



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0118/2022

Rio de Janeiro, 14 de fevereiro de 2022.

Processo nº 5000226-31.2022.4.02.5116,  
ajuizado por [REDACTED]  
neste ato representado por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 1ª Vara Federal de Macaé, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Burosumabe**.

### I – RELATÓRIO

1. De acordo com os documentos médicos do Hospital Universitário Pedro Ernesto (Evento 1\_LAUDO9\_Página 1 e Evento 1\_RECEIT11\_Página 1), emitidos em 05 de novembro de 2021, pela médica [REDACTED] o Autor tem **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X-dominante**, diagnosticado em novembro de 2015. Apresenta baixa estatura grave, craniossinostose, deformidade em membros inferiores, pulsos alargados, dores ósseas, fraqueza muscular, alterações radioiógicas compatíveis com raquitismo e hipofosfatemia, aumento da fosfatase alcalina e diminuição da taxa de reabsorção de fosfato renal. Foi mencionado que o Autor já necessitou de três cirurgias ortopédicas para correção de deformidades de membros inferiores. Assim, para tratamento do quadro relatado, foi prescrito o medicamento **Burosumabe 30mg/mL** com administração por via subcutânea, de 15/15 dias, na dose de 17,8mg ou 0,6mL (0,8mg/kg), com maior brevidade possível. Peso do Autor: 22,25kg. Foram mencionadas as seguintes Classificações Internacionais de Doenças (CID-10): **E83.3 – Distúrbios do metabolismo do fósforo** e **E55.0 – Raquitismo ativo**.

2. Em Evento 1\_EXMMED10\_Página 1 encontra-se **genotipagem de variante do gene PHEX em impresso do laboratório Mendelics Análise Genômica, liberado em 22 de dezembro de 2021, evidenciando presença, em hemizigose, da variante p.Leu187Phefs\*34 no gene PHEX.**

### 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.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**  
Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. No tocante ao Município de Macaé, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME – Macaé 2017.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. A hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (HLX) é considerada uma doença ultrarara, cronicamente debilitante e deformante. No Brasil, a definição de doença rara estabelece que seja uma patologia que afeta até 65 indivíduos em cada 100.000 habitantes. De acordo com o *website* de referência em doenças raras e medicamentos órfãos Orphanet, a HLX apresenta uma prevalência mundial de 1 – 9 casos para cada 1 milhão de habitantes. Isso equivale a 0,1 – 0,9 casos para cada 100.000 habitantes no mundo. É uma doença causada por mutações no gene regulador do fosfato com homologia às endopeptidases do cromossomo X (PHEX), que leva a perda de função do mesmo, gerando erros na detecção de fosfato e aumento dos níveis de fator de crescimento de fibroblastos 23 (FGF23). Os maiores achados clínicos na XLH são hipofosfatemia, retardo no crescimento, raquitismo e/ou osteomalácia. Anormalidades esqueléticas são sinais precoces de HLX. Fraturas, perdas auditivas, problemas dentários e osteomalácia podem aparecer além da perda de qualidade de vida associada. O tratamento convencional é realizado com administração de fosfato e vitamina D. Esta não é uma terapia com alvo no mecanismo fisiopatológico da doença, resumindo-se à tentativa de minorar a hipofosfatemia e o excesso de hormônio da paratireoide. A reposição oral de fosfato e vitamina D são insuficientes para atender aos objetivos do tratamento, não logrando alterar a densidade mineral óssea da coluna e quadril em adultos e estão associados a efeitos adversos importantes. Considera-se a possibilidade de inibição da atividade do FGF23 como uma medida terapêutica única para doenças hipofosfatêmicas causadas pelo excesso de FGF23<sup>1</sup>.

<sup>1</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde. Portaria Conjunta Nº 02, de 11 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Raquitismo e Osteomalácia. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201\\_PORTAL\\_Portaria\\_Conjunta\\_2\\_PCDT\\_Raquitismo\\_e\\_Osteomalacia.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_2_PCDT_Raquitismo_e_Osteomalacia.pdf)>. Acesso em: 14 fev. 2022.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

