

Nota Técnica 388559

Data de conclusão: 12/08/2025 14:30:55

Paciente

Idade: 75 anos

Sexo: Feminino

Cidade: Erechim/RS

Dados do Advogado do Autor

Nome do Advogado: -

Número OAB: -

Autor está representado por: -

Dados do Processo

Esfera/Órgão: Justiça Federal

Vara/Serventia: 2º Núcleo de Justiça 4.0 - RS

Tecnologia 388559

CID: E85.4 - Amiloidose limitada a órgãos

Diagnóstico: E85.4 - Amiloidose limitada a órgãos

Meio(s) confirmatório(s) do diagnóstico já realizado(s): laudo médico.

Descrição da Tecnologia

Tipo da Tecnologia: Medicamento

Registro na ANVISA? Sim

Situação do registro: Válido

Nome comercial: -

Princípio Ativo: TAFAMIDIS

Via de administração: VO

Posologia: a paciente poderá fazer uso de qualquer umas das duas opções:

1. Tafamidis meglumina (Vyndaqel) 20 mg (cápsulas duras)

Dose diária: 4 cp de 20 mg

Dose Semanal: 28 cp de 20 mg

Dose Mensal: 120 cp de 20 mg

2. Tafamidis (Vyndamax) - 61 mg (cápsula mole)

Dose diária: 1 cp 61 mg

Dose Semanal: 7 cp de 61 mg

Dose Mensal: 30 cp de 61 mg

Uso contínuo? -

Duração do tratamento: dia(s)

Indicação em conformidade com a aprovada no registro? Sim

Previsto em Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Min. da Saúde para a situação clínica do demandante? Não

O medicamento está inserido no SUS? Sim

O medicamento está incluído em: RENAME

Oncológico? Não

Outras Tecnologias Disponíveis

Tecnologia: TAFAMIDIS

Descrever as opções disponíveis no SUS e/ou Saúde Suplementar: o transplante cardíaco combinado com o de fígado é uma opção apenas em alguns casos da forma variante hereditária. No entanto, o transplante cardíaco não é uma opção viável para a maioria dos pacientes devido à escassez de órgãos de doadores, à idade avançada da maioria dos indivíduos afetados, dentre outros fatores (4). Também estão disponíveis diversos outros tratamentos para a insuficiência cardíaca, não direcionados especificamente para a amiloidose. Além disso, o medicamento tafamidis 61 mg encontra-se em processo de incorporação no SUS (6,8).

Existe Genérico? Não

Existe Similar? Não

Custo da Tecnologia

Tecnologia: TAFAMIDIS

Laboratório: -

Marca Comercial: -

Apresentação: -

Preço de Fábrica: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Custo da Tecnologia - Tratamento Mensal

Tecnologia: TAFAMIDIS

Dose Diária Recomendada: -

Preço Máximo de Venda ao Governo: -

Preço Máximo ao Consumidor: -

Fonte do custo da tecnologia: -

Evidências e resultados esperados

Tecnologia: TAFAMIDIS

Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia: Efetividade, eficácia e segurança: O tafamidis é um estabilizador seletivo de transtirretina. Esse medicamento se liga aos dois sítios de ligação da tiroxina na forma tetrâmera nativa de TTR, o que previne a dissociação em monômeros, que é a etapa limitante da velocidade no processo amiloidogênico (9).

A avaliação da eficácia do tafamidis meglumina foi realizada em pacientes entre 18 e 90 anos com cardiomiopatia amiloide associada à TTR em um ensaio clínico fase 3, randomizado, duplo-cego, comparado com placebo. Foram randomizados 441 pacientes para receberem 80 mg/dia de tafamidis meglumina, 20 mg/dia do medicamento ou placebo uma vez ao dia, na proporção de 2:1:2, por 30 meses. Os desfechos primários avaliados foram mortalidade por todas as causas e frequência de hospitalizações relacionadas a doenças cardiovasculares. O desenho do estudo e a análise estatística foram realizadas pelo patrocinador do estudo, que se trata do fabricante do medicamento. Após o período analisado, a mortalidade por todas as causas foi menor no pool de pessoas que utilizaram tafamidis meglumina (unificação dos grupos que usaram o tafamidis na dose de 20 mg e 80 mg) do que no grupo placebo (OR 0,70; IC95% 0,51 a 0,96). A taxa de hospitalizações relacionadas a doenças cardiovasculares também foi menor no grupo que recebeu tafamidis (OR 0,68; IC95% 0,56 a 0,81). Os perfis de segurança de tafamidis e placebo foram semelhantes. Em geral, os efeitos adversos reportados durante o tratamento foram leves a moderados, sendo que a descontinuação do tratamento devido aos efeitos adversos foi menos comum no grupo tratado com tafamidis meglumina do que no grupo que recebeu placebo. Não foi realizada análise de subgrupo que comparasse o grupo que utilizou 20 mg de tafamidis do grupo que utilizou 80 mg (10).

