



Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

RESPOSTA TÉCNICA

IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

SOLICITANTE: MM. Juiz de Direito Dr.

PROCESSO Nº.: 50403576120198130024

CÂMARA/VARA: 2ª Vara de Fazenda Pública e Autarquias

COMARCA: Belo Horizonte

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

REQUERENTE: L.W.B.

IDADE: 66 anos

PEDIDO DA AÇÃO: Medicamento – Vyndaquel® (Tafamidis Meglumina 20mg)

DOENÇA(S) INFORMADA(S): E 85

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Como opção terapêutica para o retardar a progressão da Amiloidose TTR com Polineuropatia (PAF-TTR) e Miocardiopatia restritiva (CAF-TTR)

REGISTRO NO CONSELHO PROFISSIONAL: CRMMG 61868

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2017.0001121

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

1) o medicamento/aparelho postulado tem indicação de bula/do fabricante para o tratamento proposto? **R.: Sim.** Está aprovado pela ANVISA para ser comercializado no Brasil no uso proposto? **R.: Sim.**

2) há pedido de inclusão do medicamento/aparelho nos protocolos clínicos do SUS? **R.: Medicamento foi incluído no SUS através do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar - PAF, Portaria Conjunta nº 22 de 02/10/2018.** se já foi analisado o pedido, qual a conclusão do parecer? **R.: Vide resposta anterior.**

3) todas as alternativas terapêuticas atualmente disponíveis no SUS já foram tentadas? **R.: Não se aplica.** em caso negativo, qual é o tratamento ainda não tentado? **R.: Não se aplica.** há contraindicação ao tratamento não tentado levando-se em conta as demais condições clínicas do paciente? **R.: Não se**



Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

aplica.

4) há evidência científica de que o uso do medicamento/aparelho postulado tem resposta satisfatória e/ou superior aos tratamentos disponíveis no SUS? **R.: O medicamento representa opção de terapêutica medicamentosa satisfatória disponível no momento.**

5) o uso do medicamento/aparelho postulado impõe risco à saúde do paciente (efeitos colaterais severos, comorbidades, toxicidade, etc)? **R.: Sim, não há tratamento isento de riscos.**

6) quais os riscos para o paciente com o diagnóstico acima que não trata adequadamente a doença? **R.: Evolução da doença com instalação das complicações secundárias aos órgãos acometidos; as manifestações sistêmicas podem superar as da neuropatia. há risco de morte? R.: Sim.**

7) outras informações consideradas úteis na análise jurídica do caso.

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Conforme a documentação apresentada trata-se de paciente / requerente com diagnóstico genético de Amiloidose Familiar por transtirretina TTR, manifestando polineuropatia amiloidótica familiar e miocardiopatia restritiva classe funcional II de NYHA, para o qual foi prescrito o uso contínuo do medicamento requerido.

A amiloidose é uma doença sistêmica descrita pela primeira vez em 1854 por Rudolph Virchow. É causada pela deposição extracelular de fibrilhas insolúveis de proteínas de baixo peso molecular que adquirem uma conformação de β pleated sheets. Até à data, são conhecidas pelo menos 30 proteínas diferentes, sendo as mais comuns as cadeias leves (amiloidose AL), a proteína amiloide tipo A sérica (amiloidose AA) e a transtirretina (TTR).

Apesar da grande heterogeneidade na estrutura e função, estas proteínas depositam-se na forma de amiloide nos vários órgãos, de forma localizada ou sistêmica, podendo causar disfunção multiorgânica.

A apresentação clínica é variável e relaciona-se com o tipo de órgãos



Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

envolvidos e o grau de disfunção associado. O diagnóstico é habitualmente tardio, uma vez que se trata de uma patologia cujas manifestações clínicas são pouco específicas, sendo frequentemente ignoradas ou confundidas com outras patologias.

As amiloidoses são classificadas segundo a composição bioquímica das proteínas precursoras séricas que formam as fibrilas de amilóide e depósitos. A determinação do tipo de proteína amilóide pode ser efetuada através de estudo imuno-histoquímico do tecido biopsiado (soros antikappa, antilambda, antiamilóide A, transtirretina), ou por espectrofotometria de massa.

A amiloidose familiar por TTR é um grupo de neuropatias periféricas predominantemente hereditárias com depósito amilóide em vários órgãos.

“A Amiloidose generalizada, atípica, familiar, com especial envolvimento dos nervos periféricos (1952) ou “Polineuropatia Amiloidótica Familiar” (PAF) (1958), atualmente, Amiloidose familiar por transtirretina TTR, é uma doença autossômica dominante causada por uma forma mutante da TTR de início na fase adulta, sistêmica e consumptiva que cursa frequente com polineuropatia sensitivo-motora-autonômica, usualmente fatal em 10-15 anos. Há heterogeneidade clínica da doença relacionada à diversidade de penetrância genética e idade de início dos sintomas”.

A Polineuropatia Amiloidótica Familiar – PAF é uma doença progressiva e incapacitante multissistêmica atingindo além do sistema nervoso periférico, o aparelho digestivo (deposição de amilóide nas paredes e nervos autonômicos), bloqueio de condução cardíaca, cardiomiopatia e, mais raramente, nefropatia e opacidade do vítreo ou glaucoma.

“A amiloidose cardíaca surge da deposição de amilóide no tecido cardíaco, sendo a forma de miocardiopatia restritiva mais frequente no mundo ocidental, podendo confundir-se, em cerca de 5% dos casos, com miocardiopatia hipertrófica”.

“A amiloidose cardíaca (AC) é uma doença de diagnóstico difícil,



Tribunal de Justiça do Estado de Minas Gerais

Av. Augusto de Lima, 1549, 3º andar, sala P-358, Fórum Lafayette
Belo Horizonte – MG CEP 30190-002

condutas limitadas e prognóstico reservado. Um alto índice de suspeição é necessário para seu reconhecimento. Há algumas pistas clínicas, como indivíduos idosos com hipertrofia ventricular esquerda (HVE) não explicada, insuficiência cardíaca com fração de ejeção preservada (ICFEP) e padrão restritivo, dissociação entre HVE ao ecocardiograma e baixa voltagem no eletrocardiograma, entre outras”.

“A AC pode se apresentar sob diversas formas hemodinâmicas e padrões de remodelamento, conforme a fase de evolução da doença. Pode se apresentar como forma restritiva, com fração de ejeção do ventrículo esquerdo acima de 50%; e forma dilatada com fração de ejeção reduzida”.

O tratamento tem como principais objetivos retardar a progressão da doença, o tratamento da doença subjacente e o alívio sintomático, e deverá ser realizado por uma equipe multidisciplinar. A transplantação hepática é a base do tratamento da amiloidose TTR, uma vez que a proteína alterada tem síntese majoritariamente hepática. 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.

IV – REFERÊNCIAS:

- 1) Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar, Portaria Conjunta nº 22 de 02/10/2018.
- 2) Relatório para Sociedade nº 59, CONITEC.
- 3)

V – DATA:

14/05/2019 NATJUS - TJMG