



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0646/2021**

Rio de Janeiro, 13 de julho de 2021.

Processo nº 5072034-78.2021.4.02.5101,  
ajuizado por [REDACTED]  
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 **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>)**.

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos médicos (Evento 1\_LAUDO11\_Página 1 a 9) e (Evento 1\_RECEIT12\_Página 1), emitidos em impresso próprio pela médica [REDACTED] em 29 de maio de 2021, o Autor apresenta **distrofia muscular tipo Duchenne** causada por mutação do gene da distrofina. É portador da **deleção do exon 46-51**, portanto elegível para o exon skipping do 45.

2. Clinicamente, o Autor está bem, porém tem restrição respiratória, com necessidade de ventilação não invasiva noturna, em investigação para miocardiopatia. Usa cadeira de rodas, tem restrição à mobilidade também de membros superiores. Por este motivo, a médica assistente solicita que o medicamento **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>)** deva imediatamente ser oferecido visto que o Autor luta contra o tempo e a cada momento novas deformidades e novos problemas clínicos são adicionados. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia Muscular**, e prescrito, o medicamento:

- **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>) (1.800mg)** – diluir 36 mL de 18 frascos-ampola de **100mg/2mL** em 150 mL de soro fisiológico. Inverter a solução 2 a 3 vezes, sem chacoalhar e administrar lentamente em 1 hora 1 vez por semana por tempo indeterminado. Serão usados 18 frascos ampola de **100mg/2mL** semanalmente.

**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.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 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 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.
6. 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.
7. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, na forma do Anexo XXXVIII.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. As **distrofias musculares** são um grupo de distúrbios caracterizados por fraqueza e atrofia muscular de origem genética que ocorre pela ausência ou formação inadequada de proteínas essenciais para o funcionamento da fisiologia da célula muscular, cuja característica principal é o enfraquecimento progressivo da musculatura esquelética, prejudicando os movimentos<sup>1</sup>. A **Distrofia Muscular de Duchenne** é uma doença genética hereditária rara, onde o defeito está no cromossoma X, por isto só afeta o sexo masculino. Defeito encontra-se na falta da produção da proteína Distrofina. Existem várias mutações e deleções que podem causar a Síndrome. O diagnóstico da Distrofia Muscular de Duchenne é inicialmente clínico, os sintomas iniciam com 2 ou 3 anos de idade com fraqueza muscular ascendente e progressiva. A lesão da musculatura cardíaca leva a fibrose e miocardiopatia. Existem testes genéticos que identificam as mutações relacionadas a Doença<sup>2</sup>.

<sup>1</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca virtual em saúde. Distrofia Muscular. Disponível em: <<http://bvsmis.saude.gov.br/dicas-em-saude/2194-distrofia-muscular>>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>2</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Nota Técnica Nº 28/2018. Atrofia Muscular de Duchenne. Medicamento Atalurenol – Translarna. Disponível em:



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

2. 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 músculos<sup>3</sup>.

### DO PLEITO

1. O **Casimersen (Amondys 45<sup>TM</sup>)** é projetado para se ligar ao exon 45 do pré-mRNA da distrofina, resultando na exclusão deste exon durante o processamento de mRNA em pacientes com mutações genéticas que são passíveis de exon 45. Está indicado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD) em pacientes que têm uma mutação confirmada do gene DMD que é passível de salto do exon 45<sup>4</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Em síntese, segundo os documentos médicos acostados aos autos (Evento 1\_LAUDO11\_Página 1 a 9) e (Evento 1\_RECEIT12\_Página 1), trata-se de Autor com **distrofia muscular tipo Duchenne** causada por mutação do gene da distrofina. É portador da deleção do exon 46-51, portanto elegível para o exon skipping do 45. Apresenta solicitação médica para uso do medicamento **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>)**.

2. Destaca-se que o pleito **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>)**, atualmente não possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme análise no seu banco de dados referente a registro de produtos<sup>5</sup>. Tal medicamento apresenta registro internacional na *Food and Drug Administration (FDA)*<sup>4</sup>. Deste modo, configura-se **medicamento importado**.

3. Quanto à indicação do pleito **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>)**, de acordo com o registro<sup>4</sup> na agência internacional *Food and Drug Administration (FDA)*, o medicamento **foi indicado** para o manejo da **distrofia muscular de Duchenne**, quadro clínico do Autor (Evento 1\_LAUDO11\_Página 1 a 9). Contudo, por se tratar de medicamento sem registro no órgão regulador nacional, tal pleito não apresenta bula aprovada na ANVISA indicando seu uso no Brasil, para o tratamento da doença que acomete ao Autor.