Posteriormente, houve publicação que avaliou especificamente a qualidade de vida dos pacientes que participaram no estudo anterior, a partir de quatro instrumentos de medida, o KCCQ (Kansas City Cardiomyopathy Questionnaire Overall Summary), o EQ-5D-3L (three-level Euroqol 5 Dimensions), o EQ VAS (EQ visual analog scale) e o PGA (patient global assessment). O KCCQ é um questionário preenchido pelo paciente com 23 itens que avalia a

capacidade dos pacientes de realizar atividades de vida diária, frequência, gravidade e impacto dos sintomas. O EQ-5D-3L é um instrumento que avalia o estado de saúde do indivíduo, em cinco dimensões a partir de três níveis. O EQ VAS trata-se de uma avaliação a partir de uma escala visual analógica da qualidade de vida, enquanto que o PGA avalia a percepção do paciente em relação à sua insuficiência cardíaca. Os pacientes foram avaliados nos tempos 6, 12, 18, 24 e 30 meses (ou no momento da descontinuação). Houve redução da carga da doença em todos os domínios do KCCQ no grupo que utilizou o tafamidis (OR 12,41; IC95% 8,58 a 16,24). Tais achados também foram semelhantes nos demais instrumentos de avaliação da qualidade de vida. Houve maior redução no declínio da carga da doença nos meses 18 a 30 de seguimento, a depender do questionário empregado. Na avaliação global da doença (PGA) realizada no mês 30, 42,3% dos pacientes que utilizaram tafamidis relataram melhora em comparação ao início do estudo, enquanto no grupo placebo foi de 23,8%. Na análise de subgrupo ao comparar as diferentes doses com o placebo, foi encontrado um pequeno benefício na redução da hospitalização por problemas cardiovasculares e uma pequena redução na mortalidade (valor limítrofe ao não benefício) no grupo que utilizou a dose de 80 mg enquanto que no grupo que recebeu 20 mg, também houve redução na hospitalização mas não na mortalidade por todas as causas. O estudo não comparou diretamente os subgrupos que utilizaram 20 mg ou 80 mg de tafamidis (11).

Na submissão do relatório atual da CONITEC (6), eficácia e segurança do tafamidis no tratamento da cardiomiopatia amiloide associada à TTR foram avaliadas a partir de ensaio clínico randomizado (ECR) de fase 3, controlado por placebo. O grupo de pacientes tratado com o medicamento (tafamidis meglumina 20 mg/dia ou 80 mg/dia) mostrou superioridade na redução da mortalidade por todas as causas e hospitalizações por causas cardiovasculares ao longo de 30 meses de acompanhamento em relação ao grupo placebo. Também foi observada redução do número de hospitalizações em pacientes com classe funcional NYHA I ou II e redução do declínio da capacidade funcional e da qualidade de vida no mês 30, com diferenças observadas logo no mês seis, quando comparado com placebo. O perfil de segurança do tafamidis meglumina foi semelhante ao placebo, com menor taxa de descontinuação. Embora o risco de viés para a qualidade de vida ter sido considerado alto, por tratar-se de autorrelato dos pacientes, com certeza moderada da evidência, para os desfechos mortalidade por todas as causas e hospitalização por causas cardiovasculares, os riscos de viés foram considerados baixos, com certeza moderada a alta na evidência produzida pelo ECR, respectivamente.

