



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0212/2020

Rio de Janeiro, 27 de março de 2020.

Processo nº 5011072-26.2020.4.02.5101

ajuizado por [REDACTED]

neste ato representado por [REDACTED]

[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 **Atalureno** (Translarna™).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira (Evento 1_LAUDOS, págs. 1 e 2), (Evento 1_LAUDO9, págs. 1 a 4) e (Evento 1_LAUDO10, págs. 1 e 2), emitidos em 08 de agosto, 28 de setembro e 28 de novembro de 2019, pelas médicas [REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED] Autor, 05 anos, em acompanhamento no ambulatório de doenças neuromusculares do referido hospital, é portador **distrofia muscular de Duchenne (DMD)**. Conforme exame genético foi identificado a mutação de stop códon no gene da distrofina (mutação nonsense), realizado pelo método MLPA. O Autor ainda é bastante jovem, clinicamente está muito bem, com comprometimento motor discreto. Dessa forma, está indicado sem interrupção, a terapia com **Atalureno** (Translarna™), a ser iniciado de imediato, de forma contínua e por tempo indeterminado. O referido hospital não disponibiliza a oferta deste medicamento ao Autor. Com o tratamento a doença progredirá mais lentamente, ou seja, terá uma evolução bem menos avassaladora, sendo esperado um prolongamento do seu tempo de vida e a promoção de mais qualidade para a vida deste paciente e seus familiares. O acompanhamento da resposta terapêutica será realizado nesse hospital, levará em consideração uma melhora nos parâmetros e com frequência de 3 em 3 meses de consultas. Foi relatado ainda que, que o serviço está realizando medidas recomendadas pelo último protocolo brasileiro para tratamento e seguimento da DMD, em uso de Deflazacort e Suplementação de Cálcio e Vitamina D. Foi recomendado também imunização especial anual de anti-Influenza e anti-Pneumo-23, para prevenção de doenças respiratórias. Foram mencionadas as Classificações Internacionais de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia Muscular** e **G71.1 – Transtornos miotônicos**, e prescrito, o medicamento:



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- **Atalureno** (Translarna™) - tomar 01 sachê de 250mg de manhã e no meio do dia e 02 sachês de 250mg e 01 sachê de 125mg à noite. Deve ser administrado por via oral. O sachê deve ser misturado a pelo menos 30mL de líquido (água, leite ou sumo de fruta), ou 03 colheres de sopa de alimentos semissólidos (iogurte ou compota de maçã). A quantidade do alimento líquido ou semissólido pode ser aumentada com base na preferência do doente. Os sachês só devem ser abertos no momento da preparação da dose. A dose preparada deve ser bem misturada antes da administração e os doentes devem tomar a dose inteira.

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 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.
3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.
5. 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).
6. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento 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.
7. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
8. 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



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 **distrofias musculares** progressivas formam um grupo de doenças humanas caracterizadas por degeneração progressiva e irreversível da musculatura esquelética. O termo **distrofia muscular** se refere a um grupo de doenças genéticas degenerativas que afetam progressivamente a musculatura esquelética, sem qualquer anormalidade do neurônio motor¹. A **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma forma rapidamente progressiva de distrofia muscular. É causada por uma alteração (mutação) em um gene, chamado gene de DMD, responsável por codificar a proteína muscular distrofina, que pode ser herdado nas famílias de forma recessiva, ligada ao X, e ocorre frequentemente nas pessoas sem uma história familiar conhecida. Indivíduos que têm DMD têm perda progressiva da função muscular e fraqueza, por não produzirem a distrofina em seus músculos².

DO PLEITO

1. O **Atalureno (Translarna™)** permite a produção de distrofina e ajuda os músculos a trabalhar adequadamente. Está 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 masculino³.

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente, cumpre informar que o medicamento pleiteado **Atalureno (Translarna™)** possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

2. Informa-se que o medicamento **Atalureno (Translarna™)** possui indicação em bula para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor – distrofia muscular de

¹MORAES, F.M., et al. Distrofia Muscular de Duchenne: relato de caso. Revista Científica da FMC. Vol. 6, nº2, 2011. Disponível em: <<http://www.fmc.br/revista/V6N2P11-16.pdf>>. Acesso em: 27 mar. 2020.

²CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Síntese de Evidências – Ataluren para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, 2017. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Síntese_Evidencias/2017/SE_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf>. Acesso em: 27 mar. 2020.

