



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0799/2024.

Rio de Janeiro, 21 de maio de 2024.

Processo nº 5002943.42.2024.4.02.5117,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **2ª Vara Federal** de São Gonçalo, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Tafamidis**.

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Complexo Hospitalar de Niterói (CHN) – Unidade II e formulário do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Evento 1_ANEXO2, página 14) e (Evento 1_ANEXO3, páginas 1 e 14), emitidos em 15 de fevereiro de 2024, pela cardiologista , o Autor, 82 anos, portador de **amiloidose por transtirretina hereditária**, mutação val142le no gene da transtirretina, com acometimento cardíaco e neuropático (estágio 1), doença renal crônica em tratamento conservador, fibrilação atrial permanente, histórico de câncer cólon tratado, marcapasso com ressinc em 2021. Excluiu amiloidose AL (amiloidose primária). Tem comprovado o depósito amiloide em substituição à biópsia a cintilografia miocárdica com pirofosfato de tecnécio grau 3 e confirmado em SPEC. Não realizou transplante hepático. Iniciado **Tafamidis 20mg** na tentativa de estabilidade e maior regressão da doença, porém a resposta ainda não foi melhor a despeito de aproximadamente 6 meses de tratamento. Evoluiu com sintomas da insuficiência cardíaca, inclusive ICFER, necessidade de doses progressivas de diurético e hipotensão com necessidade de suspensão de vasodilatadores. Visando maior conforto do paciente, estabilização da doença, tentativa de regressão e maior sobrevida mediante a amiloidose, foi indicado a dose adequada de tratamento da cardiomiopatia. **Tafamidis 20mg** – 04 cápsulas ao dia. O não uso pode implicar em óbito precoce por evolução da doença, sendo indicado o seu início imediato. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **E85.1 – Amiloidose heredofamiliar neuropática**.

2. Em documento médico do Hospital Itaipu (Evento 18_LAUDO2, página 1), emitido pela médica , o Autor, internado no referido hospital em 16 de maio de 2024, diabético, portador de **amiloidose cardíaca** e de marcapasso definitivo (com UP grade por risco de morte súbita), renal crônico em tratamento conservador, com ecocardiograma do dia 03/05/2024 com fração de ejeção de 26% (disfunção grave ventricular). Evoluiu com quadro de insuficiência cardíaca descompensada e doença renal crônica agudizada. Ecocardiograma desta internação com fração de ejeção de 19%. Função renal pior com creatinina



3,22. No momento com congestão sistêmica e congestão pulmonar. Dependente de oxigenioterapia, diuréticoterapia venosa, e possível necessidade de Dobutamina por falência cardíaca por piora do quadro cardiológico de base. Sem previsão de alta devido à gravidade do quadro.

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 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).
5. 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.
6. 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.
7. No tocante ao Município de São Gonçalo, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME– São Gonçalo 2022.
8. 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. A Amiloidose é qualquer de um grupo de condições distintas caracterizadas por deposição extracelular de fibrilas insolúveis compostas de proteínas mal agregadas. Essas proteínas podem se acumular localmente, causando relativamente poucos sintomas, ou se disseminar, envolvendo múltiplos órgãos e provocando graves insuficiências. A amiloidose pode



ocorrer *de novo* ou ser secundária a várias doenças infecciosas, inflamatórias ou malignas¹. A amiloidose cardíaca pode ser do tipo AL (amiloidose primária) ou do tipo TTR genética (TTR_m mutante, familiar) ou não genética (TTR_{wt}, senil wild type). A TTR_{wt} é a causadora da amiloidose, com evolução mais insidiosa que a AL (sobrevivência média de 4 anos) e que se pensa estar subdiagnosticada, sendo provavelmente causa muito frequente de IC com Fração de Ejeção (FE) preservada no idoso².

