



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0666/2025

Rio de Janeiro, 16 de maio de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

A presente ação refere-se a Autor [NOME], ortopneia e edema de membros inferiores, além de parestesia de mãos e pés. Foi participado uso prévio de Pregabalina e Gabapentina para tratamento da polineuropatia, sem resolução do quadro. O teste genético foi positivo para amiloidose familiar, no gene TTR. Apresenta solicitação médica para tratamento com Tafamidis. Foi mencionado o seguinte código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): E85.1 – amiloidose heretofamiliar neuropática (Evento 1_LAUDO5_Página 1 e Evento 1_OUT10_Página 1/2).

No que tange ao quadro clínico do Requerente, informa-se que 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 letal.

Isto posto, informa-se que o medicamento pleiteado Tafamidis possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e apresenta indicação prevista em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor – tratamento de amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia sintomática, conforme documentos médicos apensados aos autos.

Elucida-se que para o tratamento da amiloidose heretofamiliar neuropática, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Polineuropatia Amiloidótica Familiar preconizou o seguinte fármaco: Tafamidis cápsulas de 20mg.

Segundo o referido PCDT6 o uso de Tafamidis é recomendado para o tratamento da amiloidose associada à TTR em pacientes adultos com polineuropatia amiloidótica familiar sintomática em estágio inicial (estágio I) e não submetidos a transplante hepático por amiloidose associada à TTR. Recomenda-se o tratamento com Tafamidis, uma vez que este agente apresentou um satisfatório perfil de segurança além de ser eficaz na estabilização da TTR e redução da progressão da doença. Para esta população, o uso de Tafamidis também é associado a uma melhora ou manutenção do status nutricional. O esquema de administração consiste em Tafamidis 20mg por via oral, uma vez ao dia, ingerida com ou sem alimentos.

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 (CEAF) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Polineuropatia Amiloidótica Familiar.

- ✓ Tafamidis 20mg perfaz o grupo 1A de financiamento do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal,.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que o Autor está cadastrado no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para recebimento do medicamento Tafamidis 20mg (cápsulas), tendo efetuado a última retirada em 25 de março de 2025.

Assim, este Núcleo entende que a via administrativa para o caso em tela já está sendo utilizada. Ressalta-se que o estoque do medicamento Tafamidis 20mg está abastecido no momento.

Acrescenta-se ainda que a amiloidose hereditária TTR é uma amiloidose rara. 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



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Raras 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.

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 raras. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

A título de informação, o PCDT da Polineuropatia Amiloidótica Familiar encontra-se em atualização pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS).

Quanto à eficácia do medicamento pleiteado, informa-se que o Tafamidis é um estabilizador da transtirretina (TTR) que tem demonstrado eficácia no tratamento da amiloidose por transtirretina, particularmente na cardiomiopatia amiloide por transtirretina. Em um estudo, o Tafamidis mostrou-se superior ao placebo em reduzir a mortalidade por todas as causas e a frequência de hospitalizações relacionadas a problemas cardiovasculares ao longo de 30 meses. O tratamento com Tafamidis foi associado a uma redução na mortalidade por todas as causas. Além disso, o Tafamidis também demonstrou benefícios em termos de qualidade de vida relacionada à saúde, reduzindo o declínio em testes de capacidade funcional, como o teste de caminhada de 6 minutos, e melhorando escores em questionários de qualidade de vida.

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).



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o Tafamidis 20mg com 30 cápsulas possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 20.289,36, na alíquota ICMS 0%.

É o parecer.

À 3ª Vara Federal de Volta Redonda, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.