



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1115/2019

Rio de Janeiro, 12 de novembro de 2019.

Processo nº 5002294-86.2019.4.02.5106,
ajuizado por [REDACTED]
[REDACTED] neste ato representado por [REDACTED]
[REDACTED]

O presente parecer visa atender a solicitação de informações da 2ª Vara Federal de Petrópolis, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Eteplirsen** (Exondys® 51).

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração do presente Parecer Técnico foram considerados os documentos médicos acostados ao Processo datados e com identificação do profissional emissor.

2. De acordo com laudo médico e receituário de controle especial da Secretaria Municipal de Saúde de Petrópolis (Eventos EXMMED11_pág. 1; Eventos EXMMED12_pág. 1; Eventos EXMMED13_pág. 1), emitidos em 07 de maio de 2019 pelo médico [REDACTED] (CREMERJ [REDACTED]), o Autor é portador de **distrofia muscular de Duchenne**, com indicação do uso de **eteplirsen 500mg/ 10 ml**, 02 frascos por semana, totalizando de 08 a 10 frascos por mês, dependendo se o mês tiver 4 ou 5 semanas. Importante o tratamento contínuo e ininterrupto. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular** e prescrito para o Autor:

- **Eteplirsen 500mg/10 ml** – 2 frascos intravenoso em dose única a cada semana.

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 pela 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, alterada pela Portaria nº 3.550/GM/MS, de 01º de novembro de 2018, dispõe, também, sobre



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 2.661, de 26 de dezembro de 2013 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 3º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.

6. O Boletim de publicação nº 005/09, de 22 de julho de 2009, apresentou Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (REMUME) do Município de Petrópolis, contendo elenco de medicamentos sugerido pela comissão estadual de AF, aprovado pela CIB de 12/06/2008 nas diretrizes da Portaria nº 3237.

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.

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: 07 nov. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

DO PLEITO

1. **Eteplirsen (Exondys[®] 51)** é um oligonucleotídeo antisense, desenvolvido para se ligar ao exon 51 da distrofina pré-RNA^m, resultando na exclusão deste exon durante o processamento do RNA^m em pacientes com mutações genéticas. Está indicado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne em pacientes com mutação decorrente da depleção do exon 51. Essa indicação foi aprovada por meio de aprovação acelerada com base no aumento na distrofina em músculos esqueléticos observada em alguns pacientes tratados com **Eteplirsen (Exondys[®] 51)**. O benefício clínico não foi estabelecido. A aprovação continuada para essa indicação pode estar condicionada à verificação de benefício clínico em ensaios confirmatórios².

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente destaca-se que o medicamento **Eteplirsen (Exondys[®] 51)** não possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA. Por se tratar de medicamento importado, não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação através do SUS, no âmbito do Município de Petrópolis e do Estado do Rio de Janeiro.

2. De acordo com bula do órgão sanitário norte-americano *Food and Drug Administration – FDA*², o medicamento pleiteado **Eteplirsen (Exondys[®] 51)** está indicado para o manejo do quadro clínico que acomete o Autor – distrofia muscular de Duchenne, conforme relato médico (Evento1_EXMMED11_pág. 1; Evento1_EXMMED12_pág. 1; Evento1_EXMMED13_pág. 1).

3. Cabe esclarecer que 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 2008 e suas atualizações³. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam as 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.

4. A distrofia muscular de Duchenne é uma doença rara, nesse sentido, o Ministério da Saúde publicou a Portaria n° 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

² FOOD AND DRUG ADMINISTRATION – FDA. Bula do medicamento Eteplirsen (Exondys[®] 51) por Sarepta Therapeutics, Inc. Disponível em: <https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2018/206488s0091bl.pdf>. Acesso em: 07 nov. 2019.

³ 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://portal.anvisa.gov.br/documents/33880/2568070/rdc0081_05_11_2008.pdf/a02a1a3f-eafl-4264-b1c0-084eb426fc37?>. Acesso em: 07 nov. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁴ 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.

5. Destaca-se que até o momento o medicamento pleiteado **Eteplirsen** (Exondys[®] 51) 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 Autor¹.

