



PRESIDÊNCIA DA REPÚBLICA
Secretaria de Governo
Secretaria-Executiva

OFÍCIO Nº 911/2022/SEGOV-SE/SEGOV/PR

Brasília, na data da assinatura.

A Sua Excelência o Senhor
Deputado Federal LUCIANO BIVAR
Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados
Câmara dos Deputados - Praça dos Três Poderes
70160-900 Brasília/DF

Assunto: Indicação Parlamentar - resposta.

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, reporto-me ao Ofício 1ªSec/I/E/nº 277/2021 (SEI PR 2765631), por meio do qual Vossa Excelência encaminha relação de indicações apresentadas por Parlamentares dessa Casa, em específico a Indicação nº 643/2021 (SEI PR 2765635), de autoria da Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência, "*sugere liberação de medicamento para tratamento de estágio intermediário da doença rara Amiloidose hereditária (PAF-TTR)*".
2. A este respeito, encaminho o OFÍCIO Nº 2323/2022/ASPAR/MS (SEI PR 3609262) e respectivos anexos (SEI PR 3609263), (SEI PR 3609264) e (SEI PR 3609266), pelos quais o Ministério da Saúde remete respostas quanto à solicitação da referida Comissão.
3. À oportunidade, renovo votos de distinta consideração e apreço.

Respeitosamente,

CARLOS HENRIQUE MENEZES SOBRAL
Secretário-Executivo



Documento assinado eletronicamente por **Carlos Henrique Menezes Sobral, Secretário-Executivo**, em 15/09/2022, às 10:18, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#).

A autenticidade do documento pode ser conferida informando o código verificador **3626957** e o



código CRC **3E0F844D** no site:

https://sei-pr.presidencia.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0

Referência: Caso responda este Ofício, indicar expressamente o Processo nº 00001.007398/2022-19

SEI nº 3626957

Palácio do Planalto - 4º Andar - Sala: 430 — Telefone: 61-3411-1572

CEP 70150-900 Brasília/DF - <https://www.gov.br/planalto/pt-br>



Ministério da Saúde
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares

OFÍCIO Nº 2323/2022/ASPAR/MS

Brasília, 04 de agosto de 2022.

À Senhora

JANAÍNA DONOSINO

Assessora da Assessoria Especial da Casa Civil
Casa Civil da Presidência da República
Palácio do Planalto, 4º Andar, sala 413.
Presidência da República

Assunto: **Indicação Parlamentar nº 643/2021.**

Senhora Assessora Especial,

1. Reporto-me ao **Ofício nº 383/2021/PROTOCOLO/AESP/CC/PR** (0022124485), de 03 de agosto de 2021, acompanhado da **Indicação Parlamentar n.º 643/2021**, de autoria da **Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência**, que "Sugere liberação de medicamento para tratamento do estágio intermediário da doença rara Amiloidose hereditária (PAF-TTR).".
2. Em resposta à referida Indicação, encaminho o **Despacho SCTIE/GAB/SCTIE/MS** (0024223418), a **Nota Técnica nº 385/2021-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS** (0022431207) e o **Parecer Técnico nº 62/2021-DAF/SCTIE/MS** (0024160182), elaborados pela Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde - SCTIE/MS, com os esclarecimentos pertinentes à sugestão.

Atenciosamente,

GUSTAVO ROCHA DE MENEZES
Chefe de Gabinete do Ministro de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Gustavo Rocha de Menezes, Chefe de Gabinete**, em 29/08/2022, às 18:39, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0028479144** e o código CRC **36C1A117**.

Referência: Processo nº 25000.120418/2021-04

SEI nº 0028479144

Assessoria Parlamentar - ASPAR
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Gabinete

DESPACHO

SCTIE/GAB/SCTIE/MS

Brasília, 07 de dezembro de 2021.

Referência Sei: [0022431207](#) e [0024160182](#)

Assunto: Indicação Parlamentar nº 643/2021, da Comissão de Defesa dos Direitos das Pessoas com Deficiência da Câmara dos Deputados - sugere a liberação de medicamentos inovadores para a doença da Amiloidose hereditária e atenção integral aos pacientes por meio do SUS, e a constituição de incentivos financeiros de custeio.

