

NOTA TÉCNICA Nº 9837/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5002444-37.2025.4.03.6106
- 1.3. Data da Solicitação: 12/12/2025
- 1.4. Data da Resposta: 18/12/2025
- 1.5. Requerida: SAÚDE PÚBLICA

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 23/01/1968 – 58 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São José do Rio Preto/SP
- 2.4. Histórico da doença: Amiloidose limitada a órgãos – CID E85.1

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



TRIBUNAL DE JUSTIÇA DE SÃO PAULO
■ SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS
SGP 5 – Diretoria da Saúde



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	TAFAMIDIS	1211004890012	SIM	Pertence ao Componente Especializado da Assistência Farmacêutica - CEAf, conforme PCDT Amiloidoses Hereditárias Associadas à Transtirretina. Grupo de financiamento 1A	NÃO

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
TAFAMIDIS 61mg	VYNKELLA	PFIZER BRASIL LTDA	61 MG CAP MOLE CT BL AL AL X 30	R\$ 37.245,47	01 cp. ao dia	R\$ 484.191,11
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO						R\$ 484.191,11

* 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 fevereiro/2026.

4.3. Recomendações da CONITEC: (X) RECOMENDADO () NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

Os membros do Comitê de Medicamentos da Conitec, em sua 129ª Reunião Ordinária, no dia 8 de maio de 2024, deliberaram, por maioria simples, recomendar a **incorporação 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. Os membros consideraram que a nova proposta de preço foi capaz de modificar o entendimento inicial em relação à custo-efetividade e impacto orçamentário, uma vez que alcançou o limiar de custo-efetividade para casos especiais da Conitec. Além disso, reforçou-se que não há alternativa de tratamento específico para essa população no SUS.

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

As **amiloidoses** são um grupo de doenças raras causadas pelo depósito de proteínas que sofreram uma má formação, chamadas amiloïdes, nos órgãos e tecidos. O acúmulo dessas proteínas ocasiona a criação de fibras que podem impedir o funcionamento dos órgãos.

Várias proteínas já foram identificadas como sendo capazes de causar amiloidose, dentre elas está a transtirretina (TTR), uma proteína de transporte produzida principalmente no fígado. Mutações que desestabilizam a TTR resultam em amiloidose associada à TTR, a forma mais comum de amiloidose hereditária (familiar).

A cardiomiopatia amiloide associada à TTR ocorre quando as proteínas amiloïdes se acumulam no coração. Essas proteínas podem se infiltrar e causar danos em todas as estruturas do coração. Os sintomas da cardiomiopatia amiloide geralmente incluem insuficiência cardíaca, falta de ar relacionada ao esforço físico, edema e baixa pressão arterial.

A condição pode se manifestar a partir de duas origens, de forma hereditária (quando existe uma predisposição genética) ou de forma selvagem (quando é adquirida com a idade, por exemplo). A do tipo hereditária ocorre de forma semelhante entre homens e mulheres e ocorre com mais frequência em pessoas entre 50 e 60 anos.

Atualmente, no âmbito do SUS, não existem Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para cardiomiopatia amiloide. Na prática clínica, o tratamento envolve a avaliação do paciente para transplante de fígado, podendo também ser realizado em conjunto ao transplante do coração. O transplante de fígado é indicado, pois a proteína que origina a doença é produzida nesse órgão. Assim, espera-se que, com a remoção do órgão, consiga se evitar que mais proteínas amiloïdes se acumulem no coração, reduzindo o ritmo da doença. O transplante deve ser realizado no estágio inicial da doença, já que não é uma medida curativa, mas sim preventiva.

Entretanto, nem sempre os transplantes são bem-sucedidos, pois existem mutações da proteína amiloide que podem progredir para o coração mesmo após o transplante de fígado, a depender do avanço da doença e do tipo de mutação da proteína.

O transplante de fígado em conjunto com o transplante de coração é uma opção apenas para alguns casos do tipo hereditário da cardiomiopatia amiloide. No entanto, esse transplante não é uma alternativa viável para a maioria dos pacientes devido à escassez de órgãos de doadores, à idade avançada da maioria dos indivíduos afetados, dentre outros fatores.

Tafamidis é atualmente o tratamento de escolha para a cardiomiopatia amiloidótica por transtirretina, tanto na forma selvagem quanto na hereditária, em pacientes sintomáticos com classe funcional NYHA I a III, com benefício comprovado na redução de

mortalidade global, hospitalizações cardiovasculares, declínio funcional e piora da qualidade de vida (Maurer, 2028). O benefício é mais pronunciado quando iniciado precocemente, em estágios iniciais da doença, antes de deterioração funcional avançada (Kittleson, 2020; Damy, 2025).

No entanto, a evidência disponível sobre o uso de tafamidis em pacientes com menos de 60 anos é limitada, pois a maioria dos participantes dos principais estudos, como o ATTR-ACT, era composta por indivíduos mais idosos (idade média em torno de 74 anos) (Maurer, 2018). Não há subanálises publicadas específicas para a faixa etária <60 anos nos grandes ensaios clínicos randomizados ou nas diretrizes (Kittleson, 2020; Damy, 2025). Apesar disso, os mecanismos fisiopatológicos da ATTR-CM e a ação do tafamidis (estabilização do tetrâmero de TTR) são os mesmos em pacientes mais jovens, especialmente nos casos hereditários, que tendem a se manifestar em idades mais precoces (Kittleson, 2020; Yu, 2025).

