



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0311/2024

Rio de Janeiro, 29 de fevereiro de 2024.

Processo nº 5009613-47.2024.4.02.5101,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas **28ª Vara Federal do Rio de Janeiro**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **tafamidis meglumina 20mg** (Vyndaquel®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos em impresso próprio, Doctoralia e laudo médico, avaliação e autorização de medicamentos (Evento 1, LAUDO11, Página 1; Evento 1, LAUDO12, Página 1; Evento 1, LAUDO13, Página 1; Evento 1, ANEXO16, Página 1), emitidos em 08 de janeiro de 2023 e 19 de dezembro de 2023, pelas médicas o Autor, 72 anos de idade, apresenta diagnóstico de **amiloidose wild type** com história de cansaço, dispnéia, bloqueio trifascicular, desconforto torácico - infarto com coronárias normais e ponte miocárdica. História de Síndrome do tunel do carpo bilateral, rupturas de tendão coxa bilateral. ENM com polineuropatia axonal. Em NYHA II, porém tem relato de descompensações inclusive no pré e pós operatório recente. Estabilizou clinicamente após início do medicamento tafamidis 20mg 4 comprimidos na dose preconizada por todas principais diretrizes mundiais de tratamento da amiloidose com unanimidade na indicação para **cardiomiopatia amiloidótica por TTR selvagem** e descompensou clinicamente com a descontinuidade.

2. Consta prescrição com o medicamento **tafamidis meglumina 20mg** (Vyndaquel®) na dose de 04 cápsulas ao dia, para o tratamento específico de paciente com diagnóstico confirmado de **amiloidose cardíaca por transtirretina forma selvagem** (ATTRwt). Classificação Internacional de Doenças, citada: CID-10: E85 – Amiloidose.

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)¹.
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 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 cardíaca².

¹ 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 >. Acesso em: 29 fev. 2024.

² 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.



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 cardiovasculares³.

III – CONCLUSÃO

1. Em síntese, trata-se de Autor com solicitação de tratamento com o medicamento **tafamidis meglumina 20mg** (Vyndaqel[®]) na dose de 04 cápsulas ao dia, para o tratamento de **amiloidose cardíaca por transtirretina forma selvagem** (ATTRwt).

2. Informa-se que o medicamento **tafamidis Meglumina possui indicação em bula³** para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor.

3. 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 Familiar¹.

4. 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.

5. 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 e a ausência de mutação no gene TTR (teste genético Evento 1, ANEXO18, Página 1) o que **descarta a forma familiar** da doença e corrobora tratar-se de ATTRwt, cabe esclarecer que o Autor **não perfaz os critérios para o recebimento do medicamento pleiteado, por via administrativa.**

6. Atualmente, o medicamento **tafamidis** 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 idade⁴ (caso do Autor).

7. 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

³ Bula do medicamento Tafamidis Meglumina (Vyndaqel[®]) por Pfizer Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Vyndaqel>>. Acesso em: 29 fev. 2024.

⁴ CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 29 fev. 2024.



associada a transtirretina (selvagem ou hereditária) acima de 60 anos⁵; 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 idade⁶.

8. 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.

9. 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 existente⁷.

10. 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**. Dessa forma, **não há alternativa terapêutica disponível no SUS para o caso clínico em questão**.

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

12. No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país 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.

13. De acordo com publicação da CMED⁹, 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.

⁵ 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-ctr.pdf >. Acesso em: 29 fev. 2024.

⁶ 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 >. Acesso em: 29 fev. 2024.

⁷ CONITEC. Conheça a Conitec. Disponível em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/a-comissao/conheca-a-conitec> >. Acesso em: 29 fev. 2024.

⁸BRASIL 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: 29 fev. 2024.

⁹BRASIL 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/arquivos/pdf_conformidade_gov_20231009_111615502.pdf >. Acesso em: 29 fev. 2024.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

14. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **tafamidis meglumina 20mg** (Vyndaqel®) com 120 cápsulas possui preço de fábrica R\$ 121.466,32 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 95.314,62, para o ICMS 20%¹⁴.

É o parecer.

À 28ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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