

# Amiloidoses Hereditárias

**Priscila Gebrim Louly**

Coordenadora-Geral de Avaliação de Tecnologias em Saúde

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde –

DGITS/SCTIE

nov/22

DISQUE  
SAÚDE  
**136**

SUS+

MINISTÉRIO DA  
SAÚDE

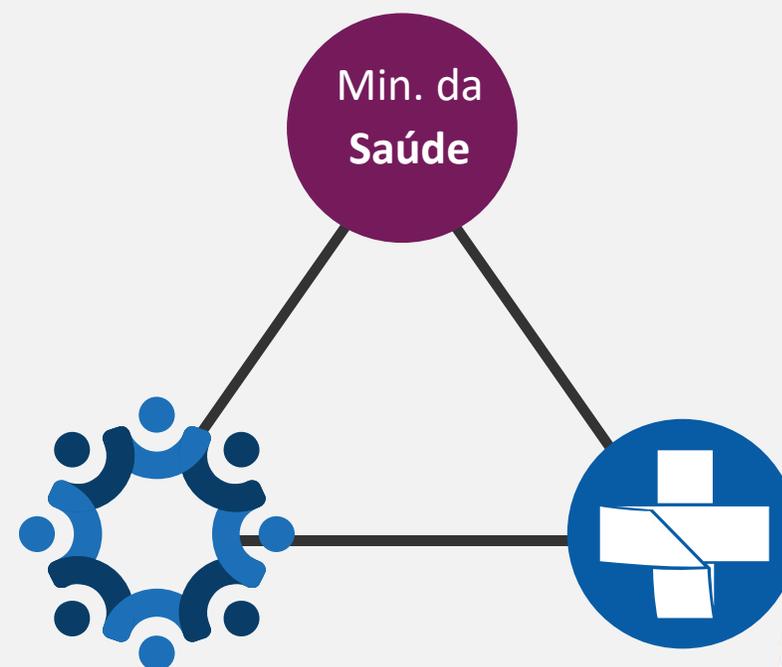
Lei nº 12.401/2011

**Conitec**

Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

É um órgão **colegiado de caráter permanente**, integrante da estrutura regimental do Ministério da Saúde.

Tem por **objetivo** assessorar a Pasta nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração, pelo SUS, de tecnologias em saúde, bem como na constituição ou alteração de protocolos clínicos e diretrizes terapêuticas.



# Estrutura

Decreto nº  
11.161/2022

## COMITÊS

- Medicamentos
- Produtos e Procedimentos
- PCDT

15 membros

- AMB
- NATS

## PLENÁRIO

### 13 MEMBROS

- Secretarias do MS  
SCTIE preside
- CFM
- CNS
- CONASS
- CONASEMS
- ANS
- ANVISA