Ciente do teor da Nota Técnica nº 385/2021-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS ([0022431207](#)) e do Parecer Técnico nº 62/2021-DAF/SCTIE/MS ([0024160182](#)), elaborados no âmbito das áreas técnicas desta Secretaria.

Encaminha-se à Assessoria Parlamentar (ASPAR), para análise e providências.

HÉLIO ANGOTTI NETO

Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Hélio Angotti Neto, Secretário(a) de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde**, em 11/12/2021, às 13:49, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0024223418** e o código CRC **38ED29BD**.

Referência: Processo nº 25000.120418/2021-04

SEI nº 0024223418

Criado por [mayra.brito](#), versão 4 por [alex.sales](#) em 07/12/2021 13:34:43.



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos

PARECER TÉCNICO Nº 62/2021-DAF/SCTIE/MS

INTERESSADO: PRESIDÊNCIA DA REPÚBLICA - Assessoria Especial da Casa Civil

REFERÊNCIA: OFÍCIO Nº 383/2021/PROTOCOLO/AESP/CC/PR

ASSUNTO: Indicações Parlamentares - Referente ao Processo nº 00030.002834/2021-35

Trata-se do Ofício nº 383/2021/PROTOCOLO/AESP/CC/PR ([0022124485](#)) oriundo da PRESIDÊNCIA DA REPÚBLICA - Assessoria Especial da Casa Civil, o qual solicita informações sobre fornecimento do medicamento TAFAMIDIS para tratamento do estágio intermediário da doença rara Amiloidose hereditária (PAF-TTR).

Inicialmente, cabe registrar que o Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumo Estratégico - DAF tem suas ações pautadas pela Política Nacional de Medicamentos - Portaria de Consolidação GM/MS nº 02/2017 e Política Nacional de Assistência Farmacêutica (PNAF), aprovada por meio da Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 338 de 2004, que define a assistência farmacêutica como um conjunto de ações voltadas à saúde, tanto individual como coletiva, tendo o medicamento como insumo essencial e visando seu acesso e uso racional. De forma complementar, a Lei nº 12.401 de 2011 definiu ainda que a assistência farmacêutica consiste na oferta, pelo SUS, de medicamentos e produtos de interesse para a saúde em conformidade com os protocolos clínicos, além da oferta de procedimentos terapêuticos, em regime domiciliar, ambulatorial e hospitalar constantes de tabelas elaboradas pelo gestor federal do SUS.

O Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos (DAF) possui competência regimental de coordenar a Assistência Farmacêutica nacional, assim como programar a aquisição dos medicamentos considerados essenciais ao Sistema Único de Saúde, conforme estabelecido pelo Decreto nº 9.795, de 17 de maio de 2019:

Art. 31. Ao Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos compete:

I - subsidiar a Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde na formulação de políticas, diretrizes e metas para as áreas e os temas estratégicos necessários à implementação da Política Nacional de Saúde no âmbito de suas competências;

II - formular, implementar e coordenar a gestão das Políticas Nacionais de Assistência Farmacêutica e de Medicamentos, inclusive sangue, hemoderivados, vacinas e imunobiológicos, como partes integrantes da Política Nacional de Saúde, observados os princípios e as diretrizes do SUS;

III - prestar cooperação técnica para o aperfeiçoamento da capacidade gerencial e operacional dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios no âmbito de suas competências;

IV - coordenar a organização e o desenvolvimento de programas, projetos e ações em áreas e temas de abrangência nacional no âmbito de suas competências;

V - orientar, promover e coordenar a organização da assistência farmacêutica, nos diferentes níveis da atenção à saúde, observados os princípios e as diretrizes do SUS;

VI - programar a aquisição e a distribuição de insumos estratégicos para a saúde, em particular para a assistência farmacêutica, em articulação com o Departamento de Logística em Saúde da Secretaria-Executiva;