6. Cumpre informar que não existe Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas, emitido pelo Ministério da Saúde⁵, que verse sobre a **distrofia muscular de Duchenne** – quadro clínico que acomete o Autor e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias. Acrescenta-se que a distrofia muscular de Duchenne não tem cura e o seu tratamento se baseia na terapia sintomática¹.

7. Elucida-se ainda que, no momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município de Petrópolis e do Estado do Rio de Janeiro, não constam alternativas terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento pleiteado **Eteplirsen** (Exondys[®] 51).

8. Salienta-se que o órgão sanitário norte-americano *Food and Drug Administration* – FDA² aprovou indicação do Eteplirsen (Exondys[®] 51) para tratamento da distrofia muscular de Duchenne por meio de aprovação acelerada com base no aumento na distrofina em músculos esqueléticos observada em alguns pacientes tratados com Eteplirsen (Exondys[®] 51). O benefício clínico não foi estabelecido. A aprovação continuada para essa indicação pode estar condicionada à verificação de benefício clínico em ensaios confirmatórios².

9. Em caráter informativo cumpre destacar que foi acostado ao Processo relato de que a empresa Sarepta Farmacêutica Brasil Ltda no dia 24 de maio de 2019 protocolou dossiê de registro do medicamento **eteplirsen** perante a Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA (Evento1_COMP22_pág. 1). Contudo, atualmente o medicamento eteplirsen ainda não possui registro na ANVISA.

10. Com relação ao questionamento relativo à qualificação do Autor para terapia com o medicamento solicitado reitera-se que, tendo em vista o relato médico de que o Autor apresenta **distrofia muscular de Duchenne** (Evento1_EXMMED11_pág. 1; Evento1_EXMMED12_pág. 1; Evento1_EXMMED13_pág. 1), de acordo com bula do

⁴ 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: 07 nov. 2019.

⁵ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/>>. Acesso em: 07 nov. 2019.

⁶ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 07 nov. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

órgão sanitário norte-americano *Food and Drug Administration* -- FDA² é prevista a utilização do *etepirsen* em seu tratamento.


11. Considerando que o Autor é portador de doença rara, verificou-se através do Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde (CNES), que algumas unidades estão cadastradas para o Serviço de Atenção a Pessoas com Doenças Raras (ANEXO I)⁷.

É o parecer.

À 2ª Vara Federal de Petrópolis, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro,
para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

MONÁRIA CURTY NASSER
ZAMBONI
Nutricionista
CRN4: 01100421

JULIANA PEREIRA DE CASTRO
Farmacêutica
CRF- RJ 22.383


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

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

⁷ Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde – CNES, Serviço Especializado; Atenção a Pessoas com Doenças Raras - Classificação; Referência Em Doenças Raras. Disponível em:
<http://cnes2.datasus.gov.br/Mod_Ind_Especialidades_Listar.asp?VTipo=168&VListar=1&VEstado=33&VMun=330455&VComp=00&VTerc=00&VServico=168&VClassificacao=00&VAmbu=&VAmbuSUS=1&VHosp=&VHospSus=1>. Acesso em: 11 nov. 2019.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

ANEXO I

← → ↻ ↗ (Ⓢ) Não seguro | cnes2.datasus.gov.br/Mod_Ind_Especialidades_Listar.asp?VTipo=168&VListar=1&VEst

Ministério da Saúde

CNESNet
Secretaria de Atenção à Saúde

DATASUS

Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde

Home | Institucional | Serviços | Relatórios | Consultas

Indicadores - Serviços Especializados

Estado: RIO DE JANEIRO
Município: RIO DE JANEIRO
Tipo de Serviço:
Serviço Especializado: ATENCAO A PESSOAS COM DOENCAS RARAS
Classificação:

Atendimento

Ambulatorial Hospitalar

SUS Não SUS SUS Não SUS

Existem 3 registros na tabela - Mostrando página 1 de 1

CNES	Estabelecimento	CNPJ	CNPJ Mantenedora
2280167	HOSPITAL UNIVERSITARIO CLEMENTINO FRAGA FILHO	33663683005347	33663683000116
2295413	HOSPITAL UNIVERSITARIO GAFFREE E GUINLE	34023077000280	34023077000107
2709353	IFF FIOCRUZ	33781055000216	33781055000125