2. A **amiloidose cardíaca (AC)** ocorre quando proteínas insolúveis se depositam em tecidos e órgãos, formando uma fibra que não consegue ser removida pelo organismo, o que gera danos graves. Quando essa proteína concentra-se no coração, ela é chamada amiloidose cardíaca. Existem mais de 30 tipos de proteínas amiloides, mas três são as mais conhecidas, a imunoglobulina de cadeia leve (tipo AL), TTR selvagem e **TTR hereditária**. A **amiloidose por TTR hereditária**, por outro lado, é uma doença genética com padrão autossômico dominante, sendo observada em pacientes mais jovens do que naqueles com TTR selvagem. O tratamento é dividido de duas formas, sendo elas: tratamento das complicações e comorbidades (insuficiência cardíaca, arritmias, distúrbios de condução, tromboembolismo, estenose aórtica concomitante) e tratamento específico, que tem como alvo a produção da proteína precursora amilóide e a formação das fibrilas amiloides³.

3. A **amiloidose por transtirretina (ATTR)** é uma causa rara de cardiomiopatia restritiva e/ou polineuropatia periférica, de caráter progressivo, irreversível e fatal, subdiagnosticada e com diagnóstico definitivo realizado de forma tardia. O diagnóstico precoce, a caracterização do tipo de amiloidose e posterior instituição de terapêutica específica são fundamentais para uma evolução prognóstica mais favorável dessa doença. A amiloidose, notadamente a associada a transtirretina, é uma doença cujo diagnóstico requer alto grau de suspeição clínica. É fundamental o diagnóstico precoce, pois trata-se de uma causa de polineuropatia e/ou cardiomiopatia que, se não for tratada, evolui de forma progressiva e letal⁴.

DO PLEITO

1. O **Tafamidis Meglumina** é um estabilizador seletivo de transtirretina (TTR). Liga-se, com cooperatividade negativa, aos dois sítios de ligação da tiroxina na forma tetrâmera nativa de TTR prevenindo a dissociação em monômeros, que é a etapa limitante da velocidade no processo amiloidogênico. A inibição da dissociação do tetrâmero da TTR justifica o uso para retardar a progressão da doença em pacientes com ATTR-PN e reduzir mortalidade por todas as causas e a hospitalização relacionada a doenças cardiovasculares em pacientes com ATTR-CM. Na dose diária de 80 mg a (quatro cápsulas de 20 mg) é indicado para o tratamento de amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com cardiomiopatia de tipo selvagem ou hereditária

¹MANUAL MSD. Amiloidose. Disponível em: <<https://www.msmanuals.com/pt-br/profissional/dist%C3%B3Arbios-end%C3%B3crinos-e-metab%C3%B3licos/amiloidose/amiloidose>>. Acesso em: 21 mai. 2024.

²CARDIM, N.L. Avaliação da Amiloidose Cardíaca: Como eu faço. Arq Bras Cardiol. 2020;33(2): com01. Disponível em: <https://www.abcimaging.org/wp-content/uploads/articles_xml/2675-312X-dic-33-02-com01/2675-312X-dic-33-02-com01-pt.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2024.

³SOCIEDADE BRASILEIRA DE MEDICINA NUCLEAR - SBMN. Exame Medicina Nuclear Pesquisa se amiloidose cardíaca por transtirretina. Disponível em: <<https://sbmn.org.br/pesquisa-de-amiloidose-cardiaca-por-transtirretina/>>. Acesso em: 21 mai. 2024.

⁴SILVA, T.O. et al. Amiloidose por Transtirretina (ATTR) – Papel da Multimodalidade no Diagnóstico Definitivo- Relato de caso. Arq Bras Cardiol 2020; 114(4Supl.1):8-12. Disponível em: <https://abccardiol.org/wp-content/uploads/articles_xml/0066-782X-abc-114-04-s1-0008/0066-782X-abc-114-04-s1-0008.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2024.



para reduzir mortalidade por todas as causas e hospitalização relacionada a doenças cardiovasculares⁵.