VII - propor acordos e convênios com os Estados, o Distrito Federal e os Municípios para a execução descentralizada de programas e projetos especiais no âmbito do SUS no âmbito de suas

competências;

VIII - orientar, capacitar e promover ações de suporte aos agentes envolvidos no processo de assistência farmacêutica e insumos estratégicos em saúde, com vistas à sustentabilidade dos programas e dos projetos no âmbito de suas competências;

IX - elaborar e acompanhar a execução de programas e projetos relacionados à produção, à aquisição, à distribuição, à dispensação e ao uso de medicamentos no âmbito do SUS; e

X - coordenar a implementação de ações relacionadas com assistência farmacêutica e acesso aos medicamentos no âmbito dos Programas de Assistência Farmacêutica do Ministério da Saúde.

A Assistência Farmacêutica no Sistema Único de Saúde - SUS observa desde a análise prévia dos medicamentos pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC), que avalia para cada situação clínica o resultado de evidências científicas, eficácia, efetividade e segurança; o que possibilita ao medicamento ser incluído na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais – RENAME, que se constitui na relação dos medicamentos disponibilizados por meio de políticas públicas e indicados para os tratamentos das doenças e agravos que acometem a população brasileira. Essa análise possibilita a garantia do acesso à assistência farmacêutica e o uso racional de medicamentos.

Como informado na Nota Técnica 385/2021-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS ([0022431207](#)), durante a 57ª reunião ordinária realizada em 05/07/2017, o plenário da CONITEC recomendou preliminarmente a incorporação no SUS do TAFAMIDIS MEGLUMINA para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático. O tema foi disponibilizado em consulta pública. Foram recebidas 70 contribuições técnico-científicas e 764 sobre experiência ou opinião. Na 61ª reunião ordinária, após apreciação das contribuições, o plenário da CONITEC considerou contundente a necessidade de retomar a análise do tema incluindo as evidências apresentadas pela contribuição contrária.

Na 62ª reunião ordinária, no dia 07 de dezembro de 2017, após apreciação das evidências trazidas pela contribuição contrária, o plenário entendeu que não houve nova informação e manteve a recomendação inicial. Os membros da CONITEC presentes deliberaram, por unanimidade, por recomendar a incorporação no SUS do TAFAMIDIS MEGLUMINA para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia amiloidótica familiar sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático, mediante negociação de preço e Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 320/2017. A recomendação foi encaminhada para decisão do Secretário da SCTIE que ratificou a recomendação da Comissão. A decisão foi dada pela Portaria SCTIE-MS nº 02 publicada no Diário Oficial da União (DOU) nº 13, de 18 de janeiro de 2018, pág. 56. O PCDT de Polineuropatia Amiloidótica Familiar foi publicado por meio da Portaria Conjunta nº 22, de outubro de 2018.

O TAFAMIDIS MEGLUMINA encontra-se padronizado na Rename, no grupo 1A do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF).

Informamos ainda que o medicamento TAFAMIDIS MEGLUMINA está em processo de aquisição e na data de 02 de dezembro de 2021 foi assinado contrato com o fornecedor, onde este tem até 55 dias para iniciar a entrega do medicamento.

Cabe esclarecer que a Resolução nº 1/CIT, de 17 de janeiro de 2012, em seu artigo 7º, define que “A seleção dos medicamentos que serão ofertados pelos estados, Distrito Federal e municípios, a partir da RENAME, considerará o perfil epidemiológico, a organização dos serviços e a complexidade do atendimento oferecido”; e ainda, em seu Parágrafo Único, que “Outros critérios poderão ser definidos pelos entes federativos, observando-se aqueles previstos no caput, devendo os mesmos serem pactuados na CIB (...)”. Assim, cabe ressaltar, que os Municípios, Estados e Distrito Federal possuem autonomia para a padronização de outros medicamentos e insumos não constantes na RENAME de acordo com suas características e necessidades epidemiológicas.

Restitua-se ao Gabinete da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (GAB/SCTIE/MS) para as providências pertinentes.

