



## 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  $\beta$ 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