Estudos observacionais e relatos de coortes com mutações hereditárias, como Ala97Ser, sugerem que o tafamidis reduz a progressão da deposição amiloide e estabiliza marcadores de imagem e função cardíaca ao longo do tempo, inclusive em pacientes mais jovens, embora o número de pacientes nessas faixas etárias seja pequeno (Yu, 2025). O benefício clínico, portanto, é extrapolado dos dados robustos em populações mais velhas e dos princípios fisiopatológicos, sendo considerado plausível e recomendado para adultos com ATTR-CM sintomática, independentemente da idade, desde que não haja contraindicações e o paciente esteja em classe funcional NYHA I-III (Kittleson, 2020; Damy, 2025).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Redução da mortalidade cardiovascular e das hospitalizações relacionadas ao coração (Damy, 2021), porém o estudo foi realizado em pacientes com mais de 60 anos. A evidência disponível sobre o uso de tafamidis em pacientes com menos de 60 anos é limitada.

6. Conclusão

6.1. Parecer

(X) Favorável

() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Em 19 de junho de 2024 foi publicada a Portaria SECTICS/MS Nº 26 que definiu a incorporação no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, o 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.

O medicamento foi aprovado para esta indicação em pessoas acima dos 60 anos. Não há representatividade de pessoas mais jovens nos estudos. De acordo com os documentos clínicos fornecidos, o paciente já está em uso do medicamento desde 2023. Além disso, de acordo com a descrição clínica, o paciente apresenta sintomas de neuropatia, para os quais o medicamento é aprovado também.

Portanto este NATJUS manifesta-se **FAVORÁVEL** à demanda.

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. Damy T, Wang R, Maurer MS, Gillmore JD, Fontana M. Long-term efficacy of tafamidis in patients with transthyretin amyloid cardiomyopathy by National Amyloidosis Centre stage. *Eur J Heart Fail.* 2025 Jun 9
2. Kittleson MM, Maurer MS, Ambardekar AV, Bullock-Palmer RP, Chang PP, Eisen HJ, Nair AP, Nativi-Nicolau J, Ruberg FL; American Heart Association Heart Failure and Transplantation Committee of the Council on Clinical Cardiology. Cardiac Amyloidosis: Evolving Diagnosis and Management: A Scientific Statement From the American Heart Association. *Circulation.* 2020 Jul 7;142(1):e7-e22. doi: 10.1161/CIR.0000000000000792. Epub 2020 Jun 1. Erratum in: *Circulation.* 2021 Jul 6;144(1):e10
3. Maurer MS, Schwartz JH, Gundapaneni B, Elliott PM, Merlini G, Waddington-Cruz M, Kristen AV, Grogan M, Witteles R, Damy T, Drachman BM, Shah SJ, Hanna M, Judge DP, Barsdorf AI, Huber P, Patterson TA, Riley S, Schumacher J, Stewart M, Sultan MB, Rapezzi C; ATTR-ACT Study Investigators. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *N Engl J Med.* 2018 Sep 13;379(11):1007-1016.
4. Yu AL, Chen YC, Tsai CH, Chao CC, Su MY, Shun CT, Hsueh HW, Juang JJ, Lee MJ, Tseng PH, Hsieh ST, Cheng MF, Lin YH. Impact of Tafamidis on [99mTc]Tc-pyrophosphate Scintigraphy in Ala97Ser Hereditary Transthyretin amyloid cardiomyopathy: significant initial reduction with stable Long-Term effects. *Eur J Nucl Med Mol Imaging.* 2025 Apr;52(5):1853-1863

5. Brasil, Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Tafamidis meglumina no tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), classes NYHA II e III acima de 60 anos de idade. Relatório de recomendação, N 795. Brasília, 2022
6. Damy T, Garcia-Pavia P, Hanna M, Judge DP, Merlini G, Gundapaneni B, Patterson TA, Riley S, Schwartz JH, Sultan MB, Witteles R. 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. 2021 Feb;23(2):277-285
7. MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Inovação e do Complexo Econômico-Industrial da Saúde (SECTICS). Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde (DGITS). Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC). Relatório de recomendação n.º 899: Tafamidis 61 mg no tratamento de pacientes com cardiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária), classe NYHA II e III, acima de 60 anos de idade. Brasília, DF, maio 2024. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/2024/tafamidis-61-mg-no-tratamento-de-pacientes-com-cardiopatia-amiloide-associada-a-transtirretina-selvagem-ou-hereditaria-classe-nyha-ii-e-iii-acima-de-60-anos-de-idade>>
8. Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais - RENAME 2024. Brasília: Ministério da Saúde, 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/centrais-de-conteúdo/biblioteca-virtual/rename-2024>

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.

RENOME - 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, 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.

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.