

Nota Técnica 574375

Data de conclusão: 21/09/2026 11:16:42

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 03/03/1948

Idade: 78 anos

Sexo: Feminino

Cidade: São Bernardo do Campo/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5002070-39.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 574375

CID: E85.8 - Outras amiloidoses

Diagnóstico: Amiloidose Cardíaca tipo transtirretina, Hipertensão arterial sistêmica, Diabetes mellitus tipo 2, Dislipidemia, Obesidade, Doença aterosclerótica do coração, Hipotireoidismo

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Relatório médico e cintilografia com pirofosfato acostados ao processo

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: VYNKELLA I TAFAMIDIS

Princípio Ativo: TAFAMIDIS

Via de administração: VO

Posologia: 61 mg ao dia

Uso contínuo? Sim

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Sim

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: TAFAMIDIS

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Tanto o Tafamidis 61 mg quanto o Tafamidis meglumina 20 mg estão disponíveis no SUS (Rename 2024)

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: TAFAMIDIS

Laboratório: PFIZER BRASIL LTDA

Marca Comercial: VYNKELLA

Apresentação: 61 MG CAP MOLE CT BL AL AL X 30

Preço de Fábrica: 47.464,60

Preço Máximo de Venda ao Governo: 37.245,47

Preço Máximo ao Consumidor: 63.672,07

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: TAFAMIDIS

Dose Diária Recomendada: 61 mg

Preço Máximo de Venda ao Governo: 37.245,47

Preço Máximo ao Consumidor: 63.672,07

Fonte do custo da tecnologia: CMED - Preço anual: R\$ 446.945,64 (PMVG)

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: TAFAMIDIS

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: Os dois dos tipos mais comuns de amiloidose cardíaca são a amiloidose transtirretina (amiloidose ATTR) e a amiloidose de cadeia leve (amiloidose AL).

A forma mais rara de amiloidose está associada à mutação da transtirretina (TTR) produzida no fígado. A TTR é uma proteína presente no plasma e no líquido, participando do transporte da tiroxina e do retinol. Essa proteína é capaz de agregar-se in vivo formando depósitos amilóides. A manifestação clínica mais comum é a polineuropatia amiloidótica familiar (PAF), doença neurodegenerativa autonômica e periférica progressiva. A mutação responsável pela PAF tipo I, que acomete portugueses e brasileiros, é a Val30Met (o aminoácido valina da posição 30 é substituído pelo metionina). Essas mutações acarretam mudanças na estabilidade da TTR, facilitando sua dissociação e agregação. O envolvimento cardíaco é incomum na PAF tipo I, mas a variante V122I (encontrada em 4% dos afro-americanos) pode cursar com amiloidose cardíaca e tem maior incidência nos Estados Unidos. O prognóstico é bom após transplante de fígado.

A TTR tem a capacidade natural de agregar, mesmo que não ocorra nenhuma mutação. É estimado que 25% da população com mais de 80 anos apresentem algum depósito amilóide por TTR normal (também chamada de selvagem). Essa forma de amiloidose é conhecida como sistêmica senil (ASS) por TTR selvagem. O prognóstico do paciente com envolvimento cardíaco na ASS por TTR selvagem é melhor que na amiloidose AL, mas a sobrevida média é de aproximadamente 07 anos após o diagnóstico, e internações são frequentes por descompensação de insuficiência cardíaca nesse grupo de pacientes.

A avaliação diagnóstica inicial do paciente com suspeita de amiloidose cardíaca inclui exame clínico para identificar e avaliar sintomas e sinais cardíacos e extracardíacos, exames laboratoriais, eletrocardiograma e ecocardiograma.

Para pacientes com hipertrofia ventricular inexplicada, estenose aórtica com características associadas à amiloidose cardíaca ou insuficiência cardíaca com sintomas ou sinais típicos de amiloidose (consistente com amiloidose AL ou com amiloidose ATTR e AL) , recomendamos ressonância magnética cardíaca. Caso a ressonância seja sugestiva de amiloidose, a pesquisa de proteína monoclonal deve ser feita a partir dos exames de cadeia leve livre kappa/lambda sérica, imunofixação de proteína sérica e imunofixação de proteína na urina.

Se a proteína monoclonal não for identificada por nenhum desses três testes, o tratamento será baseado nos resultados da cintilografia cardíaca com traçador ósseo realizada com pirofosfato marcado com tecnécio 99.

A cintilografia de grau 0 neste cenário sugere que as imagens de RMC devem ser revisadas.

