



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0250/2022**

Rio de Janeiro, 24 de março de 2022.

Processo nº 5018963-30.2022.4.02.5101,  
ajuizado por [REDACTED]  
[REDACTED] neste ato representada 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 **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)**.

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com documentos médicos do Instituto Fernandes Figueira (Evento 1\_RECEIT7, pág. 1) e (Evento 1\_LAUDO9, págs. 1 a 6), emitidos em 14 de março de 2022, pela médica [REDACTED], a Autora, nascida em 29/03/2015, com diagnóstico estabelecido de **fibrose cística** a partir de triagem neonatal, confirmada por manifestações clínicas, teste de suor positivo e genotipagem (F508del/F508del). É acompanhada no referido serviço desde o segundo mês de vida, com consultas regulares com a pneumologia, gastroenterologia, nutrição e fisioterapia respiratória. O seguimento vem sendo realizado segundo a colonização da via aérea, e encontra-se em fase de colonização crônica por Complexo burkholderia cepacia com tratamento específico para esta bactéria. Em termos funcionais apresenta VEF1 de 31% e CVF de 47% em 14/12/2021 e imagens tomográficas (2021) evidenciando sinais de espessamento difuso das paredes brônquicas com bronquiectasias, focos de impaction mucoide difusos, micronodulos e tênues opacidades em vidro fosco centrolobulares sugestivos de preenchimento/processo inflamatório bronquiolar.

2. Atualmente faz uso regular de fisioterapia respiratória, suplementos nutricionais e de medicamentos de uso contínuo: Sulfato de Salbutamol (Aerolin®), Salina Hipertônica a 7%, Alfa Dornase (Pulmozyme®), Azitromicina, Acetilcisteína 600mg, Salmeterol + Fluticasona (Seretide®), Tobramicina nebulizada, inibidor de bomba de prótons (Omeprazol 20mg), Pancreatina (Creon®), vitaminas do complexo ADEK. Está em uso contínuo de oxigênio desde 2020, e foi indicado uso de BIBAP em fevereiro de 2022. Foi prescrito, o medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)** - Manhã: **Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg** – 2 cápsulas laranja claro com alimentos que contenham gordura; Noite: **Ivacaftor 75mg (Trikafta®)** – 1 cápsula azul clara com alimentos que contenham gordura, intervalo das doses deve ser de pelo menos 12 horas.

**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 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.
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 **fibrose cística (FC)** é uma doença genética com acometimento multissistêmico e impacto significativo na qualidade e na expectativa de vida dos pacientes. Estima-se que existam mais de 90.000 doentes de FC no mundo, e a incidência no Brasil é variável. Cerca de 6.000 pacientes estão atualmente cadastrados no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC), base de dados proveniente da atuação de profissionais da saúde de mais de 50 centros de referência (CR) distribuídos pelo País. A fisiopatologia da FC decorre de variantes patogênicas em ambos os alelos do gene CFTR, codificador da proteína CFTR, um canal de cloreto e bicarbonato presente na superfície apical das células epiteliais do organismo e que bombeia substratos de forma ativa através das membranas. Defeitos na sua síntese ou função resultam em manifestações clínicas variáveis, incluindo insuficiência pancreática exócrina e má absorção de nutrientes, doença



pulmonar crônica progressiva, risco aumentado de desidratação e distúrbios metabólicos, com redução significativa da expectativa de vida dos pacientes. Existem mais de 2.000 mutações identificadas no gene CFTR, registradas na base de dados Cystic Fibrosis Mutation Database. Essas mutações são classificadas conforme o tipo de defeito que causam na proteína CFTR (maior ou menor expressão ou alteração de sua função nas células epiteliais). As mutações do gene CFTR são categorizadas em seis classes distintas: Classe I (produção); Classe II (processamento) - síntese de uma proteína imatura, com pouca ou nenhuma proteína na membrana apical. Nesta classe, a mutação mais frequente é a Phe508del; Classe III (regulação); Classe IV (condução); Classe V (síntese reduzida); e Classe VI (degradação acelerada)<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. O **Elexacaftor** (ELX) + **Tezacaftor** (TEZ) + **Ivacaftor** (IVA) (Trikafta<sup>®</sup>) ELX e TEZ são corretores de CFTR, e IVA é um potencializador de CFTR. O efeito combinado de elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor é o aumento da quantidade e da função do CFTR na superfície celular, resultando em aumento na atividade de CFTR medida pelo transporte de cloreto mediado por CFTR. Está indicado para o tratamento da fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais que tenham pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR)<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autora, nascida em 29/03/2015, com diagnóstico estabelecido de **fibrose cística** a partir de triagem neonatal, confirmada por manifestações clínicas, teste de suor positivo e genotipagem (F508del/F508del). Atualmente faz uso regular de fisioterapia respiratória, suplementos nutricionais e de medicamentos de uso contínuo: Sulfato de Salbutamol (Aerolin<sup>®</sup>), Salina Hipertônica a 7%, Alfa Dornase (Pulmozyme<sup>®</sup>), Azitromicina, Acetilcisteína 600mg, Salmeterol + Fluticasona (Seretide<sup>®</sup>), Tobramicina nebulizada, inibidor de bomba de prótons (Omeprazol 20mg), Pancreatina (Creon<sup>®</sup>), vitaminas do complexo ADEK. Está em uso contínuo de oxigênio desde 2020, e foi indicado uso de BIBAP em fevereiro de 2022. Foi prescrito, o medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>).