³Bula do medicamento Atalureno (Translarna™) por PTC Farmaceutica do Brasil Ltda. Disponível em: <http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/frn/VisualizarBula.asp>. Acesso em: 27 mar 2020.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Duchenne, conforme consta em documentos médicos (Evento 1_LAUDOS, págs. 1 e 2), (Evento 1_LAUDO9, págs. 1 a 3) e (Evento 1_LAUDO10, págs. 1 e 2). No entanto 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.

3. Acrescenta-se que ainda não existe Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas, emitido pelo Ministério da Saúde⁴, que verse sobre distrofia muscular de Duchenne – quadro clínico que acomete o Autor e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

4. O medicamento pleiteado Atalureno (Translarna™) não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC para o tratamento de distrofia muscular de Duchenne, quadro clínico apresentado pelo Autor⁵.

5. Destaca-se ainda que a distrofia muscular de Duchenne não tem cura e o seu tratamento se baseia na terapia sintomática, como a utilização dos corticosteroides no retardo da perda da função e da força muscular, a principal consequência desta doença. O Atalureno é recomendado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne em pessoas com idade igual ou superior a cinco anos, que conservam a capacidade da marcha. Não há nenhuma cura conhecida para a DMD. O tratamento visa controlar os sintomas para melhorar a qualidade de vida do indivíduo. Desta forma, o paciente e a família devem se engajar ativamente com o profissional médico que coordena os cuidados clínicos. Dependendo das circunstâncias, há a necessidade da participação de outros especialistas no tratamento, como neurologista ou neurologista pediátrico, especialista em reabilitação, neurogeneticista, pediatra ortopedista, pediatra e médicos da atenção primária. A entrada de diferentes especialistas e a ênfase das intervenções mudarão à medida que a doença progride. O acompanhamento e o tratamento da DMD requerem uma abordagem multidisciplinar, que incida sobre medidas preventivas e intervenções ativas para abordar todos os aspectos da doença. A implementação de estratégias de cuidados abrangentes pode alterar favoravelmente o curso natural da doença e melhorar a função, a qualidade de vida e a longevidade do paciente².

6. 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

⁴Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes#D>>. Acesso em: 27 mar. 2020.

⁵Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao#A>>. Acesso em: 27 mar. 2020.

⁶BRASIL, 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: 27 mar. 2020.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.

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

8. Por fim, elucida-se que, no momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro, não constam alternativas terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento Atalureno (TranslarnaTM).

9. No Brasil, considerando as regras atualmente vigentes, antes que um medicamento possa ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), que é divulgado no site da ANVISA e pode ser consultado no mesmo. A metodologia de precificação adotada pela CMED busca garantir que os preços máximos de entrada de medicamentos novos no país não sejam superiores ao menor preço encontrado numa cesta de nove países e que também não acarretem custo de tratamento mais alto, em comparação às alternativas terapêuticas já existentes para a mesma enfermidade, a não ser que seja comprovada sua superioridade em comparação a elas⁸.

10. O **Preço Fábrica** é o preço máximo de venda que deve ser praticado pelas empresas produtoras, importadoras ou distribuidoras de medicamentos para as farmácias, drogarias, hospitais, clínicas e para os governos. O Decreto Nº 4.766, de 26 de junho de 2003 e Lei nº 10.742, de 6 de outubro de 2003 - Regulamentam a criação, as competências e o funcionamento da Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED. A Resolução nº 1, de 26 de março de 2019 - Dispõe sobre a forma de definição do Preço Fabricante (PF) e do Preço Máximo ao Consumidor (PMC) dos medicamentos em 31 de março de 2019, estabelece a forma de apresentação do Relatório de Comercialização à Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos - CMED, disciplina a publicidade dos preços dos produtos farmacêuticos e define as margens de comercialização para esses produtos.

⁷CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. 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_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 27 mar. 2020.

⁸BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<http://portal.anvisa.gov.br/emed/apresentacao>>. Acesso em: 27 mar. 2020.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

11. Insta esclarecer que até a atual data, o medicamento **Atalureno** (TranslarnaTM) não foi localizado na CMED, assim não será possível informar o Preço Fábrica de tal tabela.

É o parecer.

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

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS
Farmacêutica
CRF-RJ 14680

ALINE PEREIRA DA SILVA
Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

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

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