Em estudo clínico de fase 1, aberto e randomizado do tipo cruzado (crossover), demonstrou que o tafamidis de ácido livre (61 mg/dia, em cápsulas) e o tafamidis meglumina (80 mg/dia, 4 x 20 mg, em cápsulas) são bioequivalentes em um modelo de estado de equilíbrio estável (steady-state), após sete dias de dosagem oral repetida em jejum em 30 voluntários saudáveis. Os dois regimes apresentaram perfil de segurança e tolerabilidade aceitável, sendo uma opção de dose mais conveniente para o paciente, trazendo comodidade posológica (12). Com base nos dados desse estudo, o tafamidis ácido livre foi registrado nas agências regulatórias internacionais e na Anvisa por meio de comparação da bioequivalência com tafamidis meglumina 80 mg/dia (6).

Custo:

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Total
TAFAMIDIS MEGLUMINA	20 MG CAP MOLE13 CT BL AL PLAS TRANS X 120		R\$ 97.780,09	R\$ 1.271.141,17

Item	Descrição	Quantidade	Valor Unitário*	Valor Total
TAFAMIDIS	61 MG CAP MOLE13 CT BL AL AL X 30		R\$ 44.874,05	R\$ 583.362,65

* Valor unitário considerado a partir de consulta de preço da tabela CMED. Preço máximo de venda ao governo (PMVG) no Rio Grande do Sul (ICMS 17%). O PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o Preço Fábrica – PF, $PMVG = PF \cdot (1 - CAP)$. O CAP, regulamentado pela Resolução nº. 3, de 2 de março de 2011, é um desconto mínimo obrigatório a ser aplicado sempre que forem realizadas vendas de medicamentos constantes do rol anexo ao Comunicado nº 15, de 31 de agosto de 2017 - Versão Consolidada ou para atender ordem judicial. Conforme o Comunicado CMED nº 5, de 21 de dezembro de 2020, o CAP é de 21,53%. Alguns medicamentos possuem isenção de ICMS para aquisição por órgãos da Administração Pública Direta Federal, Estadual e Municipal, conforme Convênio ICMS nº 87/02, sendo aplicado o benefício quando cabível.

Com base nos valores de preço máximo de venda ao governo obtidos em consulta realizada em agosto de 2025 à tabela CMED no site da ANVISA, e considerando os dados da prescrição (com a opção de utilização de 80 ou 61 mg/dia), elaborou-se as tabelas acima, estimando o custo de um ano de tratamento, em cada situação.

Relatórios anteriores da CONITEC (4,5), que analisaram a demanda do tafamidis meglumina 20 mg (dose de 80 mg/dia) para pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à TTR, foram desfavoráveis à sua incorporação do medicamento no SUS, sendo uma das razões o preço elevado apresentado pelo demandante (indústria farmacêutica que produz o medicamento). De forma que a tecnologia apresentou perfil de custo efetividade acima do limiar considerado adequado para o contexto nacional. Em relatório da CONITEC (6), sobre a demanda do tafamidis 61 mg, para a avaliação econômica, foi realizado um estudo de custo-utilidade, na perspectiva do SUS, com horizonte temporal de 5 anos, empregando-se um modelo de Markov para acompanhar os pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à TTR nas classes funcionais NYHA II ou III, considerando-se a transição por diferentes estados de saúde. Essa análise utiliza uma medida denominada “anos de vida vividos com qualidade” (AVAQ ou QALY), que combina quantidade de vida (anos vividos) com a qualidade de vida para estimar o benefício proporcionado por uma tecnologia de saúde. Os resultados da avaliação econômica referente à incorporação do tafamidis 61 mg no SUS indicaram que o medicamento é capaz de proporcionar benefícios, porém, com custos adicionais que resultarão em um incremento de R\$ 173,1 mil por ano vivido e R\$ 218,8 mil por ano vivido com qualidade. O impacto orçamentário, a partir da estimativa da população elegível para o uso de tafamidis 61 mg, foi de R\$ 16,3 milhões no primeiro ano após incorporação do medicamento no SUS, com um impacto acumulado de R\$ 496,8 milhões em cinco anos. Sendo considerados altos em comparação ao cuidado padrão, inicialmente. Após consulta pública, o demandante apresentou nova proposta de redução do preço para R\$ 218,59/cápsula, com um custo mensal de R\$ 6.557,70 para o paciente (considerando uma cápsula de 61 mg por dia/30 dias), representando um desconto de cerca de 80% em relação ao PMVG sem impostos. Fato que reduziu em 44,38% a razão de custo utilidade incremental (RCUI) e em 40,86% o impacto orçamentário incremental, que ficou em R\$ 293.758.609,50 no acumulado de 5 anos. Desse modo, a nova RCUI (R\$ 121.659,66/QALY) ficou próxima ao limiar de custo efetividade estabelecido pela CONITEC para casos especiais (R\$ 120.000,00/QALY). Ademais, é fundamental esclarecer que a modalidade de aquisição do tafamidis deve ocorrer de forma centralizada pelo Ministério da Saúde, via importação direta, sem impostos. Todavia, se alguma aquisição ocorrer por meio