Atenciosamente,

WENDELL RODRIGUES OLIVEIRA DA SILVA

Farmacêutico - Consultor Técnico

SANDRA DE CASTRO BARROS

Diretora

DAF/SCTIE/MS



Documento assinado eletronicamente por **Sandra de Castro Barros, Diretor(a) do Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos**, em 06/12/2021, às 17:27, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Wendell Rodrigues Oliveira da Silva, Consultor**, em 07/12/2021, às 13:23, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0024160182** e o código CRC **5B81816A**.

Referência: Processo nº 25000.120418/2021-04

SEI nº 0024160182

Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos - DAF
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br

Criado por [wendell.silva](#), versão 2 por [wendell.silva](#) em 03/12/2021 10:16:51.



Ministério da Saúde
Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde
Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde
Coordenação-Geral de Gestão de Tecnologias em Saúde
Coordenação de Incorporação de Tecnologias

NOTA TÉCNICA Nº 385/2021-CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

ASSUNTO: Indicação nº 643/2021 – Requer o envio de Indicação ao Poder Executivo, sugerindo ao Ministro da Saúde a liberação de medicamento para tratamento do estágio intermediário da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à transtirretina (PAF-TTR).

INTERESSADO: Câmara dos Deputados - Gabinete da Deputada Federal Sra. Rejane Dias.

NUP: 25000.120418/2021-04.

I. OBJETIVO

Esta nota técnica tem por objetivo apresentar informações acerca da condição clínica PAF-TTR e os tratamentos disponibilizados pelo Sistema Único de Saúde (SUS).

II. DOS FATOS

Trata-se do Ofício nº 383/2021/PROTOCOLO/AESP/CC/PR ([0022124485](#)) proveniente da Casa Civil da Presidência da República que encaminha em cópia o Ofício 1ªSec/I/E/nº 277/2021, de 08/06/2021, acompanhado da Indicação nº 643 de 2021, de autoria da Deputada Federal, Sra. Rejane Dias, a qual requer:

“[...] a liberação de medicamentos inovadores para a doença da Amiloidose hereditária e atenção integral aos pacientes por meio do SUS, e a constituição de incentivos financeiros de custeio.”

O expediente foi encaminhado ao Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS/SCTIE/MS), tendo em vista sua competência em atuar como Secretaria-Executiva da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec)^[1].

III. ANÁLISE

III. 1. Da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à transtirretina (PAF-TTR) e do tratamento medicamentoso

A PAF-TTR é uma doença genética neurodegenerativa progressiva altamente incapacitante, irreversível e fatal. É uma forma de amiloidose hereditária autossômica dominante causada por mutações no gene da

transtirretina (TTR). Além da grave incapacidade ao longo da evolução da doença, a PAF-TTR costuma ser fatal entre 7 a 12 anos após o início dos sintomas^[2].

O gene TTR está localizado no cromossomo 18q12.1 e apresenta 7kB e quatro éxons. Seu produto é a transtirretina, uma proteína que se apresenta em forma tetramérica. É produzida principalmente no fígado e a sua função é o transporte de tiroxina e de vitamina A/RBP retinol. Existem mais de 100 mutações descritas no gene TTR, sendo a Val30Met a mais comum no Brasil e está associada com doença de início precoce e fenótipo mais agressivo. Como consequência da mutação, ocorre a produção de proteínas mal dobradas que desestabilizam a estrutura tetramérica e acabam por se agregar na forma de fibrilas amiloides. Esses agregados acumulam-se preferencialmente no sistema nervoso periférico, o que explica a apresentação clínica da doença^[2].

Neste ponto, a apresentação clínica inicial da doença é variada, podendo ser a de uma polineuropatia sensório-motora, neuropatia focal, disfunção autonômica ou acometimento cardíaco. A idade de início pode ser entre a segunda e a nona década de vida, com variação entre diferentes populações. As principais manifestações clínicas são dor, parestesia, perda de sensibilidade e paresia que iniciam nos membros inferiores e evoluem para todo o corpo. Ocorre ainda disfunção da marcha e os pacientes acabam por necessitar de auxílio para caminhar ou ficam restritos à cadeira de rodas^[2].

