



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NAT-FEDERAL Nº 1031/2019

Rio de Janeiro, 23 de outubro de 2019.

Processo nº 5006605-32.2019.4.02.5103,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do 3º Juizado Especial Federal da Comarca de Campo dos Goytacazes quanto ao medicamento **Cisteamina 150mg (Cystagon®)**.

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documento (Evento 1 LAUDO4 Páginas 1) emitido pelo médico em 27 de agosto de 2019, o Autor é portador de **Cistinose** [*Classificação Internacional da Doença (CDI-10): E72.0 – Distúrbios do transporte de aminoácidos*], que agrediu sobremaneira sua função renal, levando-o a doença renal crônica em estágio 5, com realização de transplante. Mesmo com o transplante renal, sendo a doença de caráter genético, a reposição de **Cisteamina 150mg (Cystagon®)** é fundamental para o controle da doença, evitando-se a agressão no enxerto renal o que levará ao comprometimento do seu transplante e risco de retorno à terapia renal substitutiva ou morte.

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.
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).



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Campos dos Goytacazes, em consonância com as legislações supramencionadas, este definiu o seu elenco de medicamentos, conforme Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (REMUME - Campos dos Goytacazes - 2016) no âmbito das unidades integrantes do Sistema Único de Saúde sob gestão da Prefeitura Municipal de Campos dos Goytacazes.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **cistinose nefropática (CN)** (OMIM 219800) é uma doença rara, autossômica recessiva, decorrente de mutações no gene CTNS que codifica a cistinosina, proteína transportadora da cistina do lisossomo para o citosol das células. Com a disfunção da cistinosina, há acúmulo intralisossomal de cistina, que, por sua baixa solubilidade, leva à formação de cristais em diferentes órgãos, bem como sua disfunção¹.

2. Na infância, primeiramente, os rins são afetados com a síndrome de Fanconi (SF), e ocorre frequentemente hipotireoidismo e acometimento gastrointestinal e ocular. O comprometimento glomerular geralmente torna-se aparente entre 2 e 5 anos de idade, com proteinúria, e resulta em doença renal crônica terminal (DRCT) por volta de 10 anos de idade. Na segunda e terceira décadas de vida, os pacientes apresentam acometimento de outros órgãos, como pâncreas, musculatura esquelética, fígado, sistema nervoso central e hipogonadismo no sexo masculino. Apesar de grave, a doença tem tratamento específico com cisteamina, droga depletores dos estoques de cistina, que retarda a evolução para DRCT e o desenvolvimento de comprometimento extrarrenal. Quanto mais precoce o início do tratamento específico, melhor a evolução dos pacientes¹.

DO PLEITO

1. Segundo informações da Agência Europeia de Medicamentos (*European Medicines Agency*) a **Cisteamina 150mg (Cystagon[®])** está indicada no tratamento da cistinose nefropática comprovada. A cisteamina reduz a acumulação de cistina em determinadas células (por exemplo leucócitos, músculo e hepatócitos) nos doentes com cistinose nefropática e, quando o tratamento é efetuado precocemente, atrasa o desenvolvimento da insuficiência renal².

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente, cabe destacar que o pleito **Cisteamina 150mg (Cystagon[®]) não possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e, portanto, **não**

¹ VAISBICH, M.H. et al. Abordagem multidisciplinar para pacientes com cistinose nefropática: modelo para atendimento em uma doença renal rara e crônica. Braz. J. Nephrol. (J. Bras. Nefrol.) 2019;41(1):131-141. Disponível em: <http://www.scielo.br/pdf/jbn/v41n1/pt_2175-8239-jbn-2018-0139.pdf>. Acesso em: 22 out. 2019.

² Informações do medicamento prestadas por EMA-Europa. Disponível em: <<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/cystagon>>. Acesso em: 22 out. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

está elencando na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME)³, assim como não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Campo dos Goytacazes e do Estado do Rio de Janeiro, e não está disponível para entrega imediata.

2. Ressalta-se que seu uso no tratamento cistinose nefropática foi aprovado pelas agências Europeia (EMA)² e Americana (FDA)⁴ de medicamentos, em 1997 e 1994, respectivamente, não se tratando, assim, medicamento de uso experimental.

3. Segundo síntese de evidências – a Cisteamina ajuda a manter a função glomerular renal, melhora o crescimento e a qualidade de vida, sendo considerada o tratamento de escolha para a cistinose nefropática^{5,6}.

