

## **NOTA TÉCNICA Nº 522/2023 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 1ª Vara Federal de Barretos
- 1.3. Processo nº: 5000157-73.2023.4.03.6138
- 1.4. Data da Solicitação: 14/02/2023
- 1.5. Data da Resposta: 24.02.2023

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 17/08/1974 – 48 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Bebedouro/SP
- 2.4. Histórico da doença: Doença Hepatorrenal Policística Autossômica Dominante, Cistos Bilaterais Bosniak 2 (1 em cada Rim), Obesidade, Hipotireoidismo, Depressão/Ansiedade em tratamento, Hernia Hiatal, Nódulo SRE (Incidentaloma), Cistites repetição, Insuficiência Renal Crônica.

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

**1. O medicamento requerido é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece a autora? Há quanto tempo o medicamento foi incorporado à terapêutica da doença da autora e com que resultados?**

**Sim. Foi aprovado pelo FDA estadunidense em abril de 2018**

**2. O medicamento requerido é substituível por outro ou outros fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?**

**Não**

**3. Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde da autora em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do pretendido?**

**4. O medicamento possui registro na ANVISA para quais hipóteses/casos clínicos?**

**Ainda sem registro na ANVISA**

**5. Há contraindicações ao uso do medicamento ou efeitos adversos? Se houver, esclarecer quais e indicar possíveis meios para reduzi-los.**

**São vários, listados em bula anexa (de Portugal).**

**6. Há recomendação técnica de aplicação do medicamento ao caso da autora?**

**Sim**

#### **4. Descrição da Tecnologia**

4.1. Tipo da tecnologia: Medicamento

- **Tolvaptan 30mg - tomar 1 e meio cp 7h e ½ cp 15 h (7 dias); após, 2 cp 7h e 1 cp 15 h (7 dias), após, 3 cp 7h e cp 15h (uso contínuo).**

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: vide discussão

4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: Não

4.10. Recomendações da CONITEC: Não avaliado

#### **5. Discussão e Conclusão**

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

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.

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:

O medicamento é atualmente o único capaz de retardar a progressão da DRPAD para falência renal e necessidade de diálise.

Não possui registro na ANVISA, o que pode dificultar o seu fornecimento

O STF julgou recurso imposto pelo governo de SP a respeito do fornecimento de medicamento sem registro na ANVISA (no caso, canabidiol):

"Cabe ao Estado fornecer, em termos excepcionais, medicamento que, embora não possua registro na ANVISA, tem a sua importação autorizada pela agência 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."

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

( ) SIM, com potencial risco de vida

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

( X ) 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)

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://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2014/20140619128911/anx\\_128911\\_pt.pdf](https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2014/20140619128911/anx_128911_pt.pdf)

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**