2. O raquitismo é definido como a deficiência de mineralização na placa epifisária (ou placa de crescimento) na criança e geralmente se manifesta como deformidade óssea, dor óssea e velocidade de crescimento comprometido. Existem vários subtipos de raquitismo, dentre eles: o dependente de vitamina D (defeitos do metabolismo da vitamina D), o nutricional (causado pela deficiência nutricional de vitamina D e/ou cálcio e/ou fosfato) e o raquitismo hipofosfatêmico ligado ao cromossomo X (tipo de raquitismo resistente ao tratamento com vitamina D, secundário à perda renal de fosfato) chamado também de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X<sup>1</sup>.
3. O tratamento da HLX busca promover o crescimento, melhorar os sinais radiológicos e histológicos de raquitismo e osteomalácia, reduzir as dores em ossos ou articulações e prevenir (ou pelo menos reduzir) as deformidades esqueléticas. Na ausência de um tratamento específico para a doença, o tratamento convencional, realizado com administração de metabólitos orais de fosfato e vitamina D, tem por objetivo reduzir as deformidades e melhorar o ritmo de crescimento dos pacientes acometidos pela doença<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. O Burosumabe está indicado para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X; sigla em inglês XLH, *X-linked hypophosphatemia*) em pacientes adultos e pediátricos a partir de 1 ano de idade<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. O Autor, cursa com raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X-dominante, com solicitação médica para tratamento com Burosumabe.
2. Isto posto, informa-se que o medicamento Burosumabe apresenta indicação em bula<sup>2</sup> para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X – quadro do Autor.
3. Quanto à disponibilização no SUS, elucida-se que o pleito Burosumabe, foi incorporado pelo Sistema Único de Saúde – SUS para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) de Raquitismo e Osteomalácia<sup>1</sup>, e, conforme disposto na Portaria SCTIE/MS Nº 1, de 19 de fevereiro de 2021<sup>3</sup>.
4. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011<sup>4</sup>, há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS. Após consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP, na competência de 02/2022, constatou-se que o Burosumabe ainda não integra nenhuma lista oficial de medicamentos do Componentes Básico, Estratégico e Especializado, para dispensação no SUS.
5. Destaca-se que hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (HLX) é considerada uma doença 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

<sup>2</sup> Bula do medicamento Burosumabe (Crysvita<sup>®</sup>) por Ultragenyx Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em:

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=139640002>>. Acesso em: 14 fev. 2022.

<sup>3</sup> DOU – Diário Oficial da União. Portaria SCTIE/MS Nº 1, de 19 de fevereiro de 2021

Torna pública a decisão de incorporar o Burosumabe para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) e não incorporar o Burosumabe para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/portaria-sctie/ms-n-1-de-19-de-fevereiro-de-2021-304454700>>. Acesso em: 14 fev. 2022.

<sup>4</sup> BRASIL Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no sistema único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde – SUS, e dá outras providências. Disponível em: <[http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_Ato2011-2014/2011/DDecreto/D7646.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/DDecreto/D7646.htm)>. Acesso em: 14 fev. 2022.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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>5</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.

6. 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 Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras.

7. Para a doença em questão foi publicada uma atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Raquitismo e Osteomalácia<sup>1</sup>, incluindo o medicamento **Burosumabe** no tratamento<sup>2</sup> da **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X**. Ainda conforme o PCDT, **o paciente elegível ao tratamento com Burosumabe, deve abarcar o diagnóstico genético de HLX e ter entre um ano e 17 anos de idade**<sup>1</sup> – descrição compatível com o quadro apresentado pelo Autor.

8. Quanto ao preço dos medicamentos, 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)<sup>6</sup>.

9. De acordo com publicação da CMED<sup>7</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 (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.

10. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de preços CMED o Burosumabe 30mg/mL, possui PF a R\$ 61.655,23 e o PMVG R\$ 48.380,86, no ICMS 20%<sup>8</sup>.

**É o parecer.**

**À 1ª Vara Federal de Macaé, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

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

FERNANDO ANTÔNIO DE A. GASPAR  
Médico  
CRM-RJ 52.52996-3  
ID. 3.047.165-6

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

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

<sup>5</sup>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](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 20 dez. 2021.

<sup>6</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: 14 fev. 2022.

<sup>7</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: <[http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA\\_CONFORMIDADE\\_GOV\\_2020\\_05\\_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205](http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2020_05_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205)>. Acesso em: 14 fev. 2022.

<sup>8</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/cmed/precos/arquivos/lista\\_conformidade\\_gov\\_2022\\_02\\_v1.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2022_02_v1.pdf)>. Acesso em: 14 fev. 2022.