

## **NOTA TÉCNICA Nº 445/2023 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 1ª Vara Federal de Assis
- 1.3. Processo nº: 5000097-06.2022.4.03.6116
- 1.4. Data da Solicitação: 09/02/2023
- 1.5. Data da Resposta: 14/02/2023

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 23/03/1972 – 50 anos
- 2.2 Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Assis/SP
- 2.4. Histórico da doença: Doença Policística Autossômica Dominante, com complicações álgicas, Hipertensão Arterial, Doença Renal Crônica e Aneurisma Cerebral – CID10 Q61.2 e N18.8.

### **3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)**

#### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento  
- Tolvaptan 15mg – 45 mg V.O. pela manhã e 45mg à noite ( 3 cp de 15mg de 12/12 horas).
- 4.2. Princípio Ativo: Tolvaptan
- 4.3. Registro na ANVISA: Não
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: Não
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: Não há
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não
- 4.7. Custo da tecnologia:
  - 4.7.1. Denominação genérica: Tolvaptan

**4.7.2. Laboratório:** Otsuka Pharmaceutical Co., Ltd., Tóquio, Japão

**4.7.3. Marca comercial:** SAMSCA

**4.7.3. Apresentação:** comprimidos 15 mg

**4.8. Fonte do custo da tecnologia:** Uma vez que se trata de medicamento importado, o custo está sujeito a variações cambiais e outros ônus de importação.

**4.9. Recomendações da CONITEC:** Não avaliada.

## **5. Discussão e Conclusão**

### **5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:**

O Tolvaptan é um antagonista seletivo do receptor-V2 da vasopressina que está indicado para o tratamento da hiponatremia hipervolêmica ou euvolêmica.

A doença renal policística autossômica dominante (DRPAD) é relativamente comum, sendo a terceira maior causa de terapia renal substitutiva nos EUA.

A medicação pleiteada (Tolvaptan) é um antagonista do receptor 2 da vasopressina, e age desacelerando o ritmo de crescimento dos cistos e conseqüentemente a piora da função renal.

O seu uso está recomendado por várias agências internacionais, com evidências robustas de sua efetividade no controle da progressão para estágio 5 da DRC.

A recomendação do FDA (*Food and Drug Administration*) é que o uso do Tolvaptan deve ser limitado a 30 dias, e deve ser suspenso se houver qualquer sinal de injúria hepática. Seu uso deve ser evitado em pacientes com doença hepática, incluindo cirrose.

### **5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

Retardar a progressão para doença renal terminal

### **5.3. Parecer**

( X ) Favorável à sua dispensação do ponto de vista de evidências médicas.

( ) Desfavorável

### **5.4. Conclusão Justificada:**

CONSIDERANDO que o medicamento é atualmente o único capaz de retardar a progressão da Doença Policística Autossômica Dominante para falência renal e necessidade de diálise;

CONSIDERANDO que no Brasil para um medicamento ser comercializado é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED);

CONSIDERANDO que o medicamento pleiteado Tolvaptan 15 mg não possui registro na ANVISA, do mesmo modo, não apresenta preço estabelecido pela CMED, o que pode dificultar o seu fornecimento;

CONSIDERANDO que o STF julgou recurso imposto pelo governo de SP a respeito do fornecimento de medicamento sem registro na ANVISA, "Cabe ao Estado fornecer, em termos excepcionais, medicamento que, embora não possua registro na ANVISA, tem a sua importação autorizada pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária, desde que comprovada a incapacidade econômica do paciente, a imprescindibilidade clínica do tratamento, e a impossibilidade de substituição por outro similar constante das listas oficiais de dispensação de medicamentos e os protocolos de intervenção terapêutica do SUS."

CONCLUI-SE, pelo parecer favorável à dispensação do Tolvaptan do ponto de vista de evidências médicas.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

( ) SIM, com potencial risco de vida

( x ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

( ) NÃO

#### 5.5. Referências bibliográficas:

[https://www.uptodate.com/contents/autosomal-dominant-polycystic-kidney-disease-adpkd-treatment?search=tolvaptan&source=search\\_result&selectedTitle=3~25&usage\\_type=default&display\\_rank=2](https://www.uptodate.com/contents/autosomal-dominant-polycystic-kidney-disease-adpkd-treatment?search=tolvaptan&source=search_result&selectedTitle=3~25&usage_type=default&display_rank=2)

<http://www.fda.gov/Safety/MedWatch/SafetyInformation/SafetyAlertsforHumanMedicalProducts/ucm350185.htm>

Cornec-Le Gall E, Audrézet MP, Rousseau A, et al. The PROPKD Score: A New Algorithm to Predict Renal Survival in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. *J Am Soc Nephrol* 2016; 27:942.

Torres VE. Salt, water, and vasopressin in polycystic kidney disease. *Kidney Int* 2020; 98:831.

Torres VE. Pro: Tolvaptan delays the progression of autosomal dominant polycystic kidney disease. *Nephrol Dial Transplant* 2019; 34:30.

Torres VE, Higashihara E, Devuyst O, et al. Effect of Tolvaptan in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease by CKD Stage: Results from the TEMPO 3:4 Trial. *Clin J Am Soc Nephrol* 2016; 11:803.

Chebib FT, Perrone RD, Chapman AB, et al. A Practical Guide for Treatment of Rapidly Progressive ADPKD with Tolvaptan. *J Am Soc Nephrol* 2018; 29:2458.

Edwards ME, Chebib FT, Irazabal MV, et al. Long-Term Administration of Tolvaptan in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease. *Clin J Am Soc Nephrol* 2018; 13:1153.

Torres VE, Chapman AB, Devuyst O, et al. Multicenter, open-label, extension trial to evaluate the long-term efficacy and safety of early versus delayed treatment with tolvaptan in autosomal dominant polycystic kidney disease: the TEMPO 4:4 Trial. *Nephrol Dial Transplant* 2017; 32:1262.

Devuyst O, Chapman AB, Gansevoort RT, et al. Urine Osmolality, Response to Tolvaptan, and Outcome in Autosomal Dominant Polycystic Kidney Disease: Results from the TEMPO 3:4 Trial. *J Am Soc Nephrol* 2017; 28:1592.

[https://pebmed.com.br/estudo-esclarece-eficacia-do-tolvaptan-no-tratamento-de-insuficiencia-cardiaca/?utm\\_source=artigoportal&utm\\_medium=copytext](https://pebmed.com.br/estudo-esclarece-eficacia-do-tolvaptan-no-tratamento-de-insuficiencia-cardiaca/?utm_source=artigoportal&utm_medium=copytext)

## 5.6. Outras Informações:

**Considerações NAT-Jus/SP:** A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

**Equipe NAT-Jus/SP**