



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0828/2019

Rio de Janeiro, 26 de agosto de 2019.

Processo nº 5054049-67.2019.4.02.5101, ajuizado por

representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **15ª Vara Federal do Rio de Janeiro**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Atalureno** (Translarna™).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos, emitidos em receituário próprio e em documento do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira - UFRJ (Evento1_RECEIT13,pág. 1; Evento1_LAUDO12_págs. 1 e 2), não datado e emitido em 04 de julho de 2019, pelos médicos [redacted] o Autor, 10 anos de idade, apresenta **distrofia muscular de Duchenne** (DMD) com mutação de stop códon no gene da distrofina, uma doença genética neuromuscular grave, degenerativa, progressiva, que se caracteriza pela fraqueza e perda da força e massa muscular. Foi informado que existe uma possibilidade terapêutica para tratar diretamente a causa base da doença. Para os pacientes que possuem uma mutação específica chamada “mutação nonsense” no gene da distrofina, como no caso do Autor, no qual esta é a causa base da doença, é indicado o medicamento **atalureno** (Translarna™). Com o tratamento, a doença progredirá mais lentamente, ou seja, terá uma evolução bem menos avassaladora de todos os sinais e sintomas descritos, sendo esperado um prolongamento do seu tempo de vida e a promoção de mais qualidade para a vida do Autor e seus familiares. O acompanhamento da resposta terapêutica será realizado com frequência de 3 em 3 meses e levará em consideração uma melhora nos parâmetros já citados anteriormente. Foi observado ainda que o Hospital mencionado não disponibiliza a oferta do medicamento mencionado para o Autor. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular** e prescrito, de forma contínua e por tempo indeterminado:

- **Atalureno 250mg – 2 comp. de 8/8h.**

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, 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.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. A **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma doença hereditária progressiva que possui herança recessiva ligada ao cromossomo X. Portanto, afeta a metade dos membros masculinos da família, e a metade dos membros do sexo feminino são portadores assintomáticos. As manifestações clínicas normalmente começam na infância, geralmente nos três primeiros anos de vida, as alterações funcionais iniciam-se com o enfraquecimento muscular, que ocorre gradualmente e de forma ascendente, simétrica e bilateral, com início na cintura pélvica e membros inferiores, progredindo para musculatura de tronco e para a musculatura responsável pela sustentação da postura bípede, cintura escapular, membros superiores, pescoço e músculos respiratórios. A fraqueza muscular torna-se evidente por volta dos cinco anos de idade, quando as crianças apresentam sintomas iniciais, tais como dificuldade de deambular, pular e correr, além de quedas frequentes. Durante a progressão da doença, surge insuficiência respiratória com dificuldade na ventilação, falta de força para tossir, ocasionando infecções respiratórias de repetição, o músculo cardíaco também é afetado em praticamente todos os pacientes que sobrevivem por maior tempo¹.

DO PLEITO

1. O **Atalureno (Translarna™)** é um medicamento que permite a leitura ribossômica do RNAm que contém códon de parada prematuro, o que resulta na produção de uma proteína de comprimido completo. É indicado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne resultante de uma mutação sem sentido (nonsense) no gene da distrofina (DMDmn) em pacientes deambulatórios pediátricos a partir dos 5 anos de idade, do sexo masculino. A presença de uma mutação sem sentido no gene da distrofina deve ser determinada por testes genéticos².

¹ SANTOS, N. M., et al. Perfil Clínico e funcional dos pacientes com distrofia muscular de Duchenne assistidos na Associação Brasileira de Distrofia Muscular (ABDIM). Revista Neurociências. v. 14, n. 1, 2006. Disponível em: <<http://www.revistaneurociencias.com.br/edicoes/2006/RN%2014%2001/Pages%20from%20RN%2014%2001-3.pdf>>. Acesso em: 26 ago. 2019.