2. Diante o exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) possui registro na Agência Nacional de Vigilância de Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula<sup>2</sup> para o tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora – **fibrose cística**, conforme relato médico (Evento 1\_LAUDO9, págs. 1 a 6). No entanto, não integra nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

3. Elucida-se que o medicamento pleiteado **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) até o momento não foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de

<sup>1</sup>BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 25, de 27 de dezembro de 2021. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20211230\\_portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf)>. Acesso em: 24 mar. 2022.

<sup>2</sup>Bula do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta<sup>®</sup>) por Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRIKAFTA>>. Acesso em: 24 mar. 2022.



Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)<sup>3</sup> para o tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora – **fibrose cística**.

4. Para o tratamento da **Fibrose Cística**, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT),<sup>1</sup> aprovado através da Portaria Conjunta Nº 25, de 27 de dezembro de 2021, preconizou os seguintes fármacos: Alfadornase: ampolas de 2,5mg em 2,5mL de solução, Ivacaftor: comprimidos revestidos de 150mg, Pancreatina: cápsulas com 10.000 e 25.000UI de lipase presente na formulação, Tobramicina: ampolas de 300mg/5mL e 300mg/mL de solução para inalação.

5. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora **está cadastrada** no CEAF para recebimento dos medicamentos: Omeprazol 20mg (cápsula), Colistimetato de Sódio (Polimixina E) 1.000.000UI (injetável), Azitromicina 40mg/mL (suspensão), Sulfato de Salbutamol 100mcg (aerossol), Xinafoato de Salmeterol 25mcg + Fluticasona 125mcg (aerossol), Pancreatina 10.000UI (cápsula), Tobramicina 300mg/5mL (ampola) e Alfadornase 2,5mg (ampola), tendo efetuado a retirada dos quatro últimos medicamentos em 03 de março de 2022, no polo RioFarms.

6. Acrescenta-se ainda que a **Fibrose Cística** ou Mucoviscidose é uma doença genética rara, crônica e progressiva, caracterizada pela ocorrência de secreções espessas e viscosas que afeta diversos órgãos, principalmente: pulmões e o pâncreas<sup>4</sup>. 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>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.

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<sup>6</sup>.

8. Ademais, o Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta<sup>®</sup>) foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 02 de março de 2022. Por ser um medicamento novo e embora a pesquisa tenha mostrado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo quando corretamente indicado e usado, eventos adversos imprevisíveis e desconhecidos podem acontecer<sup>2</sup>.

9. No que concerne ao valor do pleito **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta<sup>®</sup>)**, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro

<sup>3</sup>Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 24 mar. 2022.

<sup>4</sup>GOVERNO DO ESTADO DE SÃO PAULO. Fibrose Cística - Mucoviscidose. Secretaria de Estado de Saúde. Disponível em: <<https://www.saude.sp.gov.br/ses/perfil/profissional-da-saude/homepage/outros-destaques/fibrose-cistica-mucoviscidose>>. Acesso em: 24 mar. 2022.

<sup>5</sup>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](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 24 mar. 2022.

<sup>6</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\\_DoencasRaras\\_CP\\_FINAL\\_142\\_2015.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf)>. Acesso em: 24 mar. 2022.



sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)<sup>7</sup>.

10. De acordo com publicação da CMED<sup>8</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.

11. Apesar do exposto acima, considerando que o medicamento **Elexacftor + Tezacftor + Ivacftor (Trikafta®)** recebeu registro na ANVISA em 02 de março de 2022, deste modo, ainda não tem preço na atual tabela da CMED<sup>9</sup>.

**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  
ID. 4459192-6

**MARCELA MACHADO DURAÓ**

Assistente de Coordenação  
CRF-RJ 11517  
ID. 4.216.255-6

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

<sup>7</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: 24 mar. 2022.

<sup>8</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: 24 mar. 2022.

<sup>9</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\\_2022\\_03\\_v1.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_2022_03_v1.pdf)>. Acesso em: 24 mar. 2022.