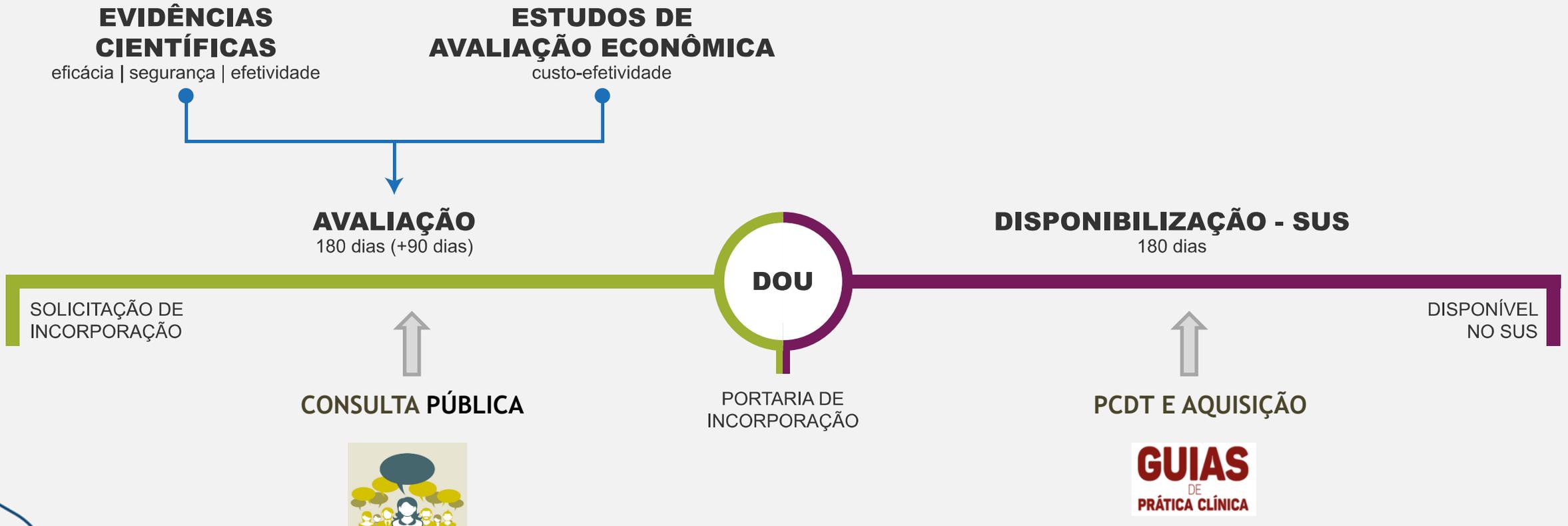
## SECRETARIA EXECUTIVA

### DGITIS

Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias e Inovação em Saúde, criado pelo Decreto nº 7.797/12

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

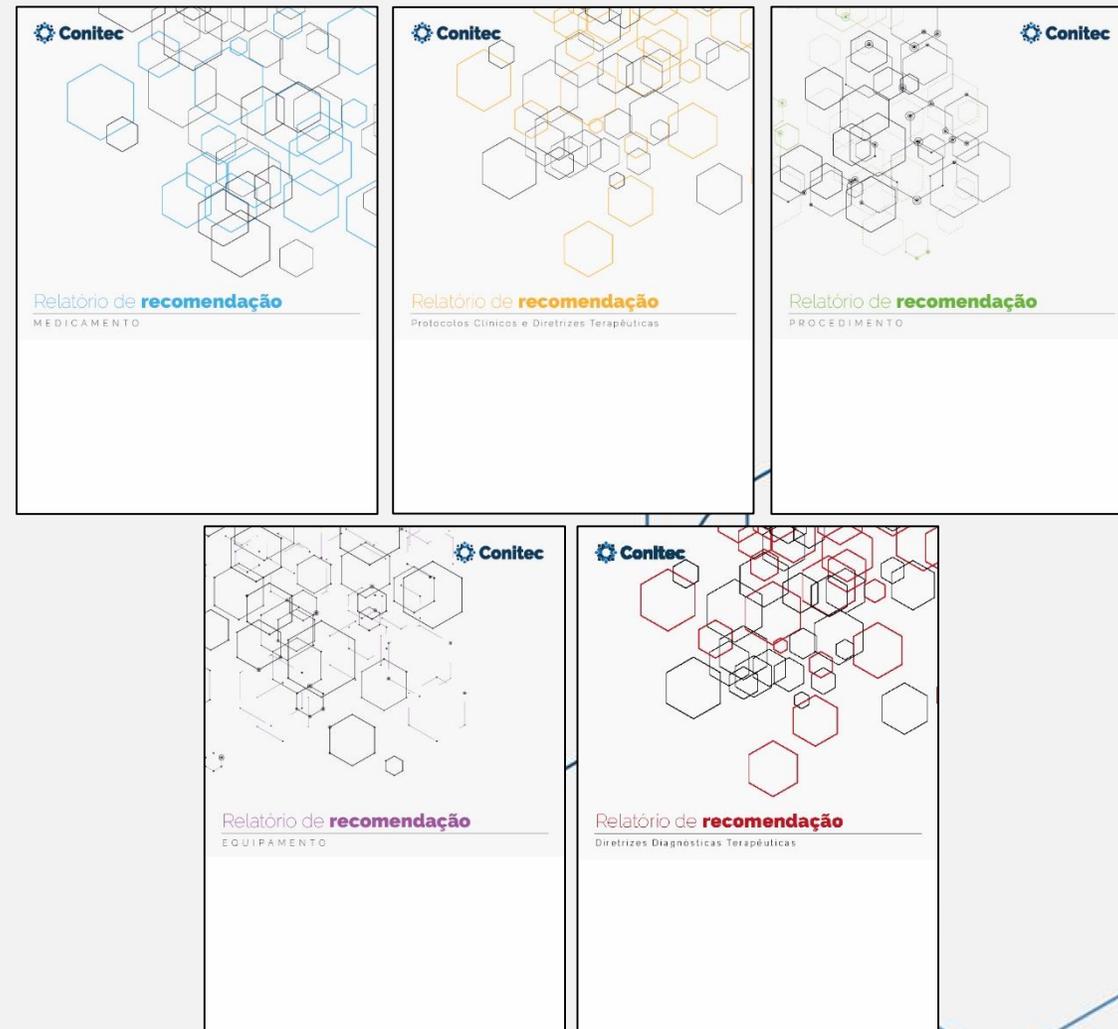
# Regras para incorporação baseadas em:



