



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO  
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE  
SUBSECRETARIA JURIDICA  
NÚCLEO DE ACESSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS - FEDERAL Nº 0701/2019

Rio de Janeiro, 23 de julho de 2019.

Processo nº 5047023-18.2019.4.02.5101,  
ajuizado por [REDACTED], neste  
ato representada por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Galsulfase** (Naglazyme®).

#### I – RELATÓRIO

Para elaboração deste Parecer foram considerados os documentos médicos mais recentes acostados ao Processo, emitidos em 2019, pois referem-se ao quadro clínico e plano terapêutico atuais do Autor.

1. De acordo com documentos médicos (Evento 1, ANEXO4, Páginas 4 e 6) do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira e Formulário Médico da Defensoria Pública da União no Rio de Janeiro (Evento 1, ANEXO6, Páginas 5 a 8 e Evento 1, ANEXO7, Páginas 1 a 5), emitidos em 13 de fevereiro de 2019 e 26 de junho de 2019, pela geneticista [REDACTED] (CREMERJ [REDACTED]), o Autor apresenta diagnóstico de **Mucopolissacaridose tipo VI (Síndrome de Maroteaux-Lamy)** e no momento encontra-se sem o medicamento **Galsulfase** (Naglazyme®). O Suplicante tem baixa estatura, macrocrania, limitação do movimento articular, mãos em garra, deformidades esqueléticas, hérnia umbilical, leve regurgitação da válvula mitral e aórtica, respiração ruidosa e face infiltrada. Tem indicação de manter o tratamento de reposição enzimático (TRE), pois houve melhora após o seu início. Ressalta-se que esse tratamento se estenderá para a vida inteira do Autor, já que não há condições do próprio organismo voltar a sintetizar a enzima. Sem a terapia de reposição enzimática, a evolução é progressiva chegando a óbito na primeira ou segunda década de vida. Consta prescrito:

- **Galsulfase** (Naglazyme®) – 20mL (4 frascos) em 100mL de Soro Fisiológico 0,9%. Infusão contínua de 4 horas de duração. **Infusão semanal, para toda a vida, podendo a quantidade de frascos ser alterada em virtude do aumento de peso do Autor.**

Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **E76.2 – outras mucopolissacaridoses.**

#### II – ANÁLISE DA LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, alterada por diversas portarias, sendo a mais recente a Portaria nº 702/GM/MS, de 21 de março de 2018, e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 06 de maio de 2004.

2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, cuja alteração mais recente consta na Portaria nº 3.550/GM/MS, de 01º de novembro de 2018,



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO  
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE  
SUBSECRETARIA JURIDICA  
NÚCLEO DE ACESSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

dispõe, também, sobre as normas para o financiamento da assistência farmacêutica, promovendo a sua organização em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado.

3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, alterada pela Portaria nº 702/GM/MS, de 21 de março de 2018, considera, inclusive, as normas de execução dos Componentes Básico e Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.

4. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012, relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).

5. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743, de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de financiamento e de execução do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.

6. A Resolução SMS/RJ nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. As **Mucopolissacaridoses (MPS)** são doenças genéticas raras causadas pela deficiência de enzimas lisossômicas específicas que afetam o catabolismo de glicosaminoglicanos (GAG). O acúmulo de GAG em vários órgãos e tecidos nos pacientes afetados pelas MPS resulta em uma série de sinais e sintomas, integrantes de um quadro clínico multissistêmico. As manifestações mais frequentes das MPS incluem principalmente fácies característica, opacificação da córnea e/ou outros problemas oculares, macroglossia, perda auditiva, hidrocefalia, cardiopatia, problemas respiratórios, hepatoesplenomegalia, hérnia inguinal e umbilical, disostose múltipla, limitação da mobilidade articular e dano cognitivo (em parte dos casos). Devido ao comprometimento de vários órgãos e tecidos, os pacientes com MPS frequentemente necessitam de intervenções cirúrgicas que podem levar a um alto índice de complicações<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. O **Galsulfase (Naglazyme®)** é indicado para a terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de **mucopolissacaridose tipo VI (MPS VI)**, deficiência de Nacetilgalactosamina 4-sulfatase (rhASB), síndrome de Maroteaux-Lamy<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Galsulfase (Naglazyme®)** **possui indicação clínica, que consta em bula<sup>2</sup>** para o tratamento do quadro clínico que acomete

