



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0287/2022

Rio de Janeiro, 06 de abril de 2022.

Processo nº 5000095-81.2022.4.02.5140,
ajuizado por [REDACTED]
[REDACTED] representado por [REDACTED]
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **3º Juízo do Núcleo da Justiça 4.0**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Atalureno** (TranslarnaTM).

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração do presente parecer técnico foram considerados os documentos médicos mais recentes acostados ao processo.

2. De acordo com formulário médico da Defensoria Pública da União/Câmara de Resolução de Litígios de Saúde – CRLS e documentos do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira (Evento 1_OUT2, págs. 8 a 12; 13 a 17), emitidos em 24 de março de 2022 e 30 de setembro de 2021, pelas médicas [REDACTED]

[REDACTED] o Autor, 09 anos, portador de **distrofia muscular de Duchenne**. Conforme exame genético foi identificado a mutação de stop códon no éxon 59 no gene da distrofina (mutação nonsense), realizado pelo método MLPA. Dessa forma, está indicado sem interrupção, a terapia com **Atalureno** (TranslarnaTM), a ser iniciado de imediato, de forma contínua e por tempo indeterminado. O referido hospital não disponibiliza a oferta deste medicamento ao Autor.

2. O Autor já utilizou Prednisona, Vitamina D, fisioterapia, uso de órteses: tais medicamentos são feitos, porém são paliativos e não atuam de forma específica no defeito genético da doença. 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. Caso não seja submetido ao tratamento indicado poderá ter como consequência perda da força em membros superiores aos \pm 15 anos, insuficiência respiratória aos 16-17 anos, insuficiência cardíaca aos 18 anos. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular**, e prescrito, em uso contínuo, o medicamento:

- **Atalureno** (TranslarnaTM): manhã - 1 sachê de 250mg; tarde - 1 sachê de 250mg; noite - 1 sachê de 125mg e 2 sachês de 250mg.



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. 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, 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 músculos³.

DO PLEITO

1. O **Atalureno** (TranslarnaTM) 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 2 anos de idade do sexo masculino⁴.

III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autor, 09 anos, portador de **distrofia muscular de Duchenne**. Conforme exame genético foi identificado a mutação de stop códon no éxon 59 no gene da distrofina (mutação nonsense), realizado pelo método MLPA. Dessa forma, está indicado sem interrupção, a terapia com **Atalureno** (TranslarnaTM), a ser iniciado de imediato, de forma contínua e por tempo indeterminado.

¹BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca virtual em saúde. Distrofia Muscular. Disponível em: < <http://bvsmis.saude.gov.br/dicas-em-saude/2194-distrofia-muscular>>. Acesso em: 05 abr. 2022.

²BRASIL. Ministério da Saúde. Nota Técnica Nº 28/2018. Atrofia Muscular de Duchenne. Medicamento Atalureno – 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: 05 abr. 2022.

³CONITEC. 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: 05 abr.

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

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRANSLARNA>>. Acesso em: 05 abr. 2022.



2. Diante o exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Atalureno** (TranslarnaTM) **apresenta indicação em bula**³ para o tratamento do quadro clínico que apresentado pelo Autor - **distrofia muscular de Duchenne**, conforme relato médico. 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 **Atalureno** (TranslarnaTM) até o momento **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)⁵ para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor – **distrofia muscular de Duchenne**.

4. Acrescenta-se que a distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma doença rara. Segundo pesquisas a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos⁶. 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 Raras⁷ 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.

5. 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 raras⁸.

6. No entanto este **Núcleo não identificou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁹ para **distrofia muscular de Duchenne** – quadro clínico que acomete o Autor e, portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possam ser implementados nestas circunstâncias.

7. No que concerne ao valor do pleito **Atalureno** (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.

⁵Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 05 abr. 2022.

⁶MORAES, R.M. et al. I ntervenções fisioterapêuticas na distrofia muscular de duchenne: revisão de literatura. Brazilian Journal of Health Review, Curitiba, v.4, n.2, p. 5182-5194 mar./apr2021. Disponível em: <<https://www.brazilianjournals.com/index.php/BJHR/article/view/26169/20797>>. Acesso em: 05 abr. 2022.

⁷BRASIL, 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: 05 abr. 2022.

⁸CONITEC. 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: 05 abr. 2022.

⁹Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 05 abr. 2022.

¹⁰BRASIL 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: 05 abr. 2022.



8. 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 contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

9. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Atalureno 125mg** (Translarna™) GRAN SUS OR CT 30 ENV possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 21181,43 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 16427,47, para o ICMS 20%; **Atalureno 250mg** (Translarna™) GRAN SUS OR CT 30 ENV possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 42362,88 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 32854,95, para o ICMS 20%¹².

É o parecer.

Ao 3º Juízo do Núcleo da Justiça 4.0, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

FERNANDO ANTÔNIO DE ALMEIDA GASPAR

Médico

CRM/RJ 52.52996 -3

ID. 3.047.165-6

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS

Farmacêutica

CRF-RJ 14680

ID. 4459192-6

MARCELA MACHADO DURAO

Assistente de Coordenação

CRF-RJ 11517

ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

¹¹BRASIL. 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>. Acesso em: 05 abr. 2022.

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/cmcd/precos/arquivos/lista_conformidade_2022_03_v1.pdf>. Acesso em: 05 abr. 2022.