# Relatório – Avaliação de Tecnologias em Saúde (ATS)

- Doença
- Tecnologia
- Análise das evidências apresentadas pelo Demandante
  - Evidência Clínica
  - Avaliação Econômica
  - Impacto Orçamentário
- Busca e Análise de Evidências
- Experiências internacionais
- Monitoramento do Horizonte Tecnológico
- Recomendação da Conitec
- Consulta Pública
- Deliberação Final
- Decisão

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/recomendacoes-da-conitec>

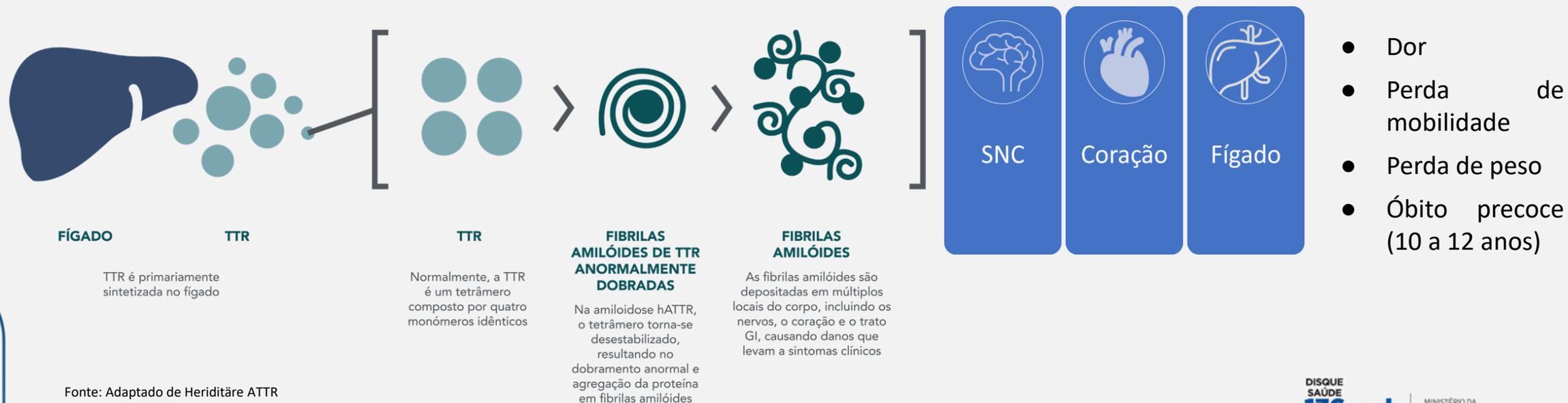


# Tomada de decisão baseada em evidência



# Amiloidoses Hereditárias

- As amiloidoses são um grupo de doenças raras e heterogêneas.
- ATTR é a forma mais comum de amiloidose.
- ATTR, ocorre deposição extracelular de uma proteína precursora solúvel específica que se agrega na forma de fibrilas insolúveis.