do demandante, devem ser aplicados os respectivos impostos sobre os preços, enquanto o medicamento não for inserido nos respectivos convênios oficiais de desoneração.

Quanto a avaliações internacionais, é digno de nota que o National Institute for Clinical Excellence and Health (NICE) do Reino Unido, em relatório anterior, não recomendou a utilização do tafamidis para o tratamento da amiloidose transtirretina de tipo selvagem ou hereditária com cardiomiopatia em adultos, visto a ausência de medida objetiva para avaliar quais pacientes seriam elegíveis ao tratamento com tafamidis; e o fato da faixa da razão de custo incremental estar acima do que o NICE considera aceitável para a utilização dos recursos. Em novo relatório, considerando o fornecimento pela empresa mediante acordo comercial, a estimativa de custo-efetividade mais provável para a tecnologia ficou dentro da faixa aceitável pelo NICE, houve, assim, recomendação de uso do tafamidis 61 mg. Além disso, o comitê concluiu que a evidência clínica apresentada nesta avaliação foi adequada para a tomada de decisão (13).

A agência Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health (CADTH) recomendou o reembolso de tafamidis meglumina no tratamento de pacientes adultos com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina, apenas no caso de cumprimento de todas as seguintes condições:

- Doença cardíaca documentada devido a cardiomiopatia de amiloidose mediada por TTR;
- Pacientes que possuam todas as seguintes características: Classe I a III da New York Heart Association (NYHA); história de insuficiência cardíaca, definida como pelo menos uma hospitalização anterior por insuficiência cardíaca ou evidência clínica de insuficiência cardíaca que exigiu tratamento com um diurético; não recebeu um transplante de coração ou fígado; não tem um dispositivo de assistência mecânica cardíaca implantado (CMAD) e; não recebeu outros tratamentos modificadores da doença para ATTR;
- O tratamento deve ser descontinuado nos casos que o paciente possua evolução para classe IV da NYHA ou recebeu um transplante de coração ou fígado ou houve implantação do CMAD;
- Ocorra a redução do preço do medicamento (14).

Ainda, está publicado estudo de custo-efetividade avaliando tafamidis meglumina em comparação com o cuidado padrão para cardiopatia amiloide associada à TTR, utilizando modelagem de Markov e a partir do contexto de saúde americano. Os desfechos envolviam morte por todas as causas e frequência de hospitalização por doenças cardíacas durante 30 meses (período dos dados disponíveis na literatura). Em comparação com o tratamento padrão, o estudo encontrou uma RCEI de US\$ 880.000 (697.000–1.564.000) por QALY ganho. Ao assumirem um limite de custo-efetividade de US\$100.000 por QALY ganho, o tafamidis meglumina foi custo-efetivo em 0% das simulações probabilísticas realizadas (15).

Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia: redução da mortalidade, diminuição da frequência de hospitalização e melhora na qualidade de vida em comparação com o placebo; bioequivalência entre a dose de 80 mg e 61 mg; incerteza em relação a superioridade da dose

de 80 mg em comparação com a dose de 20 mg.

Recomendações da CONITEC para a situação clínica do demandante: Recomendada

Conclusão

Tecnologia: TAFAMIDIS

Conclusão Justificada: Não favorável

Conclusão: Há apenas um ensaio clínico randomizado de fase 3 que avaliou a eficácia do tafamidis meglumina para cardiomiopatia amiloide associada à TTR. Esse estudo indicou redução da mortalidade e diminuição da taxa de internação hospitalar por problemas cardíacos, embora os resultados tenham sido obtidos por meio da comparação entre placebo e análise conjunta do grupo de pessoas que utilizaram a dose de 20 mg e a dose de 80 mg.

