

NOTA TÉCNICA Nº 2314/2026 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 50002282-87.2026.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 16/03/2026
- 1.4. Data da Resposta: 24/04/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. Paciente

- [REDACTED]
- 2.1. Data de Nascimento: 08/08/1950 - 75 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Piracicaba /SP
- 2.4. Histórico da doença:

Paciente com diagnóstico de Cardiomiopatia por Amiloidose por Transtirretina (ATTR) senil (forma selvagem), CID-10 E85.4, associada a Cardiomiopatia não especificada – CID I42.9, com insuficiência cardíaca sintomática (NYHA III), confirmada por exames de imagem compatíveis com doença infiltrativa miocárdica, incluindo ressonância magnética cardíaca e cintilografia miocárdica compatível com ATTR, além de exclusão de amiloidose AL por imunofixação negativa. Consta ainda doença renal crônica estágio 3.

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

O medicamento está incorporado ao SUS e o paciente se enquadra na hipótese de incorporação?

Sim. O tafamidis 61 mg foi avaliado pela CONITEC e incorporado ao SUS para o tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), em classe funcional NYHA II ou III, acima de 60 anos, conforme PCDT vigente do Ministério da Saúde.

Houve manifestação contrária da CONITEC?

Não. Houve avaliação prévia desfavorável em 2022 em razão de custo-efetividade e impacto orçamentário. Contudo, em nova reavaliação, com proposta de preço revista, a CONITEC deliberou favoravelmente à incorporação do tafamidis 61 mg para ATTR-CM.

A parte autora esgotou o PCDT e as alternativas disponíveis no SUS?

Para cardiomiopatia amiloide por ATTR, não há alternativa terapêutica específica modificadora da doença disponível no SUS além do tafamidis. As demais abordagens consistem apenas em tratamento sintomático da insuficiência cardíaca.

Indicações aprovadas pela ANVISA:

Tratamento da amiloidose associada à transtirretina do tipo selvagem ou hereditária em adultos com cardiomiopatia (ATTR-CM).

A indicação para o CID informado é aprovada pela ANVISA?

Sim.

Trata-se de uso off-label?

Não. Uso em conformidade com bula aprovada pela ANVISA.

Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada?

Sim. Ensaio clínico fase III, randomizado, duplo-cego, controlado por placebo (ATTR-ACT).

Os estudos demonstram superioridade, ganho de sobrevida e melhora de qualidade de vida?

Sim. Observou-se redução significativa de mortalidade por todas as causas, redução de hospitalizações cardiovasculares e melhora/menor declínio da capacidade funcional e qualidade de vida.

O esquema proposto está em conformidade com protocolos, bula e literatura científica?

Sim.



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **MEDICAMENTO**

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
Tafamidis 61mg - 1cp ao dia	Tafamidis	1211004890012	Sim	CEAF Grupo 1A	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
Tafamidis	VYNKELLA	PFIZER BRASIL LTDA	61 MG CAP MOLE CT BL AL AL X 30	R\$ 38.664,52	1 cp dia	R\$ 463.974,24
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO				R\$ 463.974,24		

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência abril 2026

4.3. Recomendações da CONITEC: RECOMENDADO

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

A cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (ATTR-CM), tanto na forma selvagem (senil) quanto hereditária, constitui doença progressiva e fatal, caracterizada pela deposição extracelular de fibrilas amiloides derivadas da proteína transtirretina no miocárdio, resultando em disfunção diastólica e sistólica, insuficiência cardíaca de rápida progressão, hospitalizações recorrentes e aumento expressivo da mortalidade. Historicamente, o tratamento permaneceu restrito a medidas exclusivamente sintomáticas, não havendo, até recentemente, terapias capazes de modificar o curso natural da doença.

O tafamidis é um estabilizador seletivo da transtirretina, atuando ao se ligar ao tetrâmero da proteína e impedir sua dissociação em monômeros, passo fisiopatológico fundamental para a formação das fibrilas amiloides. Dessa forma, trata-se de tecnologia com mecanismo de ação específico e direcionado à fisiopatologia da ATTR, diferenciando-se das terapias convencionais de suporte.