Se as imagens de RMC forem altamente sugestivas de amiloidose cardíaca ou se a suspeita clínica permanecer alta uma biópsia endomiocárdica pode ser útil para excluir amiloidose cardíaca AL amiloidose cardíaca ATTR causada por variantes raras do gene TTR e formas raras de amiloidose cardíaca

A cintilografia de grau 1 é observada em vários tipos de amiloidose cardíaca. Avaliação adicional inclui biópsia periférica ou endomiocárdica para confirmação.

A cintilografia de grau 2 ou 3 , juntamente com a ausência de evidência de discrasia de células plasmáticas, é altamente específica para doença cardíaca ATTR, portanto, a biópsia de tecido não é necessária.

Recentemente a medicação Tafamidis, disponível no SUS para tratamento da PAF, foi testada em um grande estudo de fase III, que randomizou pacientes TTR selvagem ou não, mostrando redução significativa na mortalidade geral e por doenças cardiovasculares, bem como de internações em pacientes em situação análoga ao do paciente em tela.

A nova formulação de tafamidis meglumina, o tafamidis ácido livre (61 mg), quando usado em dose única diária, se mostrou bioequivalente ao tafamidis meglumina 80 mg/dia (4 x 20 mg). Com essa nova formulação, a administração do tafamidis é feita por via oral, uma única vez ao dia, permitindo maior comodidade posológica em um cenário onde a maior parte dos pacientes são idosos (> 60 anos de idade) e polimedicados.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Redução de mortalidade e de redução de internações relacionadas à insuficiência cardíaca.

A 129ª Reunião Ordinária da Conitec foi realizada nos dias 08, 09 e 10 de maio de 2024. No dia 08 de maio de 2024, o Comitê de Medicamentos, por maioria simples, recomendou a incorporação ao SUS do tafamidis 61mg no tratamento de pacientes com cardiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), classe NYHA II e III acima de 60 anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Para a mudança na recomendação, foi considerada a nova proposta de preço apresentada pelo fabricante, a qual promoveu uma redução significativa na estimativa de custos, assim como o fato de não existir alternativa de tratamento específico, no SUS, para a população de interesse.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: TAFAMIDIS

Conclusão Justificada: Favorável

Conclusão: CONSIDERANDO o diagnóstico de Amiloidose Cardíaca tipo transtirretina, Hipertensão arterial sistêmica, Diabetes mellitus tipo 2, Dislipidemia, Obesidade, Doença aterosclerótica do coração, Hipotireoidismo, conforme laudo médico e exames complementares acostados ao processo.

CONSIDERANDO a cintilografia com pirofosfato com amiloidose cardíaca.

CONSIDERANDO que os exames complementares descartaram a presença de cadeias leves monoclonais de imunoglobulinas.

CONSIDERANDO a classe funcional II da paciente.

CONSIDERANDO a gravidade da doença, cujo tratamento inadequado pode levar a óbito ou transplante cardíaco.

CONSIDERANDO que o tratamento tradicional para insuficiência cardíaca é ineficaz para

mudar o curso da doença.

CONSIDERANDO que há evidências científicas recentes para o uso da medicação pleiteada na doença do autor.

CONSIDERANDO que a medicação pleiteada consta como medicação de escolha para tratamento da doença análoga ao do paciente em tela nas diretrizes nacionais e internacionais.

CONSIDERANDO que a Conitec recomendou a incorporação ao SUS do tafamidis 61mg no tratamento de pacientes com cardiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), classe NYHA II e III acima de 60 anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde

Em resposta aos questionamentos do Excelentíssimo Juiz:

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Resposta: Sim. O tafamidis 61 mg já foi incorporado ao SUS para pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (ATTR-CM), selvagem ou hereditária, com idade superior a 60 anos e classe funcional NYHA II ou III. A autora, com 78 anos, diagnóstico de ATTR-CM e classe funcional NYHA II, enquadra-se na população contemplada aos critérios de inclusão previstos no PCDT vigente.

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?

Resposta: Não se aplica ao caso em análise.

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

Resposta: Não é possível afirmar o esgotamento de todas as alternativas apenas com os elementos apresentados. Contudo, o tafamidis integra atualmente o PCDT como tratamento específico da ATTR-CM, não sendo sua indicação condicionada ao esgotamento prévio de todas as terapias de suporte disponíveis no SUS.

4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

Resposta: Considerando a apresentação pleiteada, tafamidis 61 mg, sua indicação é o tratamento de pacientes adultos com cardiomiopatia associada à transtirretina (ATTR-CM), do tipo selvagem ou hereditária, com objetivo de reduzir mortalidade por todas as causas e hospitalizações cardiovasculares.