Adicionalmente, o uso de tafamidis meglumina na dose de 80 mg para o tratamento de cardiomiopatia amiloide associada à TTR foi avaliado pela CONITEC em duas ocasiões, que considerou que, embora a demanda envolva proposta de tratamento para uma condição clínica rara, com boa evidência, deve ser considerada a razão de custo-efetividade e o impacto orçamentário da tecnologia, visto as incertezas relacionadas a população elegível. Além disso, foi pontuado que o preço proposto para incorporação da tecnologia apresentado pelo demandante é muito elevado e não é justificado pelas evidências científicas apresentadas. De forma que, a CONITEC apenas emitiu parecer favorável recente para incorporação do tafamidis 61 mg para essa condição de saúde após redução de quase 80% do preço praticado pelo demandante. Destacando-se que a recomendação deve ser conforme PCDT, que ainda deverá ser atualizado e que assim o medicamento pleiteado está em processo de incorporação. É digno de nota que a redução de valor decorre apenas na compra centralizada via Ministério da Saúde.

Finalmente, cabe constar que também agências internacionais de países de maior renda que o Brasil não recomendaram a incorporação do tafamidis meglumina para essa condição ou somente o fizeram com recomendação de redução de preço, corroborando a avaliação da CONITEC. O alto impacto orçamentário do medicamento, mesmo em decisão isolada, pode acarretar prejuízo indireto à população assistida pelo SUS.

Há evidências científicas? Sim

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de Urgência e Emergência do CFM? Não

Referências bibliográficas:

1. Gorevic PD. Overview of amyloidosis [Internet]. Waltham (MA): UpToDate. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/overview-of-amyloidosis?search=amiloidose%20card%C3%ADaca&source=search_result&selectedTitle=3~76&usage_type=default&display_rank=3
2. Ministério da Saúde. Portaria SAES-SCTIE nº 22 de 2 de outubro de 2018. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Polineuropatia Amiloidótica Familiar. Disponível em: http://conitec.gov.br/images/Protocolos/PCDT_Polineuropatia_Amiloidoti

3. Fontana M. Cardiac amyloidosis: Clinical manifestations and diagnosis. Waltham (MA): UpToDate. Disponível em: https://www.uptodate.com/contents/cardiac-amyloidosis-clinical-manifestations-and-diagnosis?search=amiloidose%20card%C3%ADaca&source=search_result&selectedTitle=1~76&usage_type=default&display_rank=1
4. Conitec. Relatório de recomendação nº 600. Tafamidis meglumina no tratamento de pacientes com cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina (selvagem ou hereditária) acima de 60 anos de idade. Mar 2021. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210319_relatrio_600_tafamidis-meglumina_cm-ttr.pdf
5. Conitec. Relatório de recomendação nº 795. 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. Dezembro de 2022. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20221222_relatorio_tecnico_tafamidis_795_2022.pdf
6. Conitec. Relatório de recomendação nº 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. Mai 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/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>
7. Conitec. Relatório de recomendação nº 339. Tafamidis meglumina no tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à proteína transtirretina. Jan 2018. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2018/relatorio_tafamidis_paf.pdf
8. BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Portaria nº 26, de 19 de junho de 2024. Torna pública a decisão de incorporar, 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. Diário Oficial da União, nº 118, seção 1, 21 de junho de 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2024/portaria-sectics-ms-no-26-de-19-de-junho-de-2024>
9. Wyeth Indústria Farmacêutica Ltda. Vindaquel® (tafamidis meglumina)[Bula]. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Vyndaquel>
10. Maurer MS, Schwartz JH, Gundapaneni B et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. N Engl J Med. 2018 Sep 13;379(11):1007-1016.
11. Hanna M, Damy T, Grogan M et al. Impact of Tafamidis on Health-Related Quality of Life in Patients With Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy (from the Tafamidis in Transthyretin Cardiomyopathy Clinical Trial). Am J Cardiol. 2021 Feb 15;141:98-105.

