



n. 59

publicado em agosto/2017

RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

informações sobre recomendações de incorporação
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

*TAFAMIDIS MEGLUMINA NO TRATAMENTO DA
POLINEUROPATIA AMILOIDÓTICA FAMILIAR*



RELATÓRIO PARA A SOCIEDADE

Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC e foi elaborado numa linguagem simples, de fácil compreensão, para estimular a participação da sociedade no processo de avaliação de tecnologias em saúde que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

Todas as recomendações da CONITEC são submetidas à consulta pública pelo prazo de 20 dias. Após analisar as contribuições recebidas na consulta pública, a CONITEC emite a recomendação final, que pode ser a favor ou contra a incorporação/exclusão/alteração da tecnologia analisada.

A recomendação da CONITEC é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a CONITEC, acesse <conitec.gov.br>

Polineuropatia amiloidótica familiar (PAF)

Polineuropatia é o termo utilizado para denominar uma condição onde as células nervosas do indivíduo são afetadas, promovendo distúrbios nos mecanismos de controle central e específico(periférico) do corpo, e conseqüentemente, no seu funcionamento normal. As principais manifestações das polineuropatias são: dores crônicas, formigamento e perda de sensibilidade em braços e pernas, cansaço, visão borrada, diarreia e outras incapacidades que podem surgir ou se intensificar com o passar dos anos e evolução da doença. A Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF) é uma doença genética rara, hereditária e que se manifesta geralmente a partir dos 20 anos de idade. Entre os diversos tipos de amiloidoses, a polineuropatia amiloidótica familiar associada à transtirretina (PAF-TTR) ocorre quando ocorre defeito (mutação) no gene que produz a transtirretina, uma proteína importante que atua no transporte de hormônios e outras moléculas que regulam várias funções no organismo. Uma das importantes complicações causadas pela PAF-TTR é a cardiomiopatia, ou seja, um adoecimento cardíaco, neste caso, causado pelo acúmulo da proteína transtirretina defeituosa nas células do coração.

O número de casos de PAF no Brasil e no mundo não é preciso, mas acredita-se que no Brasil possa haver até 4.800 brasileiros com a PAF. **Por se tratar de uma doença rara, e que muitas vezes não é adequadamente diagnosticada, muitas pessoas só a descobrem quando já estão desenvolvendo sintomas em uma fase mais avançada da doença.** Trata-se de uma condição ainda sem cura. Os principais objetivos do tratamento são aliviar e evitar a formação de amilóides (agregados formados pelas proteínas defeituosas).

Como o SUS trata os pacientes com polineuropatia amiloidótica familiar (PAF)

Até o momento, o SUS oferece tratamentos para os sintomas da doença, por meio de procedimentos previstos na **Política Nacional de Atenção às Pessoas com Doenças Raras**, além de oferecer o transplante de fígado, como opções disponíveis para os pacientes com PAF-TTR. Como a proteína transtirretina é produzida principalmente no fígado, o transplante desse órgão permite reduzir a principal fonte da proteína alterada, sendo indicado principalmente nas fases iniciais da doença (estágio I ou II). Contudo, a disponibilidade de órgãos para transplantes é limitada, e em alguns casos, os pacientes podem não atender aos requisitos mínimos para serem submetidos a um transplante.

Medicamento analisado: Tafamidis meglulina

O Laboratório Pfizer LTDA solicitou à CONITEC a incorporação do tafamidis meglulina para o tratamento de polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à proteína transtirretina (PAF-TTR) em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante de fígado.

O tafamidis é um medicamento para uso oral, com indicação aprovada pela ANVISA para tratamento da PAF-TTR em pacientes adultos com polineuropatia sintomática, em estágio inicial ou intermediário, para atrasar o comprometimento neurológico periférico.

A CONITEC avaliou sete estudos apresentados pelo demandante e um estudo resultante de nova busca na literatura científica para avaliar a eficácia e segurança do tafamidis nessa população. De todos os estudos selecionados, apenas um deles foi considerado de melhor rigor metodológico, mesmo apresentando 20% de pacientes que não permaneceram até o fim do estudo, o que prejudica a análise dos resultados. **A comparação entre utilizar tafamidis em relação a**



nenhum tratamento (placebo) mostrou potencial benefício do tratamento no que se refere ao comprometimento neurológico e à qualidade de vida dos pacientes. Contudo, a confiança desse resultado é considerada baixa. Além disso, o benefício comparativo do tafamidis em relação a outras opções terapêuticas não foi avaliado nos estudos disponíveis.

A avaliação econômica realizada pelo demandante apontou um custo significativo para a implementação do tafamidis no SUS.

Recomendação inicial da CONITEC

Foi considerada pelo Plenário da CONITEC a falta de opções terapêuticas para a doença, além da possibilidade de se estabelecer critérios definidos para inclusão ou exclusão de pacientes do tratamento, especialmente aqueles que não apresentarem boa resposta ao tratamento. **Assim, os membros do plenário da CONITEC, presentes na 57ª reunião ordinária, realizada nos dias 05 e 06 de julho de 2017, recomendaram inicialmente a incorporação no SUS do tafamidis meglulina para o tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à proteína transtirretina (PAF-TTR) em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial da doença, condicionada à elaboração de protocolo clínico e diretrizes terapêuticas e negociação de preço com o fabricante do medicamento.**

O assunto está agora em consulta pública para receber contribuições da sociedade (opiniões, sugestões e críticas) sobre o tema. Para participar, preencha o formulário eletrônico disponível em:

< <http://conitec.gov.br/consultas-publicas> >

O relatório técnico completo de recomendação da CONITEC está disponível em:

< http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2017/Relatorio__Tafamidis_PAF_INICIAL_36_2017_CP.pdf >



<http://conitec.gov.br> twitter: @conitec_gov app: conitec

CONITEC Comissão Nacional de
Incorporação de
Tecnologias no SUS