Por se tratar de uma doença rara e que muitas vezes não é adequadamente diagnosticada, a real prevalência mundial é desconhecida. No Brasil, não há dados conhecidos sobre a prevalência da PAF-TTR. O Centro de Estudos de Paramiloidose Antônio Rodrigues de Mello (CEPARM), da Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ), reportou os dados de 102 pacientes (58 homens e 44 mulheres) brasileiros com PAF-TTR em 2012, sendo 77% dos casos provenientes do Rio de Janeiro e, com exceção de quatro casos, ascendência portuguesa foi encontrada. Considerando dados de prevalência da PAF-TTR em Portugal e de número de descendentes de portugueses no país, foi feita uma estimativa de que haja no Brasil cerca de 4.800 pacientes, com prevalência 2,33/100.000 habitantes^[2].

O diagnóstico da PAF-TTR pode ser consolidado a partir do quadro clínico determinado por especialistas na área de neurologia ou cardiologia, constatação do depósito amiloide, teste genético comprovando a mutação em TTR e histórico familiar da doença. Contudo, casos de sintomatologia compatível (sem outra causa demonstrada), DNA com a presença da mutação e sem história familiar conhecida também devem ser considerados. Portanto, para o diagnóstico é necessário: DNA com a presença de mutação e sintomatologia compatível^[3].

Os principais objetivos no tratamento da PAF-TTR são o tratamento sintomático e a modificação do curso da doença pela prevenção da formação de amiloides^[2].

Em 2017, a Conitec recebeu demanda dos Laboratórios Pfizer LTDA para análise do medicamento tafamidis meglumina (Vyndaquel®) para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático.

O tafamidis meglumina é um estabilizador seletivo de TTR, que se liga, com cooperatividade negativa, aos dois sítios de ligação da tiroxina na forma tetrâmera nativa de TTR, prevenindo a dissociação em monômeros, que é a etapa limitante da velocidade no processo amiloidogênico. A inibição da dissociação do tetrâmero da TTR forma a justificativa para o uso de tafamidis para diminuir a progressão da doença na amiloidose de TTR e, especificamente, na PAF-TTR^[2].

Durante a 57ª reunião ordinária realizada em 05/07/2017, o plenário da Conitec recomendou preliminarmente a incorporação no SUS do tafamidis meglumina para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático. O tema foi disponibilizado em consulta pública. Foram recebidas 70 contribuições técnico-científicas e 764 sobre experiência ou opinião. Na 61ª reunião ordinária, após apreciação das contribuições, o plenário da Conitec considerou contundente a necessidade de retomar a análise do tema incluindo as evidências apresentadas pela contribuição contrária^[2].

Na 62ª reunião ordinária, no dia 07 de dezembro de 2017, após apreciação das evidências trazidas pela contribuição contrária, o plenário entendeu que não houve nova informação e manteve a recomendação inicial. Os membros da Conitec presentes deliberaram, por unanimidade, por recomendar a incorporação no SUS do tafamidis meglumina para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia amiloidótica familiar sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático, mediante negociação de preço e Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde. Foi assinado o Registro de Deliberação nº 320/2017. A recomendação foi encaminhada para decisão do Secretário da SCTIE que ratificou a recomendação da Comissão. A decisão foi dada pela Portaria SCTIE-MS nº 02 publicada no Diário Oficial da União (DOU) nº 13, de 18 de janeiro de 2018, pág. 56^[2].

III.2. Dos tratamentos disponíveis no SUS

O Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Polineuropatia Amiloidótica Familiar foi publicado por meio da Portaria Conjunta nº 22, de outubro de 2018. O Protocolo contém o conceito geral da polineuropatia amiloidótica familiar, critérios de diagnóstico, critérios de inclusão e de exclusão, tratamento e mecanismos de regulação, controle e avaliação, é de caráter nacional e deve ser utilizado pelas Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios na regulação do acesso assistencial, autorização, registro e ressarcimento dos procedimentos correspondentes^[3].