12. Lockwood PA, Le VH, O’Gorman MT, Patterson TA, Sultan MB, Tankisheva E, et al. The Bioequivalence of Tafamidis 61-mg Free Acid Capsules and Tafamidis Meglumine 4 × 20-mg Capsules in Healthy Volunteers. Clin Pharmacol Drug Dev. outubro de 2020;9(7):849–54.
13. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Tafamidis for treating transthyretin amyloidosis with cardiomyopathy. Technology appraisal guidance. Reference number: TA984. Published: 19 June 2024. Disponível em: <https://www.nice.org.uk/guidance/ta984/resources/tafamidis-for-treating-transthyretin-amyloidosis-with-cardiomyopathy-pdf-82615910400709>
14. Canadian Agency for Drugs & Technologies in Health (CADTH). CADTH COMMON DRUG REVIEW CADTH Canadian Drug Expert Committee Recommendation (Final). Tafamidis Meglumine (Vyndaquel – Pfizer Canada ULC). Disponível em: <https://www.cadth.ca/sites/default/files/cdr/complete/SR0625%20Vyndaquel%20-%20CDEC%20Final%20%20Recommendation%20February%2020%2C%202020%20for%20posting.pdf>
15. Kazi DS, Bellows BK, Baron SJ. et al. Cost-Effectiveness of Tafamidis Therapy for Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. Circulation. 2020 Apr 14; 141(15): 1214–1224.

NatJus Responsável: RS - Rio Grande do Sul

Instituição Responsável: TelessaúdeRS

Nota técnica elaborada com apoio de tutoria? Não

Outras Informações: Conforme relatório médico anexado aos autos (Evento 1, LAUDO4, Página 1), a parte autora é diagnosticada com amiloidose cardíaca por transtirretina (TTR), confirmada por cintilografia do miocárdio com pirofosfato datada de 27/01/2025. Apresenta sintomas de cansaço e dispneia aos esforços (classe funcional NYHA III) com limitação para atividade física. É também portadora de hipertensão arterial sistêmica e diabetes mellitus. Pelo quadro apresentado, foi prescrito tafamidis. A parte solicitou fornecimento do medicamento à secretaria estadual de saúde, obtendo negativa por se tratar de medicamento disponível no Sistema Único de Saúde cujo protocolo não prevê a dispensação para a doença em tela, motivo pelo qual seu fornecimento é pleiteado jurisdicionalmente.

Amiloidose é o termo geral usado para se referir à deposição de tecido extracelular de fibrilas compostas por subunidades de baixo peso molecular de uma variedade de proteínas, muitas das quais circulam como constituintes do plasma. Esses depósitos podem resultar em uma ampla gama de manifestações clínicas, dependendo do tipo, localização e quantidade de deposição (1). Existem diferentes tipos de amiloidoses, entre elas as amiloidoses hereditárias ligadas a proteínas precursoras que sofreram mutação, tais como a transtirretina (TTR). Mutações ligadas à amiloidose do gene da TTR têm herança autossômica dominante. As diferentes mutações geram diferentes idades de início e diferentes apresentações clínicas, permitindo para a maioria das mutações já descritas uma boa correlação genótipo-fenótipo (2). As amiloidoses por TTR manifestam-se por meio de dois quadros clínicos principais: a polineuropatia amiloidótica familiar (PAF-TTR) e a cardiomiopatia amiloidótica familiar (CAF-TTR). No caso do CAF-TTR, ocorre deposição de fibrilas amiloides no espaço extracelular do

coração, causando alterações na condução cardíaca de forma precoce, bloqueios de condução e arritmias, necessidade de implante de marca-passo, e mais tardiamente cardiopatia e disfunção por infiltração miocárdica de amiloide (2,3). A cardiomiopatia amiloide associada à TTR, pode se manifestar como dois genótipos: hereditária ou selvagem (adquirida ou senil). Nos dois casos, a proteína amiloide pode infiltrar qualquer uma ou todas as estruturas cardiovasculares, incluindo o sistema de condução, o miocárdio atrial e ventricular, tecido valvar e as artérias e coronárias. Os sintomas geralmente incluem insuficiência cardíaca, dispneia ao esforço, retenção de líquidos e hipotensão (4).