<[https://sei.saude.gov.br/sei/documento\\_consulta\\_externa.php?id\\_acesso\\_externo=26156&id\\_documento=3454757&infra\\_hash=9181e9ce2ef239904319446ed8f8bd5e](https://sei.saude.gov.br/sei/documento_consulta_externa.php?id_acesso_externo=26156&id_documento=3454757&infra_hash=9181e9ce2ef239904319446ed8f8bd5e)>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>3</sup> CONITEC. 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\\_Evidências/2017/SI\\_037\\_Ataluren\\_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf](http://conitec.gov.br/images/Síntese_Evidências/2017/SI_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf)>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>4</sup> Bula do medicamento Casimersen (Amondys 45<sup>TM</sup>) por Sarepta Therapeutics, Inc. Disponível em:

<[https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2021/213026lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2021/213026lbl.pdf)>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>5</sup> ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Consulta de produtos – Medicamentos. Disponível em:

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/?substancia=26499&monodroga=S>>. Acesso em: 12 jul. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

4. Cabe esclarecer que o registro de medicamentos é um dos meios estabelecidos pela Política Nacional de Medicamentos pelo qual a autoridade sanitária avalia a relevância terapêutica do medicamento, analisa sua segurança e qualidade. Medicamentos ainda sem registro não possuem diretrizes nacionais que orientem seu uso<sup>6</sup>.
5. Ressalta-se que o medicamento pleiteado teve seu registro aprovado pelo FDA em 2021, utilizando-se de um processo de aprovação acelerada com base em um aumento na produção de distrofina no músculo esquelético observada em pacientes tratados com **Casimersen**. A aprovação contínua para esta indicação pode depender da verificação de um benefício clínico em ensaios confirmatórios<sup>4</sup>.
6. No que tange a disponibilidade do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, insta informar que **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>) não integra** nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Seropédica e do Estado do Rio de Janeiro.
7. Considerando que o pleito **Casimersen 100mg/2mL (Amondys 45<sup>TM</sup>)** trata-se de medicamento importado, informa-se que a importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, é autorizada por meio da RDC nº 208, de 05 de janeiro de 2018<sup>7</sup>. 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.
8. Acrescenta-se ainda que **distrofia muscular de Duchenne** é uma doença genética hereditária **rara**. Nesse sentido, o Ministério da Saúde 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 SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras<sup>8</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.
9. 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

<sup>6</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Política Nacional de Medicamentos. 2001. Disponível em:

<[http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica\\_medicamentos.pdf](http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf)>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>7</sup> BRASIL. Imprensa Nacional. Diário Oficial da União. Resolução RDC Nº 208, de 05 janeiro de 2018. Disponível em: <[https://www.in.gov.br/materia/-/asset\\_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/do1-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075](https://www.in.gov.br/materia/-/asset_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/do1-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075)>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>8</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<[http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 12 jul. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

cuidado das pessoas com doenças raras. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênicas<sup>9</sup>.

10. No entanto, este Núcleo não identificou PCDT<sup>10</sup> publicado, em elaboração<sup>11</sup> ou em atualização para distrofia muscular de Duchenne – quadro clínico apresentado pelo Autor e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

11. Elucida-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<sup>3</sup>. No SUS, atualmente, para a distrofia muscular de Duchenne o tratamento padrão consiste no uso de glicocorticóides para melhora da função motora, pulmonar e redução do risco de escoliose. Também são importantes as medidas de suporte como fisioterapia para prevenção e tratamento das complicações. Destacam-se para a prevenção das complicações ortopédicas, além dos glicocorticóides, suplementação de vitamina D, bifosfonados, fisioterapia motora, órteses e cirurgias ortopédicas visando estabilizar e alongar tendões. Para prevenir e tratar as complicações pulmonares, estão indicadas as vacinas anti-influenza, anti-pneumocócica, o uso de máscaras de pressão positiva (CPAP) intermitente, e ventilação mecânica e traqueostomia para os quadros clínicos mais avançados. Para tratar as complicações cardíacas estão indicados os inibidores de enzima conversora da angiotensina, antiarrítmicos e betabloqueadores. Os procedimentos cirúrgicos sob anestesia merecem cuidados especiais nos doentes com DMD, pois que têm alto risco de graves complicações anestésicas como a hipertermia maligna<sup>2</sup>.

12. No que concerne ao valor do pleito **Casimersen 100mg/2mL** (Amondys 45<sup>TM</sup>), no Brasil para um medicamento 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)<sup>12</sup>.

13. De acordo com publicação da CMED<sup>13</sup>, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo**

<sup>9</sup> CONITEC. 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\\_DoenasRaras\\_CP\\_FINAL\\_142\\_2015.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf)>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>10</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>11</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde: Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/ped-tem-elaboracao>>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>12</sup> BRASIL. 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/cmed/apresentacao>>. Acesso em: 12 jul. 2021.

<sup>13</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Preços máximos de medicamentos por princípio ativo, para compras públicas. Preço fábrica (PF) e preço máximo de venda ao governo (PMVG). Disponível em: <[https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/compras-publicas/lista-de-precos-maximos-para-compras-publicas/arquivos/lista\\_conformidade\\_gov\\_2019-12-10\\_v3.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/compras-publicas/lista-de-precos-maximos-para-compras-publicas/arquivos/lista_conformidade_gov_2019-12-10_v3.pdf)>. Acesso em: 12 jul. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

(PMVG) é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

14. Apesar do exposto acima, considerando que o pleito **Casimersen 100mg/2mL** (Amondys 45<sup>TM</sup>), não possui registro na ANVISA, assim não tem preço estabelecido pela CMED<sup>14</sup>.

**É o parecer.**

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

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

**GABRIELA CARRARA**  
Farmacêutica  
CRF- RJ 21.047  
ID. 5083037-6

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

<sup>14</sup>BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: < [https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmcd/precos/anos-anteriores/arquivos/lista\\_conformidade\\_2021\\_06\\_v1.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmcd/precos/anos-anteriores/arquivos/lista_conformidade_2021_06_v1.pdf) >. Acesso em: 22 jun. 2021.