Conforme dispõe o PCDT, o tratamento da PAF-TTR é complexo e requer medidas específicas para o controle da progressão da amiloidogênese sistêmica, além de terapia direcionada aos sintomas e órgãos afetados pela amiloidose^[3].

O tratamento não medicamentoso inclui transplante de fígado com o objetivo de prevenir a formação de depósitos amiloides adicionais, pela remoção do principal sítio de produção de qualquer TTR, mutada ou não. Com a substituição do fígado, espera-se que não haja progressão da doença. Pelo fato de não ser uma medida terapêutica curativa das lesões, o transplante deve ser realizado no estágio inicial (estágio I) da doença, antes do aparecimento de lesões extensas que não poderão ser revertidas com este procedimento. A indicação, realização e acompanhamento pós-transplante hepático devem-se dar conforme o Regulamento Técnico do Sistema Nacional de Transplantes vigente^[3].

O único tratamento medicamentoso indicado no Protocolo é o uso de tafamidis meglumina. Recomenda-se o tratamento com tafamidis meglumina, uma vez que este agente apresentou um satisfatório perfil de segurança além de ser eficaz na estabilização da TTR e redução da progressão da doença. Para esta população, o uso de tafamidis meglumina também é associado a uma melhora ou manutenção do status nutricional. Para pacientes com amiloidoses associadas à TTR com mutações que não a p.Val30Met ou p.Val122Ile, o uso de tafamidis meglumina também é recomendado, pois este mostrou-se bem tolerado e eficaz na estabilização da TTR, com melhora do IMC modificado e qualidade de vida dos pacientes. Os pacientes em uso de tafamidis meglumina devem ser rigorosamente acompanhados em centros de

referência e, caso se mostrem não respondedores, deverão ser orientados ao transplante hepático ou outra possibilidade terapêutica^[3].

O tafamidis meglumina encontra-se padronizado na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (Rename)^[4], no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf). O fármaco está elencado no Grupo 1A do Ceaf, medicamentos deste grupo são de aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às secretarias de Saúde dos estados e do Distrito Federal.

III. 3. Da Incorporação de tecnologias no âmbito do SUS

Para que um medicamento seja incluído na Rename, é necessário que o mesmo seja apreciado pela Conitec e incorporado ao SUS pelo Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde (SCTIE/MS). Da mesma forma, para que uma tecnologia em saúde seja fornecida pela rede pública, é necessário, via de regra, além do registro na Anvisa, que a mesma seja analisada pela Conitec e que o secretário da SCTIE/MS decida pela incorporação, conforme dispõem a Lei nº 8.080/1990^[5] e o Decreto nº 7.646/2011^[6].

Para que a Comissão possa analisar determinada tecnologia em saúde e emitir um Relatório de Recomendação ao Ministério da Saúde, é *conditio sine qua non* o registro do mesmo junto à Anvisa, no caso de medicamentos, a fixação de preço junto à CMED e ainda evidência científica que demonstre que a tecnologia pautada é, no mínimo, tão eficaz e segura quanto aquelas disponíveis no SUS para determinada indicação, consoante determina o art. 15, §1º, incisos II e VI, do Decreto nº 7.646/2011^[6]:

“Art. 15. A incorporação, a exclusão e a alteração pelo SUS de tecnologias em saúde e a constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas serão precedidas de processo administrativo.

§ 1º O requerimento de instauração do processo administrativo para a incorporação e a alteração pelo SUS de tecnologias em saúde e a constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas deverá ser protocolado pelo interessado na Secretaria-Executiva da CONITEC, devendo ser acompanhado de:

I - formulário integralmente preenchido, de acordo com o modelo estabelecido pela CONITEC;

II - número e validade do registro da tecnologia em saúde na ANVISA;

III - evidência científica que demonstre que a tecnologia pautada é, no mínimo, tão eficaz e segura quanto aquelas disponíveis no SUS para determinada indicação;

IV - estudo de avaliação econômica comparando a tecnologia pautada com as tecnologias em saúde disponibilizadas no SUS;

V - amostras de produtos, se cabível para o atendimento do disposto no §2º do art. 19-Q, nos termos do regimento interno; e

VI - o preço fixado pela CMED, no caso de medicamentos”.

