2023.

² Bula do medicamento Patisirana (Onpattro[®]) por Specialty Pharma Goiás LTDA. Disponível em: <

<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Onpattro>>. Acesso em: 30 mai. 2023.

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: 30 mai. 2023.

⁴ CONITEC - Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologia no SUS. Relatório de Recomendação. Patisirana no tratamento de pacientes diagnosticados com amiloidose hereditária relacionada a transtirretina (ATTRh) com polineuropatia em estágio 2 ou que apresentem resposta inadequada ao Tafamidis. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20221220_patisirana_attrh_polineuropatia_cp_97.pdf>. Acesso em: 30 mai. 2023.



7. Para o tratamento de uma das manifestações da amiloidose por TTR – a **polineuropatia amiloidótica familiar**, foi publicado o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)¹, do referido quadro clínico, aprovado pela Portaria Conjunta SAS/SCTIE/MS 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.
8. Atualmente, o Tafamidis Meglumina é o único medicamento disponibilizado pelo SUS para tratar a ATTRh, estando indicado para pacientes adultos sintomáticos em estágio inicial (estágio I) e não submetidos a transplante hepático por amiloidose associada a TTR⁴.
9. Em consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que o Autor **está cadastrado** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para o recebimento do medicamento Tafamidis Meglumina 20mg, com última dispensação em 22 de maio de 2023.
10. Referente ao uso de Tafamidis pelo Requerente, faz-se importante resgatar o relato médico mencionando que a despeito do tratamento, a doença do Autor “... está em progressão” (Evento 22_ANEXO3_Página 1).
11. Acrescenta-se que a **amiloidose ATTRh** é uma doença rara, autossômica dominante, multissistêmica, progressiva e potencialmente 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.
12. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (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 uma das manifestações da amiloidose por TTR – a **polineuropatia amiloidótica familiar**, foi publicado o PCDT descrito no item 7 desta Conclusão. O Referido PCDT encontra-se em atualização⁷.
13. O medicamento pleiteado Onpattro[®], de princípio ativo **Patisirana**, possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância sanitária (ANVISA).

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: 30 mai. 2023.

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: 30 mai. 2023.

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. PCDT em elaboração. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 30 mai. 2023.



14. 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)⁸.

15. 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 contemplos medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

16. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se⁹:

- **Patisirana** (Onpattro[®]) – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 83.591,14 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 65.593,97.

É o parecer.

À 23ª Vara 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

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

⁸ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 30 mai. 2023.

⁹ 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_2023_04_v1.pdf/@download/file/lista_conformidade_pmvg_2023_04_v1.pdf>. Acesso em: 30 mai. 2023.