



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 0775/2024

Rio de Janeiro, 06 de março de 2024.

Processo nº 0888303-46.2023.8.19.0001,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do 2º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Patisirana 2mg/mL**.

I – RELATÓRIO

1. De acordo com os documentos médicos do Hospital Universitário Pedro Ernesto (Num. 66168155 – Págs. 6 e 7), emitidos em 26 de junho de 2023, pela médica o Autor apresenta diagnóstico de **polineuropatia amiloidótica familiar (PAF) secundária à mutação no gene da transtirretina**, detectada pela mutação *Vall421Ie*. Apresenta **polineuropatia sensitivo motora axonal** com disautonomia. Doença com caráter progressivo e potencialmente fatal. Está no estágio II do *Polineuropathy Disability score*, necessitando do uso de apoio unilateral para deambulação. Está indicado o uso do medicamento **Patisirana 2mg/mL** – aplicar 15mg, por via intravenosa, 1 vez a cada 3 semanas – peso do Autor: 50 kg. Foi informada a Classificação Internacional de Doenças (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 conseqüente 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.

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: 06 mar. 2024.



DO PLEITO

1. **Patisirana** 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. Informa-se que o medicamento **Patisirana** possui indicação prevista em bula² para o tratamento do quadro clínico atribuído ao Autor – **amiloidose secundária à mutação no gene da transtirretina e neuropatia em estágio II**.

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

3. 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.

4. Sendo assim, a **Patisirana** 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.

5. 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.

6. 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.

7. Em consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que o Autor está cadastrado no Componente Especializado da

² Bula do medicamento Patisirana (Onpatro®) por Specialty Pharma Goias LTDA. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Onpatro>>. Acesso em: 06 mar. 2024.

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: 06 mar. 2024.

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 apresentam resposta inadequada ao Tafamidis. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20221220_patisirana_attr_polineuropatia_cp_97.pdf>. Acesso em: 06 mar. 2024.



Assistência Farmacêutica (CEAF) para o recebimento do medicamento Tafamidis meglumina 20mg, com status de dispensação finalizada para o período de 15/12/2023 a 29/02/2024.

8. Referente ao uso de Tafamidis meglumina pelo Requerente, faz-se importante resgatar o relato médico mencionando que “...*trata-se de doença com caráter progressivo e potencialmente fatal caso não seja tratada*” (Num. 66168155 – Pág. 6).

9. 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.

10. 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 5 desta Conclusão. O Referido PCDT encontra-se em atualização⁷.

11. O pleito **Patisirana 2mg/mL possui registro ativo** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

É o parecer.

Ao 2º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

TASSYA CATALDI CARDOSO

Farmacêutica
CRF-RJ 21.278

JULIANA DE ASEVEDO BRÜTT

Farmacêutica
CRF-RJ 8296
ID. 5074441-0

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

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: 06 mar. 2024.

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: 06 mar. 2024.

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: 06 mar. 2024.