O processo de incorporação de tecnologias em saúde é iniciado através de solicitação que deverá ser protocolada pelo interessado na Secretaria-Executiva (SE) da Conitec. O solicitante deve apresentar os documentos relacionados no Decreto nº 7.646/2011^[6] e no Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017^[7].

Ao receber o pedido, a SE/Conitec analisa os estudos apresentados e, se necessário, solicita estudos e pesquisas complementares para elaboração de relatório técnico a ser apresentado à Comissão.

Os relatórios de recomendação levam em consideração as evidências científicas sobre eficácia, acurácia, efetividade e segurança do medicamento, e, também, a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas e o impacto da incorporação da tecnologia no SUS.

Em seguida, o Plenário, que realiza reuniões mensais para avaliar as tecnologias em saúde, analisa o relatório e faz uma recomendação inicial que é submetida à Consulta Pública (CP) por 20 dias. Findo o prazo, o Plenário avalia as contribuições recebidas da sociedade durante a CP e emite parecer conclusivo. A decisão final é dada pelo Secretário da SCTIE/MS e pode ser precedida por audiência pública, se a relevância da matéria justificar o evento. Ao final, publica-se a decisão no DOU.

Vale esclarecer que não há demanda para análise de incorporação, ao SUS, de qualquer tecnologia para PAF-TTR, protocolada nessa Comissão, consoante determinação da Lei nº 8.080/1990^[5] e do Decreto nº 7.646/2011^[6].

Desde que apresentem as exigências impostas pelo Decreto nº 7.646/2011^[6], qualquer pessoa física ou jurídica, seja paciente, profissional de saúde, sociedade de especialidade ou empresa (produtora da tecnologia ou não) pode solicitar a avaliação para incorporação, ao SUS, pela Comissão. Caso a demanda venha a ser protocolada na Conitec, o processo administrativo de análise deverá ser concluído em prazo não superior a 180 dias, admitida a prorrogação por 90 dias, se as circunstâncias exigirem, conforme estabelece o art. 24 do Decreto nº 7.646/2011^[6].

IV. DA DISPONIBILIZAÇÃO DE INFORMAÇÕES NA INTERNET

Importa ressaltar que as demandas, as consultas públicas e deliberações de matérias submetidas à apreciação da Conitec, bem como os relatórios técnicos e as decisões sobre incorporação de tecnologias ao SUS, podem ser acompanhados por meio de acesso ao endereço eletrônico: <http://conitec.gov.br/>.

V. CONCLUSÕES

Com base no apresentado nos itens anteriores, conclui-se:

1. em 2017, a Conitec recebeu demanda para análise do medicamento tafamidis meglumina (Vyndaquel®) para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático;
2. durante a 57ª reunião ordinária realizada em 05/07/2017, o plenário da Conitec recomendou preliminarmente a incorporação no SUS do tafamidis meglumina para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático;
3. na 62ª reunião ordinária, no dia 07 de dezembro de 2017, após apreciação das evidências trazidas pela contribuição contrária, o plenário entendeu que não houve nova informação e manteve a recomendação inicial;
4. a recomendação foi encaminhada para decisão do Secretário da SCTIE que ratificou a recomendação da Comissão. A decisão foi dada pela Portaria SCTIE-MS nº 02 publicada no DOU nº 13, de 18 de janeiro de 2018, pág. 56;
5. o PCDT de Polineuropatia Amiloidótica Familiar foi publicado por meio da Portaria Conjunta nº 22, de outubro de 2018;
6. conforme dispõe o PCDT, o tratamento da PAF-TTR é complexo e requer medidas específicas para o controle da progressão da amiloidogênese sistêmica, além de terapia direcionada aos sintomas e

