



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1035/2021

Rio de Janeiro, 18 de outubro de 2021.

Processo nº 5078817-86.2021.4.02.5101,
ajuizado por [REDACTED]
neste ato, representado por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **23ª Vara Federal** da Seção Judiciária do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Atalureno 250mg** (Translarna™).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com laudo e receituário médicos do Hospital Itaipu (Evento 1_LAUDO9_Página 01 e Evento 1_RECEIT10_Página 01) emitidos em 24 de fevereiro de 2021 por [REDACTED] o Autor apresenta diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne**, causada por uma mutação nonsense em chrX: 32.305.650 G>A. Iniciou seu acompanhamento em 04/09/2019, tendo diagnóstico fechado aos 02 anos e 09 meses. Apresentava quedas frequentes e imensa dificuldade em subir degraus, sinal de *Gowers* quase completo e importante hipotonia de tronco. Iniciado o tratamento com o medicamento Deflazacorte, apresentou melhora funcional, com marcha mais segura, diminuição da hipotonia axial, subindo degraus com menos dificuldade, conseguindo levantar-se com pouca dificuldade, *Gowers* mais discreto, sem apresentar quedas. O Deflazacorte, junto com fisioterapia motora e respiratória, foi a principal forma de alentecer a progressão da doença, até o surgimento do medicamento **Atalureno 250mg** (Translarna™), indicado nesse caso, no seguinte esquema terapêutico: **01 sachê de 8/8horas** (Peso: **18,3Kg**). Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular**.

2. Acostado no Evento 1_EXMMED11_Páginas 1/3, encontra-se exame laboratorial em impresso do Mendelics Análise Genômica, com resultado liberado em 29 de janeiro de 2020 evidenciando resultado compatível com distrofinopatia. A análise do gene DMD revelou mutação do tipo “nonsense”.

3. Em Evento 12_DECL2_Página 1 e Evento 12_RECEIT3_Página 01 encontram-se laudo e receituário médicos da Secretaria Municipal de Saúde de Mangaratiba, emitidos em 21 de julho de 2021 pelo neurologista [REDACTED] informando que o Autor apresenta diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne em tratamento crônico. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71 – Transtornos primários dos músculos**. Foi prescrito ao Autor: **Atalureno 250mg** (Translarna™) na posologia de **01 sachê de 12/12horas**.

**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. O Decreto nº 4.142, de 18 de dezembro de 2019, dispõe sobre a Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (REMUME) no âmbito das unidades integrantes do Sistema Único de Saúde sob gestão da Prefeitura Municipal de Mangaratiba.
9. 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 desordens caracterizadas 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 movimentos¹. 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 doença².
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**,

¹ 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: 18 out. 2021.

² BRASIL. Ministério da Saúde. Nota Técnica Nº 28/2018. Atrofia Muscular de Duchenne. Medicamento Atalurenó – Translarna. Disponível em: <https://sei.saude.gov.br/sei/documento_consulta_externa.php?id_acesso_externo=26156&id_documento=3454757&infra_hash=9181c9ce2ef239904319446ed8f8bd5e>. Acesso em: 18 out. 2021.



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 com **DMD** têm perda progressiva da função muscular e fraqueza, por não produzirem a distrofina em seus músculos³.

DO PLEITO

1. **Atalureno** (TranslarnaTM) 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 genéticos⁴.

III – CONCLUSÃO

1. Em resumo, trata-se de Autor, 04 anos e 07 meses (Evento 1_CERTNASC4_Página 1), com diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne causada por uma mutação sem sentido (*nonsense*), apresentando solicitação médica para tratamento com Atalureno 250mg (TranslarnaTM).

2. Inicialmente, salienta-se que foram acostados aos autos, receituários médicos (Evento 1_RECEIT10_Página 01 e Evento 12_RECEIT3_Página 01) indicando ao Autor o medicamento **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) com posologias distintas - **01 sachê de 08/08horas** e **01 sachê de 12/12horas, respectivamente**. Cumpre informar que na **distrofia muscular de Duchenne**, o **Atalureno** deve ser administrado por via oral, todos os dias, em 3 doses. Para o peso corporal do Autor – **18,3Kg** (Evento 1_LAUDO9_Página 01), a dose recomendada corresponde a **01 sachê de 250mg de 08/08horas**⁴.

3. Informa-se que o medicamento **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) apresenta indicação em bula para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne resultante de uma mutação sem sentido (*nonsense*) no gene da distrofina (DMDmn) em pacientes deambulatórios, entretanto não contempla ainda a idade apresentada pelo Autor – 04 anos e 07 meses⁴. Dessa forma, recomenda-se que sejam apresentadas as informações pelo médico assistente que visam assegurar a segurança no tratamento prescrito, fora dos critérios definidos na bula aprovada pela ANVISA.

4. No que tange à disponibilização do medicamento no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, destaca-se que o **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação, no âmbito do Município de Mangaratiba e do Estado do Rio de Janeiro.

5. Elucida-se que o medicamento pleiteado, até o presente momento, não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, para o tratamento de distrofia muscular de Duchenne⁵, bem como não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas

³ 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/Sintese_Evidencias/2017/SE_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf>. Acesso em: 18 out. 2021.

⁴ Bula do medicamento Atalureno (TranslarnaTM) por PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em:

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351717381201767/?nomeProduto=translarna>>. Acesso em: 18 out. 2021.

⁵ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 18 out. 2021.



(PCDT)⁶ - publicado ou em elaboração⁷ para distrofia muscular de Duchenne. Portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possam ser implementados nestas circunstâncias.

6. Segundo a **síntese de evidências** publicada pela CONITEC, dentre os possíveis medicamentos disponibilizados pelo SUS para o tratamento sintomático das manifestações da **DMD**, encontram-se os **corticosteroides**, com a finalidade de retardar a progressão da perda de força e função da musculatura esquelética; os **inibidores da enzima de conversão da angiotensina**, os **betabloqueadores**, os **diuréticos** e os **anticoagulantes**, para auxiliar na função cardiovascular, e o **inibidores de bomba de prótons** (Omeprazol), para os pacientes com refluxo gastroesofágico, por meio do Componente Básico da Assistência Farmacêutica. Além disso, existem procedimentos compatíveis com o tratamento dessa condição, bem como órteses, próteses e materiais especiais, disponibilizados pelo SUS³.

7. Acrescenta-se que a **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**⁸ 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.

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 com doenças raras. Na **Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta** dentre as anomalias congênicas⁹.

9. No que concerne ao valor do **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) 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)**¹⁰.

10. De acordo com publicação da CMED¹¹, 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 (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemprar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

⁶ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 18 out. 2021.

⁷ 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/pcdt-em-elaboracao>>. Acesso em: 18 out. 2021.

⁸ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 18 out. 2021.

⁹ 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>. Acesso em: 18 out. 2021.

¹⁰ 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/cmmed/apresentacao>>. Acesso em: 18 out. 2021.

¹¹ 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: <http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA_CONFORTIDADE_GOV_2020_05_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205>. Acesso em: 18 out. 2021.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

11. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o medicamento **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) – 30 envelopes possui o seguinte menor preço de fábrica (PF): R\$ 42.362,88 e o menor preço de venda ao governo (PMVG): R\$ 33.242,15, consultados para o ICMS 20%¹².

É o parecer.

À 23ª Vara Federal 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

LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO

Farmacêutico

CRF-RJ 15023

ID.5003221-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

¹²BRASIL 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/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2021_10_v1.pdf>. Acesso em: 18 out. 2021.