



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0840/2019**

Rio de Janeiro, 30 de agosto de 2019.

Processo nº 5005904-74.2019.4.02.5102, ajuizado  
por [REDACTED], neste ato representado  
por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 3ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Atalureno** (Translarna™).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com documentos médicos do Hospital Universitário Antônio Pedro – HUAP/UFF (Evento1\_Laudo10\_pág. 1 e Evento1\_RECEIT11\_pág. 1), emitidos em 19 de junho de 2019 pelo médico [REDACTED] o Autor, hoje com 10 anos de idade, acompanhado no ambulatório de neurologia pediátrica desde junho de 2016, com quadro de fraqueza muscular progressiva com elevação significativa das enzimas musculares, caracterizando diagnóstico de distrofia muscular. Foi realizada a investigação genética recomendada e constatado que o Autor apresenta **distrofia muscular de Duchenne**, causada por mutação pontual do tipo *nonsense* no gene da distrofina. O tratamento destes pacientes inclui o uso de medicamentos que reduzem a inflamação, como corticoides, além de fisioterapia motora e respiratória. Recentemente foi desenvolvido o medicamento **Atalureno** (Translarna™), que em alguns estudos se mostrou capaz de desacelerar a evolução da doença em pacientes cuja doença era causada por mutação *nonsense* no gene da distrofina e que ainda eram capazes de andar. Com base nesse estudo e considerando a gravidade e a falta de opções de tratamento para esses pacientes, a agência regulatória europeia aprovou o medicamento para pacientes com Distrofia de Duchenne causada por mutação nonsense que ainda não haviam deixado de andar. Foi relatado que o Autor se encaixa nesse perfil, e por se tratar de doença progressiva há um risco considerável de sua progressão, impedindo dessa forma que o Autor se torne elegível para receber o medicamento e contribuindo para que seu quadro se agrave mais rapidamente. Diante do exposto, foi prescrito o **Atalureno** (Translarna™), na dose de 40mg/kg/dia. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular**. Foi prescrito ao Autor, considerando seu peso na data de emissão do laudo:

- **Atalureno** (Translarna™)
  - 03 sachês de 250mg pela manhã;
  - 02 sachês de 250mg à tarde;
  - 02 sachês de 250mg à noite.

**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



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. No tocante ao Município de Niterói, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais ("REMUME-Niterói") através da Portaria nº 290/2012, publicada no dia 01 de dezembro de 2012, no Diário Oficial da Prefeitura da Cidade de Niterói.

### 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 tempo<sup>1</sup>.

### 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 genéticos<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

<sup>1</sup> 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: 28 ago. 2019.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Atalureno (Translarna™) por Millidock Produtos Médicos e Farmacêuticos Ltda – ME. Disponível em: <[http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila\\_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=4505002019&pIdAnexo=11185036](http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=4505002019&pIdAnexo=11185036)>. Acesso em: 28 ago. 2019.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 2019<sup>3</sup>.
2. Elucida-se que o pleito **Atalureno** (Translarna™), de acordo com bula aprovada pela ANVISA, está indicado para o tratamento de pacientes portadores da distrofia muscular de Duchenne com capacidade de deambulação<sup>2</sup>.
3. Considerando o relato médico de que a Agência regulatória europeia aprovou o uso do medicamento para pacientes com Distrofia de Duchenne causada por mutação nonsense que ainda não haviam deixado de andar, e que o Autor se encaixa nesse perfil (Evento1 LAUDO10 pág. 1), neste caso, o pleito Atalureno (Translarna™) configura uma alternativa terapêutica para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor.
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 de Niterói 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)<sup>4</sup>.
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 marcha<sup>5</sup>.
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 Raras<sup>6</sup> 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

<sup>3</sup> AGÊNCIA NACIONAL DE VIGILÂNCIA SANITÁRIA – ANVISA. Consultas. Medicamentos. Atalureno (Translarna®). Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351717381201767/?nomeProduto=translarna>>. Acesso em: 28 ago. 2019.

<sup>4</sup> 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/e-natjus/arquivo-download.php?hash=c05e05a7ae47a5c415e634fcdadea796372c3939>>. Acesso em: 28 ago. 2019.

<sup>5</sup> 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](http://conitec.gov.br/images/Sintese_Evidencias/2017/SE_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf)> Acesso em: 28 ago. 2019.

<sup>6</sup> 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](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 28 ago. 2019.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

com doenças raras. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênitas<sup>7</sup>.

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 Autor<sup>8</sup>.

10. Por fim salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde não publicou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas<sup>9</sup>, 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.

É o parecer.

À 3ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

**JULIANA PEREIRA DE CASTRO**

Farmacêutica  
CRE-RJ 22.383

**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

<sup>7</sup> 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](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf)>. Acesso em: 28 ago. 2019.

<sup>8</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/>>. Acesso em: 28 ago. 2019.

<sup>9</sup>BRASIL. 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: 28 ago. 2019.