

Nota Técnica 575997

Data de conclusão: 25/09/2026 09:16:29

Paciente

Nome: [REDACTED]

Data de Nascimento: 01/02/1983

Idade: 43 anos

Sexo: Masculino

Cidade: Mogi das Cruzes/SP

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Número do Processo: 5001981-16.2026.4.03.6703

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 6º Núcleo de Justiça 4.0

Tecnologia 575997

CID: M31.1 - Microangiopatia trombótica

Diagnóstico: Púrpura Trombocitopênica Trombótica Congênita

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): Laudo médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: ALFA-APADANTASE, ALFACINAXADANTASE

Via de administração: IV

Posologia: alfa-apadantase 1500ui - após reconstituição aplicar IV 02 frascos cada 15 dias.

Uso contínuo? -

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? Não

O medicamento está inserido no SUS? Não

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: ALFA-APADANTASE, ALFACINAXADANTASE

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: Infusão de plasma, plasmaférese e corticosteroides sistêmicos (prednisona e metilprednisolona).

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: ALFA-APADANTASE, ALFACINAXADANTASE

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: ALFA-APADANTASE, ALFACINAXADANTASE

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: ALFA-APADANTASE, ALFACINAXADANTASE

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: O medicamento alfa-apadantase/alfacinaxadantase, também conhecido como ADAMTS13 recombinante, tem como princípio ativo uma mistura de duas proteínas obtidas por tecnologia de DNA recombinante. É uma metaloprotease que regula a atividade do fator de von Willebrand (VWF) clivando multímeros grandes e ultragrandes de VWF em unidades menores e, assim, reduzindo as propriedades de ligação plaquetária do VWF e sua propensão a formar microtrombos. O uso de ADAMTS13 recombinante em pacientes com púrpura trombocitopênica trombótica congênita (PTTc) fornece suplementação direcionada de ADAMTS13 e reposição da atividade plasmática de ADAMTS13, que deve reduzir ou eliminar a formação espontânea de microtrombos plaquetários de VWF (5).

O principal estudo que avaliou a segurança e eficácia de ADAMTS13 recombinante no tratamento da PTTc é um ensaio clínico de fase 3, internacional, prospectivo, randomizado, controlado e aberto, com desenho crossover, desenvolvido em 34 centros da União Europeia, Estados Unidos, Reino Unido e Japão. Este estudo comparou o ADAMTS13 recombinante com terapias plasmáticas convencionais em pacientes com PTT congênita. Na coorte profilática, os pacientes receberam ADAMTS13 recombinante (40 UI/kg) ou terapia padrão durante seis meses, trocaram de tratamento por mais seis meses e, posteriormente, receberam ADAMTS13 recombinante por seis meses adicionais. O principal desfecho foi a ocorrência de episódios agudos de PTT, enquanto manifestações clínicas e laboratoriais, eventos subagudos, segurança, imunogenicidade e parâmetros farmacocinéticos foram avaliados como desfechos adicionais. Foram incluídos 48 pacientes, sendo 32 com o estudo concluído na análise interina. Não ocorreu nenhum episódio agudo de PTT durante a profilaxia com ADAMTS13 recombinante, enquanto foi registrado um episódio durante a terapia padrão. Também foram observadas menores taxas de manifestações da doença, especialmente trombocitopenia, cuja taxa anualizada foi de 0,74 com ADAMTS13 recombinante e 1,73 com terapia padrão. O tratamento recombinante proporcionou maior e mais prolongada reposição da proteína, com atividade máxima média correspondente a 101% (1,01 UI/mL) do nível normal, contra 19% (0,19 UI/mL) com a terapia padrão, e manutenção de atividade $\geq 10\%$ por 5,2 versus 1,7 dias. Em relação à segurança, eventos adversos ocorreram em 71% dos pacientes com ADAMTS13 recombinante e 84% com terapia padrão, sendo a maioria leve ou moderada; eventos considerados relacionados ao tratamento ocorreram em 9% e 48%, respectivamente, e não foram identificados anticorpos neutralizantes contra o ADAMTS13 recombinante (6).

A interpretação dos resultados, contudo, deve considerar limitações metodológicas importantes. Embora os achados demonstrem menor ocorrência de eventos e manifestações de PTT e maior reposição de ADAMTS13 com o tratamento recombinante, a magnitude exata da diferença entre os tratamentos deve ser interpretada com cautela em razão do pequeno número de participantes, da baixa frequência dos eventos, do desenho aberto e da ausência de

poder estatístico para confirmação formal de superioridade (6).

Em novembro de 2025 o Food and Drug Administration (FDA) emitiu um alerta referente a uma morte de paciente com PTTc atribuída ao uso de ADAMTS13 recombinante.

Custo:

Item: ALFA-APADANTASE;ALFACINAXADANTASE
Descrição: 1500 UI PO LIOF SOL INJ CT 1 FA VD TRANS + FA DIL X 5ML+ DISP REC + CONJ INFUS
Quantidade: 52
Valor Unitário: R\$ 18.547,64
Valor Total: R\$ 964.477,28

* Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) em São Paulo (ICMS 18%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, $PMVG = PF \cdot (1 - CAP)$. O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.

O medicamento ADAMTS13 recombinante é comercializado no país sob o nome comercial de Adzynma® pela empresa Takeda Pharma LTDA. Em consulta à tabela CMED em setembro de 2026 e de acordo com a prescrição médica, foi elaborada a tabela acima considerando o custo para um ano de tratamento.

Não foram identificadas avaliações de custo-efetividade da ADAMTS recombinante no contexto brasileiro e nem em agências internacionais.