órgãos afetados pela amiloidose;

7. o único tratamento medicamentoso indicado no Protocolo é o uso de tafamidis meglumina;
8. o tafamidis meglumina encontra-se padronizado na Rename, no grupo 1A do Ceaf;
9. para que um medicamento seja incluído na Rename, é necessário que o mesmo seja apreciado pela Conitec e incorporado ao SUS pelo Secretário da SCTIE/MS. Da mesma forma, para que uma tecnologia em saúde seja fornecida pela rede pública, é necessário, via de regra, além do registro na Anvisa, que a mesma seja analisada pela Conitec e que o secretário da SCTIE/MS decida pela incorporação, conforme dispõem a Lei nº 8.080/1990 e o Decreto nº 7.646/2011;
10. para que a Comissão possa analisar determinada tecnologia em saúde e emitir um Relatório de Recomendação ao Ministério da Saúde, é *conditio sine qua non* o registro do mesmo junto à Anvisa, no caso de medicamentos, a fixação de preço junto à CMED e ainda evidência científica que demonstre que a tecnologia pautada é, no mínimo, tão eficaz e segura quanto aquelas disponíveis no SUS para determinada indicação, consoante determina o art. 15, §1º, incisos II e VI, do Decreto nº 7.646/2011;
11. vale esclarecer que não há demanda para análise de incorporação, ao SUS, de qualquer tecnologia para PAF-TTR, protocolada nessa Comissão, consoante determinação da Lei nº 8.080/1990 e do Decreto nº 7.646/2011;
12. desde que apresentem as exigências impostas pelo Decreto nº 7.646/2011, qualquer pessoa física ou jurídica, seja paciente, profissional de saúde, sociedade de especialidade ou empresa (produtora da tecnologia ou não) pode solicitar a avaliação para incorporação, ao SUS, pela Comissão; e
13. caso a demanda venha a ser protocolada na Conitec, o processo administrativo de análise deverá ser concluído em prazo não superior a 180 dias, admitida a prorrogação por 90 dias, se as circunstâncias exigirem, conforme estabelece o art. 24 do Decreto nº 7.646/2011.

ANDREA BRÍGIDA DE SOUZA
Coordenadora
CITEC/CGGTS/DGITIS/SCTIE/MS

VANIA CRISTINA CANUTO SANTOS
Diretora
DGITIS/SCTIE/MS

[1] Conforme dispõe o art. 33 do Decreto nº 9.795/2019 c/c o parágrafo único do art. 11 do Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017 a Secretaria-Executiva da Comissão (SE/Conitec) é exercida pelo Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde (DGITIS/SCTIE/MS).

[2] http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Relatorio_Tafamidis_PAF.pdf

[3] http://conitec.gov.br/images/Protocolos/PCDT_Polineuropatia_Amiloidotica_Familiar_2018.pdf

[4] <http://conitec.gov.br/images/Rename-2020-final.pdf>

[5] http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/leis/l8080.htm

[6] http://www.planalto.gov.br/CCIVIL_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm

[7] https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2017/prc0001_03_10_2017.html



Documento assinado eletronicamente por **Vania Cristina Canuto Santos, Diretor(a) do Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde**, em 02/09/2021, às 09:30, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do [Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



Documento assinado eletronicamente por **Andrea Brigida de Souza, Coordenador(a) de Incorporação de Tecnologias**, em 02/09/2021, às 10:05, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no art. 6º, § 1º, do [Decreto nº 8.539, de 8 de outubro de 2015](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0, informando o código verificador **0022431207** e o código CRC **57E8463B**.

Referência: Processo nº 25000.120418/2021-04

SEI nº 0022431207

Coordenação de Incorporação de Tecnologias - CITEC
Esplanada dos Ministérios, Bloco G - Bairro Zona Cívico-Administrativa, Brasília/DF, CEP 70058-900
Site - saude.gov.br

Criado por [tatiane.costa](#), versão 4 por [andrea.brigida](#) em 01/09/2021 15:08:21.