A principal evidência científica que fundamenta o uso do tafamidis em cardiomiopatia amiloide por transtirretina provém do ensaio clínico ATTR-ACT, estudo multicêntrico, internacional, randomizado, duplo-cego, controlado por placebo, de fase III, que incluiu 441 pacientes com ATTR-CM (formas selvagem e hereditária), em classes funcionais NYHA I a III, acompanhados por 30 meses. O estudo utilizou como desfecho primário uma análise hierárquica combinada de mortalidade por todas as causas e hospitalizações cardiovasculares, empregando método estatístico robusto (Finkelstein–Schoenfeld).

Os resultados demonstraram que o tafamidis foi associado a redução estatisticamente significativa da mortalidade por todas as causas, com taxa de óbito inferior quando comparado ao grupo placebo, bem como redução significativa da frequência de hospitalizações cardiovasculares. Além disso, observou-se benefício consistente em desfechos secundários clinicamente relevantes, incluindo menor declínio da capacidade funcional, avaliada pelo teste de caminhada de seis minutos, e melhora ou menor deterioração da qualidade de vida, mensurada pelo escore Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire (KCCQ), instrumento validado para insuficiência cardíaca.

Importante destacar que os benefícios clínicos do tafamidis tornaram-se mais evidentes ao longo do seguimento, especialmente após o primeiro ano de tratamento, o que é compatível com terapias modificadoras de doença em enfermidades infiltrativas progressivas. Análises subsequentes do estudo de extensão em longo prazo reforçaram a manutenção do benefício em sobrevida, sem surgimento de novos sinais de segurança relevantes.

Do ponto de vista de segurança, o tafamidis apresentou perfil de eventos adversos semelhante ao placebo, sem diferenças clinicamente significativas na incidência de eventos graves, descontinuação por efeitos adversos ou sinais de toxicidade sistêmica importante, indicando boa tolerabilidade, inclusive em população idosa e com múltiplas comorbidades, perfil compatível com o paciente em análise.

Embora existam estudos observacionais e dados de mundo real que confirmam efetividade e segurança em contextos clínicos diversos, é fundamental ressaltar que a evidência decisiva decorre do ensaio clínico randomizado ATTR-ACT, considerado padrão-ouro metodológico, cuja qualidade e consistência foram determinantes para a avaliação positiva posterior pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC).

Dessa forma, sob a ótica da medicina baseada em evidências, o tafamidis constitui atualmente a **única terapia farmacológica com comprovação robusta de redução de mortalidade e hospitalizações cardiovasculares em pacientes com ATTR-CM**, configurando-se como tratamento modificador da história natural da doença, e não meramente paliativo ou sintomático.

5.2. Benefício/efeito esperado

Redução da progressão da cardiomiopatia amiloide, diminuição do risco de hospitalizações cardiovasculares, aumento da sobrevida global e preservação da capacidade funcional e qualidade de vida.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Diante do diagnóstico confirmado de cardiomiopatia amiloide por transtirretina (ATTR), do enquadramento do paciente nos critérios do PCDT vigente (idade > 60 anos e NYHA III), da ausência de alternativa terapêutica específica no SUS e da robusta evidência científica demonstrando benefício clínico relevante, **o NATJUS emite parecer favorável ao fornecimento do medicamento Tafamidis 61 mg pelo SUS.**

Ressalta-se que, **caso a negativa administrativa esteja fundamentada no fato de a ação judicial ter sido proposta em face do Estado de São Paulo**, cumpre esclarecer que,

nos termos do financiamento do **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF – Grupo 1A)**, a aquisição do tafamidis é de competência da União, cabendo ao ente federal o custeio do medicamento, sem prejuízo da responsabilidade solidária dos entes federativos na garantia do direito à saúde.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

(X) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

() NÃO

7. Referências Bibliográficas

1. Maurer MS et al. *Tafamidis treatment for patients with transthyretin amyloid cardiomyopathy*. N Engl J Med. 2018;379:1007-1016.
2. Damy T et al. *Efficacy and safety of tafamidis doses in ATTR-ACT and long-term extension study*. Eur J Heart Fail. 2021;23:277-285.
3. Brasil. Ministério da Saúde. CONITEC. *Relatório de Recomendação – Tafamidis 61 mg para ATTR-CM*. 2024.
4. Brasil. Ministério da Saúde. *Portaria Conjunta SAES/SECTICS nº 12, de 24 de julho de 2025 – PCDT Amiloidoses por Transtirretina*.

8. Outras Informações – conceitos

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteada pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

PROTOS COLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os

medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.