

## **NOTA TÉCNICA Nº 1592/2022 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 2ª Vara Cível Federal de São Paulo – TRF
- 1.3. Processo nº: 5016318-15.2022.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 20/07/2022
- 1.5. Data da Resposta: 26/07/2022

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 20/03/1980 – 42 anos
- 2.2. Sexo: masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Amiloidose hereditária relacionada à Transtirretina – CID E85.1

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

### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1. Tipo da tecnologia: **medicamento**

#### **Onpattro**

- 4.2. Princípio Ativo: PATISIRANA SÓDICA
- 4.3. Registro na ANVISA: 1936100010011
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: o SUS disponibiliza tratamentos de suporte. Existem duas formas de tratamento para a doença: (1) Medicamentos: No SUS, o uso de tafamidis meglumina é o medicamento padronizado como alto custo, sendo rigorosamente acompanhado em centros de referência. Após 12 meses de tratamento, pacientes com doença estável devem continuar o uso de tafamidis meglumina. Já os pacientes que apresentarem progressão dos sintomas ou sinais devem

ser avaliados para opções alternativas de tratamento, como o transplante hepático. (2)  
Transplante hepático: esse procedimento permite parar a progressão dos sintomas, mas não cura lesões já existentes

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: PATISIRANA SÓDICA

4.7.2. Laboratório: SPECIALTY PHARMA GOIAS LTDA

4.7.3. Marca comercial: ONPATTRO

4.7.4. Apresentação: 2 MG/ML SOL DIL INFUS IV CT FA VD TRANS X 5 ML

4.7.5. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 60.367,74

4.7.6. Preço máximo de venda ao Consumidor: não disponível

4.8: Tratamento mensal:

4.8.1: Dose diária recomendada: 22,5 mg ev 1x a cada 3 semanas

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da ANVISA/CMED.

Referência julho de 2022. Disponível em: <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>

4.10. Recomendações da CONITEC: não avaliada

## **5. Discussão e Conclusão**

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A amiloidose é uma doença baseada na deposição de fibrilas no ambiente extracelular, causando disfunção possível de uma série de órgãos. Existem 18 subtipos de amiloidose sistêmica e 22 subtipos de amiloidose localizada. Os subtipos de amiloidose de maior relevância clínica são: AL, ATTR, AA e amiloidose relacionada à diálise.

A amiloidose ATTR pode estar relacionada a mutações selvagens (ao longo da vida), também conhecidas como mutações *wild type*, ou pode ser uma mutação hereditária de padrão familiar. A amiloidose ATTR pode resultar em doença cardíaca por deposição ou polineuropatia, descrita como polineuropatia amiloidótica familiar (PAF).

A medicação Onpattro composta por Patisiran é um agente anti-transtirretina, interferindo com seu RNA responsável para síntese hepática. A medicação é utilizada para pacientes com polineuropatia, isto é, com acometimento de nervos periféricos. O ensaio clínico randomizado publicado no *New England Journal of Medicine* respalda um importante controle de sintomas que fornece qualidade de vida e reinserção social.

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

Paciente do sexo masculino, 42 anos de idade, possui acometimento neuropático com acometimento neurológico em mãos com alterações de sensibilidade e força relevantes com pesquisa genética compatível com PAF. Indicação adequada da medicação.

#### 5.3. Parecer

Favorável

Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada: medicação com indicação adequada para polineuropatia amiloidótica familiar.

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

NÃO

#### 5.5. Referências bibliográficas:

1. Adams D, Gonzalez-Duarte A, O'Riordan WD, Yang CC, Ueda M, Kristen AV, Tournev I, Schmidt HH, Coelho T, Berk JL, Lin KP, Vita G, Attarian S, Planté-Bordeneuve V, Mezei MM, Campistol JM, Buades J, Brannagan TH 3rd, Kim BJ, Oh J, Parman Y, Sekijima Y, Hawkins PN, Solomon SD, Polydefkis M, Dyck PJ, Gandhi PJ, Goyal S, Chen J, Strahs AL, Nochur SV, Sweetser MT, Garg PP, Vaishnav AK, Gollob JA, Suhr OB. Patisiran, an RNAi

Therapeutic, for Hereditary Transthyretin Amyloidosis. N Engl J Med. 2018 Jul 5;379(1):11-21. doi: 10.1056/NEJMoa1716153. PMID: 29972753.

2. Rizk M, Tüzmen Ş. Update on the clinical utility of an RNA interference-based treatment: focus on Patisiran. Pharmgenomics Pers Med. 2017 Nov 10;10:267-278. doi: 10.2147/PGPM.S87945. PMID: 29184431; PMCID: PMC5689029.

3. Patisiran for treating hereditary transthyretin amyloidosis - NICE - 14 de agosto de 2019 - acessado em 22 de julho de 2022

<https://www.nice.org.uk/guidance/hst10/chapter/1-Recommendations>

4. CADTH Canadian Drug Expert Committee Recommendation - Patisiran - julho de 2019 - acessado em 22 de julho de 2022

[https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK549615/pdf/Bookshelf\\_NBK549615.pdf](https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK549615/pdf/Bookshelf_NBK549615.pdf)

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

**Equipe NAT-Jus/SP**