

NOTA TÉCNICA Nº 6518/2026 - NAT-JUS/SP

1. IDENTIFICAÇÃO DO SOLICITANTE

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Processo nº 5001230-29.2026.4.03.6703
1.3. Data da Resposta: 10/08/2026
1.4. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

2. PACIENTE

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 18/10/1983 – 42 anos
2.2. Sexo: Feminino
2.3. Cidade/UF: Jaboticabal/SP
2.4. Histórico da doença:
Doença Renal Policística Autossômica Dominante (DRPAD) – CID Q61.2

3. OBSERVAÇÕES INICIAIS

Uma vez que o NatJus se destina exclusivamente à análise da relação entre doença, medicamento, procedimento ou produto sob a perspectiva da Medicina Baseada em Evidências, anotamos que não respondemos quesitos, nem tampouco nos manifestamos sobre laudos periciais realizados e materiais cirúrgicos.

De igual forma, não emitimos notas técnicas ou manifestações assemelhadas em:

1. Ações que versem sobre dispensação de medicamentos pertencentes ao Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF), cuja análise compete à Rede de Atenção Básica do Município;
2. Pedidos de apressamento da fila do CROSS (Central de Regulação de Ofertas e Serviços de Saúde);
3. Ações que não digam respeito diretamente ao Direito à Saúde, entre as quais aquelas envolvendo questões de cobertura contratual, bem como as que versem acerca de custeio de tecnologias e valores correspondentes a materiais cirúrgicos;
4. Ações de responsabilidade civil, no que estão abarcados os casos de erros médicos, bem como processos criminais.

Assim, passamos à emissão do parecer técnico, **restrito** aos limites de atuação deste núcleo, com base nas evidências científicas disponíveis.



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?
SMSCA/JYNARQU	Tolvaptano	-	NÃO	Estão disponíveis medidas de tratamento da doença renal crônica e de suas complicações, incluindo acompanhamento nefrológico, controle pressórico, inibidores da enzima conversora de angiotensina ou bloqueadores do receptor da angiotensina quando indicados, manejo de infecções, hematúria, litíase e dor, tratamento das complicações metabólicas, terapia renal substitutiva e transplante renal. Não há, contudo, alternativa disponibilizada pelo SUS com o mesmo mecanismo de ação e benefício modificador específico da doença demonstrado para o tolvaptano.	-

Medicamento	Marca Comercial de menor preço	Laboratório	Apresentação	Preço vigente Tabela CMED - PMVG
SMSCA/JYNARQU	-	-	-	-

- 4.2. RECOMENDAÇÕES DA CONITEC:
- () RECOMENDADO
- () NÃO RECOMENDADO
- (x) NÃO AVALIADO

5. DISCUSSÃO

5.1. EVIDÊNCIAS SOBRE A EFICÁCIA E SEGURANÇA DA TECNOLOGIA:

O ensaio clínico randomizado, duplo-cego e controlado por placebo TEMPO 3:4 incluiu 1.445 adultos, predominantemente com doença em estágio inicial, idade entre 18 e 50 anos, volume renal total de pelo menos 750 ml e função renal relativamente preservada. Em três anos, o crescimento anual do volume renal total foi de 2,8% com tolvaptano e de 5,5% com placebo. Também houve menor velocidade de perda da função renal e menor frequência de eventos relacionados à piora da função renal. A interrupção do tratamento por eventos adversos ocorreu em 23% dos pacientes que receberam tolvaptano e em 14% dos que receberam placebo, principalmente em razão dos efeitos aquaréticos e hepáticos.

O estudo REPRISÉ incluiu 1.370 pacientes com doença mais avançada. Após um ano, a redução média da TFGe foi de 2,34 ml/min/1,73 m² no grupo tolvaptano e de 3,61 ml/min/1,73 m² no grupo placebo, correspondendo a uma diferença de 1,27 ml/min/1,73 m² em favor do medicamento. Elevação de alanina aminotransferase superior a três vezes o limite normal ocorreu em 5,6% dos pacientes tratados e em 1,2% dos pacientes do grupo placebo.

Uma revisão sistemática com meta-análise confirmou redução da perda da TFGe e menor crescimento do volume renal total, mas também maior incidência de poliúria, sede, noctúria e alterações hepáticas.

Portanto, há evidência científica de alto nível de que o tolvaptano desacelera a perda da função renal. Contudo, a magnitude absoluta do benefício é moderada e foi demonstrada principalmente por mudanças na TFGe e no volume renal, e não por redução comprovada de mortalidade.

5.2. BENEFÍCIO/EFEITO/RESULTADO ESPERADO DA TECNOLOGIA:

O resultado esperado é a redução da velocidade de crescimento dos rins policísticos e a desaceleração da queda anual da taxa de filtração glomerular.

No estudo REPRISÉ, a diferença média em um ano foi de aproximadamente 1,27 ml/min/1,73 m² de TFGe em favor do tolvaptano. No TEMPO 3:4, o crescimento anual do volume renal foi reduzido de 5,5% para 2,8%.

O tratamento não proporciona cura, não reverte a doença estrutural existente e não possui demonstração direta, em ensaios clínicos randomizados, de redução de mortalidade. O eventual adiamento da diálise ou do transplante é biologicamente plausível e apoiado pela desaceleração da perda de TFGe, mas não foi diretamente quantificado nos ensaios pivotais como desfecho primário.

6. CONCLUSÃO

6.1. PARECER

() Favorável

(x) Desfavorável

6.2. JUSTIFICATIVA:

O tolvaptano possui evidência científica de alto nível para desacelerar o crescimento renal e a perda da função renal em adultos com doença renal policística autossômica dominante e risco comprovado de rápida progressão.

Entretanto, não se trata de tratamento indicado universalmente para todos os pacientes com DRPAD. A seleção depende de dados objetivos, especialmente idade, TFG_e, evolução longitudinal da função renal, volume renal ajustado para altura, classe de Mayo e ausência de contraindicações. No caso apresentado, esses elementos não foram fornecidos.

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

() SIM, com potencial risco de vida

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

(x) NÃO

7. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS:

1. Torres VE, Chapman AB, Devuyst O, et al. Tolvaptan in patients with autosomal dominant polycystic kidney disease. N Engl J Med. 2012;367:2407-2418. PMID: 23121377.
2. Torres VE, Chapman AB, Devuyst O, et al. Tolvaptan in later-stage autosomal dominant polycystic kidney disease. N Engl J Med. 2017;377:1930-1942. PMID: 29105594.
3. Xie X, et al. The safety and efficacy of tolvaptan in the treatment of patients with autosomal dominant polycystic kidney disease: a systematic review and meta-analysis. Nefrologia. 2023. PMID: 37150675.
4. Müller RU, et al. An update on the use of tolvaptan for autosomal dominant polycystic kidney disease: consensus statement on behalf of the ERA Working Group on Inherited Kidney Disorders. Nephrol Dial Transplant. 2022. PMID: 35134221.
5. Kidney Disease: Improving Global Outcomes – KDIGO. Clinical Practice Guideline for the Evaluation, Management, and Treatment of Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. Kidney Int. 2025;107 Suppl 2S.

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://bvsms.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, norteadas 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.

PROTOCOLOS 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.