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: Reposição da atividade enzimática, com alcance de níveis próximos ao normal, com possível menor ocorrência de manifestações da púrpura trombocitopênica trombótica.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Não avaliada

Conclusão

Tecnologia: ALFA-APADANTASE, ALFACINAXADANTASE

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Há evidência demonstrando que o uso de ADAMTS13 recombinante (alfa-apadantase; alfacinaxadantase) em pacientes diagnosticados com púrpura trombocitopênica trombótica congênita está associado a menores taxas de trombocitopenia e uma possível menor incidência de eventos de agudização da PTT e trombocitopenia em relação ao uso de plasma. Contudo, a capacidade de prevenir complicações de longo prazo ainda não foi

demonstrada de forma definitiva no estudo e a baixa taxa de eventos de agudização da PTT impede estimar a real magnitude do uso do medicamento na prevenção destes eventos.

O tratamento com transfusão de plasma segue sendo tratamento eficaz e seguro para o tratamento de PTTc, sendo recomendado em diretrizes internacionais.

No caso em tela, não fica comprovado efeito adverso grave que impossibilite a parte autora de manter o tratamento atual com o uso de transfusões de plasma, desta forma não fica comprovada imprescindibilidade do tratamento pleiteado, justificando-se parecer desfavorável.

Há evidências científicas? Sim

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

Referências bibliográficas:

1. Congenital thrombotic thrombocytopenic purpura (cTTP) - UpToDate [Internet]. . Disponível em: <https://www.uptodate.com/contents/congenital-thrombotic-thrombocytopenic-purpura-cttp>
2. Joly BS, Coppo P, Veyradier A. Thrombotic thrombocytopenic purpura. Blood. 25 de maio de 2017;129(21):2836–46. doi:10.1182/blood-2016-10-709857
3. Alwan F, Vendramin C, Liesner R, Clark A, Lester W, Dutt T, et al. Characterization and treatment of congenital thrombotic thrombocytopenic purpura. Blood. 11 de abril de 2019;133(15):1644–51. doi:10.1182/blood-2018-11-884700 PubMed PMID: 30770395.
4. Nusrat S, Beg K, Khan O, Sinha A, George J. Hereditary Thrombotic Thrombocytopenic Purpura. Genes. 18 de outubro de 2023;14(10):1956. doi:10.3390/genes14101956 PubMed PMID: 37895305; PubMed Central PMCID: PMC10606562.
5. Agência Nacional de Vigilância Sanitária - Anvisa [Internet]. [citado 17 de setembro de 2026]. ADZYNMATM (alfa-apadantase / alfacinaxadantase): novo registro. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/adzynmatm-alfa-apadantase-alfacinaxadantase-novo-registro>
6. Scully M, Antun A, Cataland SR, Coppo P, Dossier C, Biebuyck N, et al. Recombinant ADAMTS13 in Congenital Thrombotic Thrombocytopenic Purpura. N Engl J Med. 2 de maio de 2024;390(17):1584–96. doi:10.1056/NEJMoa2314793 PubMed PMID: 38692292.

NatJus Responsável: Nacional

Instituição Responsável: NAT-Jus Doenças Raras - HCPA/TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme laudo médico, trata-se de paciente de 42 anos com diagnóstico de Púrpura Trombocitopênica Trombótica Congênita desde o nascimento, confirmado por exame de atividade de ADAMTs-13. Laudo descreve que o paciente apresentou icterícia, plaquetopenia severa (secundária ao quadro de microangiopatia (MAT), sangramento com reversão ao tratamento com Hemocomponentes desde o nascimento. Segue tratamento com infusões de plasma frequentes, a cada 25 a 35 dias, com necessidade de internação. O paciente apresenta reação febril não hemolítica em cerca de 80% das transfusões, sendo necessário uso de corticoterapia. É descrito histórico de Acidente Vascular Encefálico Isquêmico em fevereiro de 2008, em setembro de 2009 e em maio de 2025, além de um episódio isquêmico transitório cerebral, com internação em UTI e sem sequelas.

A púrpura trombocitopênica trombótica (PTT) é uma microangiopatia trombótica (MAT) causada pela atividade severamente reduzida da protease ADAMTS13, responsável pela clivagem do fator de von Willebrand. Caracteriza-se pela formação de trombos arteriolares ricos em plaquetas que causam isquemia orgânica, manifestada por anormalidades neurológicas, disfunção renal, trombocitopenia e anemia hemolítica microangiopática (1). Atualmente, a PTT é reconhecida como uma doença hematológica rara, com uma prevalência média anual de aproximadamente 10 casos por milhão de pessoas e uma incidência anual de aproximadamente 1 novo caso por milhão de pessoas (2). A púrpura trombocitopênica trombótica congênita (PTTc), também conhecida como síndrome de Upshaw-Schulman, é uma doença genética rara e representa de 2% a 10% de todos os casos de PTT em registros internacionais (3). Trata-se de uma doença autossômica recessiva causada por mutações no gene ADAMTS13, que levam à diminuição ou ausência da produção da metaloprotease ADAMTS13, responsável pela clivagem do fator de von Willebrand (FvW) no plasma. O resultado é a circulação de multímeros ultragrandes de FvW que podem causar microtrombos, oclusão intravascular e danos a órgãos (4).

O tratamento da PTT crônica concentra-se na reposição dos níveis de ADAMTS13, que pode ser alcançado por meio plasmaférese, pela a infusão de hemoderivados ricos em ADAMTS13 e o tratamento mais comum é a infusão de plasma fresco. A infusão de plasma fornece ADAMTS13 para indivíduos com PTTc, seja para tratar os sintomas ou um episódio agudo (tratamento) ou para prevenir episódios futuros (profilaxia) (1,3).