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Resposta: Sim. A cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina constitui indicação aprovada para o tafamidis 61 mg.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Resposta: Não se aplica. O uso de tafamidis 61 mg para ATTR-CM encontra-se dentro da indicação aprovada, não caracterizando uso *off-label*.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Resposta: Sim. O estudo ATTR-ACT, ensaio clínico fase III, multicêntrico, randomizado, duplo-cego e controlado por placebo, demonstrou eficácia e segurança do tafamidis em pacientes com ATTR-CM, com redução de mortalidade e hospitalizações cardiovasculares.

8. Os estudos disponíveis demonstram:

a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Resposta: O tafamidis demonstrou superioridade frente ao placebo associado ao tratamento clínico habitual, com redução de mortalidade e hospitalizações cardiovasculares. Não há

comparação direta com cada terapia de suporte disponível no SUS, que possui finalidade terapêutica distinta.

b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo?

Resposta: Sim. No ATTR-ACT, a mortalidade em 30 meses foi de 29,5% com tafamidis versus 42,9% com placebo, com HR 0,70 (IC95% 0,51–0,96).

c) Ganho de sobrevida livre de progressão?

Resposta: Sobrevida livre de progressão não constituiu desfecho principal do estudo. Entretanto, houve redução de mortalidade e hospitalizações cardiovasculares, além de menor deterioração funcional.

d) Melhora de qualidade de vida mensurável?

Resposta: Sim. Houve menor deterioração da qualidade de vida pelo KCCQ-OS e da capacidade funcional pelo teste de caminhada de seis minutos.

9. O esquema proposto está em conformidade com:

a) Protocolos internacionais reconhecidos?

Resposta: Sim. O tafamidis é recomendado para pacientes selecionados com ATTR-CM.

b) Bula aprovada pela ANVISA?

Resposta: Sim, considerando o esquema de tafamidis 61 mg, por via oral, uma vez ao dia, para ATTR-CM.

c) Literatura científica de qualidade?

Resposta: Sim. A indicação é respaldada por ensaio clínico randomizado fase III e pelas avaliações que fundamentaram sua incorporação ao SUS.

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Resposta: No estudo ATTR-ACT, em 30 meses, a mortalidade por todas as causas foi de 29,5% com tafamidis versus 42,9% com placebo associado ao tratamento habitual, correspondendo a HR 0,70 (IC95% 0,51–0,96). Não há estudos comparativos diretos que permitam estabelecer taxa de sobrevida frente a cada terapia de suporte disponível no SUS.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Resposta: Não é possível estabelecer comparação individualizada com os tratamentos previamente realizados pela autora, diante da ausência de estudos comparativos diretos. Como referência, no ATTR-ACT, a mortalidade em 30 meses foi de 29,5% com tafamidis versus 42,9% com placebo associado ao tratamento habitual.

CONCLUI-SE que HÁ elementos técnicos suficientes para sustentar o TAFAMIDIS em regime de urgência para o caso em tela.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Sim

Justificativa: Com risco potencial de vida

Referências bibliográficas: 1- Falk RH, Alexander KM, Liao R, Dorbala S. AL (Light-Chain) Cardiac Amyloidosis: A Review of Diagnosis and Therapy. J Am Coll Cardiol. 2016;68(12):1323-1341. doi:10.1016/j.jacc.2016.06.053.

2- Gertz MA, Benson MD, Dyck PJ, et al. Diagnosis, prognosis, and therapy of transthyretin amyloidosis. J Am Coll Cardiol 2015;66:2451–66.

3- Mathew S, Maurer, M.D., Jeffrey H. Schwartz et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. N Engl J Med 2018; 379:1007-1016.

4- Simões MV, Fernandes F, Marcondes-Braga FG, Scheinberg P, Correia EB, Rohde LEP, Bacal F, et al. Posicionamento sobre Diagnóstico e Tratamento da Amiloidose Cardíaca – 2021. Arq. Bras. Cardiol. 2021;117(3):561-98. <https://abccardiol.org/article/posicionamento-sobre-diagnostico-e-tratamento-da-amiloidose-cardiaca-2021/>

5- Marcondes-Braga, Fabiana G. et al. Atualização de Tópicos Emergentes da Diretriz Brasileira de Insuficiência Cardíaca – 2021. Arquivos Brasileiros de Cardiologia [online]. 2021, v. 116, n. 6 [Acessado 3 Outubro 2022] , pp. 1174-1212. Disponível em: <<https://doi.org/10.36660/abc.20210367>>. Epub 14 Jun 2021. ISSN 1678-4170. <https://doi.org/10.36660/abc.20210367>.

6- Damy T, Garcia-Pavia P, Hanna M, Judge DP, Merlini G, Gundapaneni B, et al. Efficacy and safety of tafamidis doses in the Tafamidis in Transthyretin Cardiomyopathy Clinical Trial (ATTR-ACT) and long-term extension study. Eur J Heart Fail. 2020.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: Hospital Israelita Albert Einstein

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: ndn