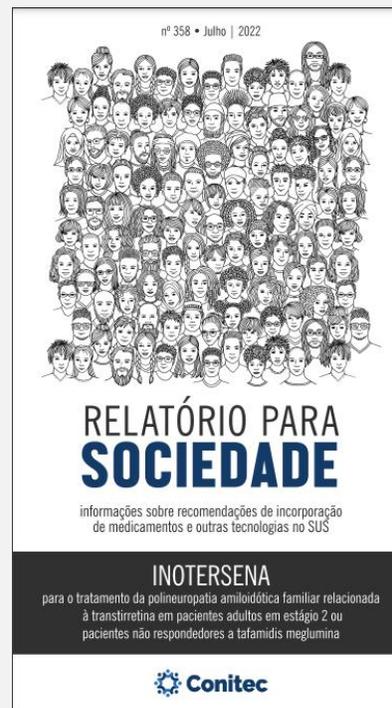


# Amiloidoses Hereditárias

- Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas.
- Transplante hepático.
- Tafamidis → para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia amiloidótica familiar sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático.

# Inotersena

- DEMANDANTE
- PTC Farmacêutica do Brasil LTDA
- TECNOLOGIA
- Inotersena (Tegsedi®)
- INDICAÇÃO
- Tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada a transtirretina.
- Subpopulação de interesse: estágio 2 ou estágio 1 que não responderam ao tafamidis.



# Inotersena

- EVIDÊNCIA CIENTIFICA
- Estudo clínico, 172 pacientes
- 15 meses de acompanhamento



**Hierarquia da evidência científica.**  
Fonte: (Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz)., 2019)

- Reduz níveis de TTR;
- Melhora nos sintomas neurológicos;
- Estabilização da doença.

- R\$ 1.900.000 / paciente / ano;
- R\$ 3.700.000 / Ano de Vida Justados pela Qualidade;
- Impacto Orçamentário = R\$ 240 milhões 1º ano a R\$ 1,35 bilhões em 5 anos.

➤ RECOMENDAÇÃO FINAL (out/22): Não Incorporação

# Inotersena

## CHAMADA PÚBLICA

Prazo até 24/11

Secretaria-Executiva da Conitec abre inscrições para audiência pública sobre medicamento:

*inotersena para tratamento de doença rara e degenerativa*

## Ministério da Saúde convoca audiência pública sobre medicamento para tratamento de doença rara e degenerativa

Chamada pública recebe inscrições até o dia 24 deste mês

DATA: 7 de dezembro

HORÁRIO: das 14h às 17h (horário de Brasília).

Transmissão ao vivo pelo YouTube no canal [REUNIÕES DA CONITEC](#).

# Patisirana

- DEMANDANTE
- Alnylam Pharmaceuticals
  
- TECNOLOGIA
- Patisirana (Onpattro®)
  
- INDICAÇÃO
- Tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada a transtirretina.
- Subpopulação de interesse: estágio 2 ou estágio 1 que não responderam ao tafamidis.

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/participacao-social/consultas-publicas>

# Patisirana

- EVIDÊNCIA CIENTÍFICA
- Estudo clínico, 225 pacientes
- 18 meses de acompanhamento