² Bula do medicamento Atalureno (Translarna™) por Millidock Produtos Médicos e Farmacêuticos Ltda – ME. Disponível em: <http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/fm/VisualizarBula.asp?pNuTransacao=4505002019&pIdAnexo=11185036>. Acesso em: 26 ago. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente cabe destacar que o medicamento pleiteado **Atalureno** (Translarna™) foi recentemente registrado na Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA, com registro datado de 29 de abril de 2019³.
2. Elucida-se que o pleito **Atalureno** (Translarna™), de acordo com bula aprovada pela ANVISA², está indicado para o tratamento de pacientes com diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne com capacidade de deambulação². Porém, nos documentos médicos acostados ao Processo (Evento1_RECEIT13_pág. 1; Evento1_LAUDO12_págs. 1 e 2), não foi descrita a capacidade de deambulação do Autor.
3. Tendo em vista o exposto, sugere-se que o médico assistente emita novo documento médico esclarecendo sobre a situação atual do Autor especificamente em relação à sua capacidade de deambulação, para que este Núcleo possa inferir acerca da indicação do pleito para o tratamento do quadro clínico que o acomete.
4. Quanto à disponibilização do **Atalureno** (Translarna™) através do SUS, elucida-se que o mesmo não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.
5. Em outubro de 2018 foi publicado Parecer Técnico Científico pelo Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS) do Instituto Nacional de Cardiologia, em relação a efetividade e segurança do **Atalureno** para tratamento de pessoas com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD). Foram incluídos apenas dois ensaios clínicos randomizados de alta qualidade metodológica. O **atalureno** foi estudado apenas nos portadores da mutação nonsense (13% do total de doentes com DMD). Os resultados foram negativos, com pequenos ganhos na capacidade de caminhar, sem diferença estatística e abaixo do limiar de melhora clínica pré-definida (30 metros), não recomendando o fornecimento do medicamento. Foi destacado ainda que o medicamento foi recusado para registro no FDA (agência de regulação estadunidense)⁴.
6. Em 2018 foi publicada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), Síntese de Evidências elaborada de 2017 que contém informações sobre as evidências científicas disponíveis a respeito da eficácia, segurança e custo-efetividade das tecnologias, dentre outras. Tal síntese menciona que a distrofia muscular de Duchenne não tem cura e o seu tratamento se baseia na terapia sintomática. E quanto ao uso do **Atalureno**, reitera que a eficácia não foi demonstrada em doentes sem capacidade de marcha⁵.
7. A **distrofia muscular de Duchenne** é uma doença rara e, nesse sentido, o Ministério da Saúde publicou a Portaria nº 199 de 30 de janeiro de 2014 que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁶ tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos. Contudo, a **distrofia muscular de Duchenne** não é mencionada.
8. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com

³ AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA – ANVISA. Consultas. Medicamentos. **Atalureno** (Translarna®). Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351717381201767/?nomeProduto=translarna>>. Acesso em: 26 ago. 2019.

⁴ CONSELHO NACIONAL DE JUSTIÇA – CNJ. Parecer Técnico Científico (PTC): **Atalureno** para distrofia muscular de Duchenne. NATS do Instituto Nacional de Cardiologia. Outubro de 2018. Disponível em: < <https://www.cnj.jus.br/c-natjus/arquivo-download.php?hash=c05e05a7ac47a5c415c634fedadea796372c3939>>. Acesso em: 26 ago. 2019.

⁵ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC. Síntese de Evidências – 2017. **Atalureno** para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Sintese_Evidencias/2017/SE_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf> Acesso em: 26 ago. 2019.

⁶ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 26 ago. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

doenças raras. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênitas⁷.

9. Destaca-se que o **Atalureno** até o momento **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC para o tratamento da **distrofia muscular de Duchenne**, quadro clínico apresentado pelo Autor⁸.

10. Por fim salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde não publicou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁹, que verse sobre a **distrofia muscular de Duchenne** – quadro clínico que acomete o Autor e, portanto, não há nas listas oficiais de medicamentos do SUS, opções da mesma classe terapêutica do pleito que possam ser implementados nestas circunstâncias.

11. Em caráter informativo, verificou-se a existência do Processo nº **5054052-22.2019.4.02.5101**, da **15ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, do Autor **Ygor José dos Santos**, cuja mãe é **Cintia Regina dos Santos**, mesma mãe do Autor do presente Processo. Elucida-se ainda que o quadro clínico apresentado é o mesmo do Autor do presente Processo – Distrofia muscular de Duchenne, assim como o pleito Atalureno (Translarna™), tendo sido os documentos médicos apresentados emitidos pelo mesmo médico assistente. Para o Processo mencionado foi elaborado o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0829/2019, emitido em 26 de agosto de 2019.

É o parecer.

À **15ª Vara Federal de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro**, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

JULIANA PEREIRA DE CASTRO
Farmacêutica
CRF-RJ 22.383

FERNANDO ANTÔNIO DE A. GASPAR
Médico
CRM-RJ 52.52996-3
ID. 3.047.165-6


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


MARCELA MACHADO DURAO
Assistente de Coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

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

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 26 ago. 2019.

⁸BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/>>. Acesso em: 26 ago. 2019.

⁹BRASIL. Ministério da Saúde. 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>>. Acesso em: 26 ago. 2019.