4. Destaca-se que a Cisteamina por via oral é o único tratamento específico para o tratamento da Cistinose e o seu uso a longo prazo, em pacientes com início precoce do tratamento e boa adesão a ele, atrasa a progressão para doença renal terminal⁷. Dessa forma, o referido pleito Cisteamina 150mg (Cystagon®) está indicado para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.

5. A importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, é autorizada por meio da RDC n° 81, de 05 de novembro de 2008⁸. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam às exigências sanitárias dispostas na referida portaria e legislação sanitária pertinente. Sendo assim, cabe esclarecer que a aquisição de bens e produtos importados sem registro na ANVISA passa por um processo complexo que exige um determinado tempo, devido aos trâmites legais e sanitários exigidos.

6. Impende esclarecer que não há correspondente genérico do medicamento em questão, assim como não há substâncias/medicamentos disponíveis no Brasil que sejam específicos para o tratamento da cistinose tal como a Cisteamina 150mg (Cystagon®).

7. Quanto aos tratamentos disponibilizados pelo SUS, não existe até o momento um Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas publicado pelo Ministério da Saúde para o tratamento da Cistinose. Assim, não há uma lista padronizada de tratamentos. No SUS é fornecido tão somente o tratamento sintomático de suporte para os pacientes com essa doença, o qual irá depender das comorbidades ou complicações decorrentes dela como diabetes, insuficiência renal, hipotireoidismo, desequilíbrio de eletrólitos, entre outros⁹.

8. A Cistinose é uma doença rara e, nesse sentido, o Ministério da Saúde publicou a Portaria n° 199 de 30 de janeiro de 2014 que instituiu a Política Nacional de

³RENAME. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais 2018. Disponível em: <<http://portalarquivos2.saude.gov.br/images/pdf/2018/novembro/23/17-0407M-RENAME-2018.pdf>>. Acesso em: 22 out. 2019.

⁴ Food and Drugs Administration. Approved Drug Products – Cystagon. Disponível em: <<https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=overview.process&AppNo=020392>>. Acesso em: 22 out. 2019.

⁵ Centro Colaborador do SUS -- Avaliação de Tecnologias & Excelência em Saúde (CATES). Síntese de evidências SE 12/2017. Cisteamina para o tratamento da cistinose. Disponível em: <http://www.ccates.org.br/content/_pdf/PUB_1497017584.pdf>. Acesso em: 22 out. 2019.

⁶ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC - Síntese de Evidências - Cisteamina para o tratamento da cistinose. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Sintese_Evidencias/2017/SE_038_Procysbi_Cistinose.pdf>. Acesso em 23 out 2019

⁷ Ariceta, G., Giordano, V., & Santos, F. (2019). Effects of long-term cysteamine treatment in patients with cystinosis. *Pediatric nephrology (Berlin, Germany)*, 34(4), 571–578. doi:10.1007/s00467-017-3856-4. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC6394685/>>. Acesso em: 22 out. 2019.

⁸ ANVISA. Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Resolução RDC n° 81, de 05 de novembro de 2008. Dispõe sobre o Regulamento Técnico de Bens e Produtos Importados para fins de Vigilância Sanitária. Disponível em: <http://andromeda.ensp.fiocruz.br/etica/sites/default/files/documentos/Res%2081_2008.pdf>. Acesso em: 06 set. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Raras⁹ 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. Ademais a Portaria SCTIE-MS N.º 19, de 26 de maio de 2015, aprova a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde – SU, onde a **Cistinose** compõe o Eixo I – erros inatos do metabolismo.

9. A **istinose** nefropática (CN) (OMIM 219800) é uma doença rara, autossômica recessiva, com incidência global de 1:100.00-200.000 nascidos vivos.¹

10. Por fim, é importante ressaltar que, tendo em vista o caráter genético da doença do Autor, o medicamento pleiteado não tem a capacidade de promover a cura da doença. A ação do medicamento Cisteamina retarda a referida evolução e o desenvolvimento de comprometimento extrarrenal¹.

11. Ressalta-se que, segundo o médico assistente, o pleito **cisteamina** (Cystagon®), é indispensável para manutenção da vida do Autor uma vez que é “fundamental para controle da doença, havendo risco do retorno à terapia renal substitutiva ou morte caso não o utilize”, Evento1_LAUDO4_pág.1; Evento1_OUT9_pág.1;Evento1_OUT10_pág.1

É o parecer.

Ao 3º Juizado Especial Federal da Comarca de Campo dos Goytacazes para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO
Farmacêutico
CRF-RJ 15023

LUCIANA MANHENTE DE CARVALHO
SORIANO
Médica
CRM RJ 32.85062-4

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

⁹ 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: 23 out. 2019.