**Hierarquia da evidência científica.**  
Fonte: (Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz)., 2019)

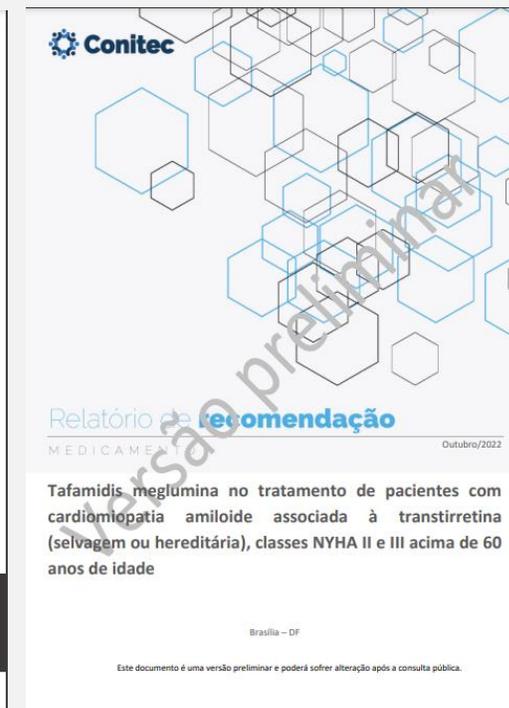
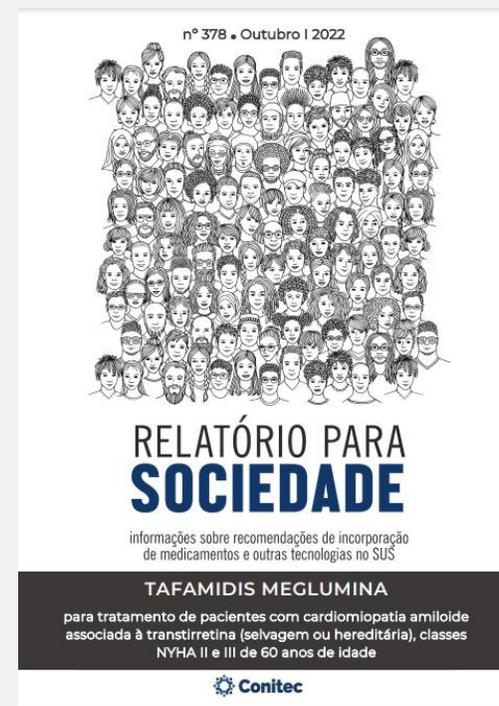
- Reduz níveis de TTR;
- Melhora nos sintomas neurológicos;
- Estabilização da doença;
- Incertezas → sobrevida.

- R\$ 1.070.000 / paciente / ano;
- R\$ 1,2 milhões / Ano de Vida Justados pela Qualidade;
- Impacto Orçamentário = R\$ 63 a 170 milhões 1º ano a R\$ 600 milhões em 5 anos.

➤ RECOMENDAÇÃO PRELIMINAR (nov/22): Não Incorporação

# Tafamidis

- DEMANDANTE
- Wyeth Indústria Farmacêutica LTDA
- TECNOLOGIA
- Tafamidis meglumina (Vyndaqel®)
- INDICAÇÃO
- cardiomiopatia amiloide associada à transtirretina do tipo selvagem ou hereditária, classes NYHA II e III, em pacientes acima de 60 anos de idade.



# Tafamidis

- EVIDÊNCIA CIENTIFICA
- Estudo clínico, aprox. 400 pacientes
- 30 meses de acompanhamento



**Hierarquia da evidência científica.**  
Fonte: (Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz)., 2019)

- Reduz mortalidade geral;
- Reduz hospitalizações por causas cardiovasculares.

- R\$ 315 mil / paciente / ano;
- R\$ 473 mil/ Ano de Vida Justados pela Qualidade;
- Impacto Orçamentário = R\$ 19,8 milhões 1º ano a R\$ 721 milhões em 5 anos.

➤ RECOMENDAÇÃO PRELIMINAR (out/22): Não Incorporação

# Tafamidis

Consulta Pública N°77

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

Publicada no DOU: [07/11/2022](#)

Início: 08/11/2022

Término: 28/11/2022

[Dossiê da empresa](#)

Relatório Conitec

Contribuições recebidas

[Relatório Técnico](#)

[Experiência e Opinião - anexos](#)

[Relatório para a sociedade](#)

[Técnico Científico - anexos](#)

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/participacao-social/consultas-publicas>

# OBRIGADA!

<https://www.gov.br/conitec/pt-br>

DISQUE  
SAÚDE  
**136**

SUS+

MINISTÉRIO DA  
SAÚDE