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento **Tafamidis possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula⁵** para o tratamento de **amiloiose hereditária** - quadro clínico apresentado pelo Autor.

2. No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que **Tafamidis 20mg é disponibilizado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF⁶) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Polineuropatia Amiloidótica Familiar, e conforme o disposto na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS.

➤ **Tafamidis 20mg** é disponibilizado pelo CEAF perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: *medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal^{7,8}.*

3. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que o Autor **não está cadastrado** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para recebimento de medicamentos

4. Deste modo, para ter acesso ao medicamento **Tafamidis 20mg** disponibilizado no CEAF, estando o Autor dentro dos critérios para dispensação do protocolo da Polineuropatia Amiloidótica Familiar, e ainda cumprindo o disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS e nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS, seu representante legal deverá **efetuar cadastro** junto ao CEAF comparecendo à Secretaria Municipal de Saúde de São Gonçalo - Travessa Jorge Soares, 157 - Centro - São Gonçalo, munido da seguinte documentação: Documentos pessoais: Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do CPF, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/SUS e Cópia do comprovante de residência. Documentos médicos: Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias.

5. Nesse caso, o **médico assistente deve observar que o laudo médico será substituído pelo Laudo de Solicitação, avaliação e autorização de medicamentos (LME)**, o qual deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes

⁵Bula do medicamento Tafamidis Meglumina (Vyndaqel[®]) por Pfizer Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Vyndaqel>>. Acesso em: 21 mai. 2024.

⁶GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO. Relação de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF disponibilizados pela SES/RJ. Disponível em:

<<https://www.saude.rj.gov.br/comum/code/MostrarArquivo.php?C=Njc5NzU%2C>>. Acesso em: 21 mai. 2024.

⁷Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. Portaria nº 1554, de 30 de julho de 2013. Disponível em:

<https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html>. Acesso em: 21 mai. 2024.

⁸Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME 2022). Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128_rename_2022.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2024.



Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde, bem como os exames exigidos no PCDT, quando for o caso.

6. Para o tratamento da **amiloiose por transtirretina hereditária**, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Polineuropatia Amiloidótica Familiar⁹ (tal PCDT¹⁰ encontra-se em atualização pela Comissão Nacional de Incorporação de tecnologias no SUS), preconizou os seguinte fármaco: **Tafamidis meglumina**: cápsulas de 20 mg.

7. Acrescenta-se ainda que a **amiloiose** é uma doença rara¹¹. Assim, cumpre salientar que 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 Raras¹² 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.

8. 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 raras¹³. Tal PCDT foi mencionado no item 6 desta Conclusão

9. 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)¹⁴.

10. De acordo com publicação da CMED¹⁵, 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.

⁹BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta 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: 21 mai. 2024.

¹⁰BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. PCDT em elaboração. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 21 mai. 2024.

¹¹ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE AMILOIDOSE HEREDITÁRIA ASSOCIADA Á TRANSTIRRETINA. Amiloiose cardíaca. Disponível: < <http://www.abpar.org.br/amiloidose-cardiaca.html>>. Acesso em: 21 mai. 2024.

¹²BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 21 mai. 2024.

¹³CONITEC. 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://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatrio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2024

¹⁴BRASIL 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: 21 mai. 2024.

¹⁵BRASIL 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_20240505_101650943.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2024.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

11. Assim, considerando a regulamentação vigente, m consulta a Tabela de Preços CMED, o **Tafamidis Meglumina 20mg** (Vyndaqel[®]) com 30 cápsulas possui preço de fábrica R\$ 31.733,06 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 24.900,93; **Tafamidis Meglumina 20mg** (Vyndaqel[®]) com 120 cápsulas possui preço de fábrica R\$ 126.932,30 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 99.603,77, para o ICMS de 20% ¹⁵.

É o parecer.

A 2ª Vara Federal de São Gonçalo, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS

Farmacêutica
CRF-RJ 14680
ID. 4459192-6

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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