<sup>1</sup> GIUGLIANI, R. et al. Terapia de reposição enzimática para Mucopolissacaridoses I, II e VI: Recomendações de um grupo de especialistas brasileiros Revista da Associação Médica Brasileira, v. 56, n. 3, p. 257-277, 2010. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0104-42302010000300009&script=sci\\_arttext](http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0104-42302010000300009&script=sci_arttext)>. Acesso em: 23 jul. 2019.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Idursulfase Galsulfase (Naglazyme®) por BioMarin Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <[http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila\\_bula/fmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=5716332019&pldAnexo=11266432](http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/fmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=5716332019&pldAnexo=11266432)>. Acesso em: 23 jul. 2019.



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO  
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE  
SUBSECRETARIA JURIDICA  
NÚCLEO DE ACESSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

o Autor – **Mucopolissacaridose tipo VI (Síndrome de Maroteaux-Lamy)**, conforme consta em documento médico (Evento 1, ANEXO4, Página 4 e Evento 1, ANEXO6, Página 6 e Evento 1, ANEXO7, Página 2). Entretanto, não integra em nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e Estado do Rio de Janeiro.

2. Destaca-se que a Portaria SCTIE n. 83, de 19 de dezembro de 2018, tornou pública a decisão de incorporar Galsulfase para a terapia de reposição enzimática de longo prazo, em pacientes com diagnóstico confirmado de **Mucopolissacaridose tipo VI (deficiência de N-acetilgalactosamina 4-sulfa)** no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, mediante os seguintes condicionantes: protocolo de uso estabelecido pelo Ministério da Saúde; atendimento e tratamento restritos a hospitais que integram a rede Nacional de Pesquisa Clínica; registro dos dados clínicos e farmacêuticos em sistema nacional informático do SUS; uso *ad experimentum* (reavaliação em 03 anos); laudo próprio para dispensação do medicamento; fornecimento aos respectivos hospitais; e negociação para redução significativa de preço<sup>3</sup>.

3. Em consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS (SIGTAP), na competência de 07/2019, não consta o medicamento **Galsulfase**. Dessa forma, o referido medicamento ainda não integra uma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e Estado do Rio de Janeiro<sup>4</sup>.

4. Ressalta-se que em consulta ao banco de dados online da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC verificou-se que ainda não há disponível Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para o manejo da **Mucopolissacaridose tipo VI (Síndrome de Maroteaux-Lamy)**<sup>5</sup>.

5. O medicamento em questão possui registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

6. Em complemento, cumpre informar que, até a presente data, não constam medicamentos fornecidos no âmbito do SUS, que possam configurar alternativas farmacológicas ao medicamento pleiteado para o tratamento do Autor.

É o parecer.

À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

ALINE ROCHA S. SILVA  
Farmacêutica  
CRF-RJ 14.429  
Mat. 5502-0

LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO  
Farmacêutico  
CRF- RJ-15.023

RACHEL DE SOUSA AUGUSTO  
Farmacêutica  
CRF- RJ 8626  
Mat.: 5516-0

MARCELA MACHADO DURAÓ  
Farmacêutica  
CRF-RJ 11517  
ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ  
Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

<sup>3</sup> Diário Oficial da União. Portaria SCTIE n. 83, de 19 de dezembro de 2018. Disponível em:

<[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2018/PortariasSCTIE\\_82a84\\_2018.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2018/PortariasSCTIE_82a84_2018.pdf)>. Acesso em: 23 jul. 2019.

<sup>4</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS (SIGTAP). Disponível em: < <http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/inicio.jsp>>. Acesso em: 23 jul. 2019.

<sup>5</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: < <http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes#M> >. Acesso em: 23 jul. 2019.