



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0671/2022**

Rio de Janeiro, 12 de julho de 2022.

Processo nº 5005894.19.2022.4.02.5104,  
ajuizado por [REDACTED], neste ato  
representada por [REDACTED]

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

**I – RELATÓRIO**

1. Para elaboração do presente parecer técnico foi considerado o documentos médicos datados e recentes anexados ao processo. O documento médico acostado (Evento 1\_EXMMED9, págs. 1 e 2), datado em 21 de julho de 2020 foi considerado para detalhamento do quadro clínico da Autora.

2. De acordo com documento médico do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira (Evento 1\_LAUDO8, págs. 1 e 2), emitido 26 de maio de 2022, pela médica [REDACTED] a Autora, 8 anos, desenvolveu manifestações de doença óssea precocemente, caracterizadas por deformidades nos membros inferiores quando iniciou deambulação. Evoluiu com dores nos membros, piora das deformidades e redução do crescimento. Aos 6 anos e 1 mês fez diagnóstico clínico, laboratorial, radiológico e genético de Raquitismo Hipofosfatêmico Ligado ao X - Distúrbios do metabolismo do fósforo (CID-10: E83.3). Iniciou tratamento convencional com Fosfato e Calcitriol ao diagnóstico, porém não houve melhora das deformidades ósseas e estatura. Devido as alterações ósseas relacionadas ao **raquitismo** que não melhoram com tratamento convencional, foi orientado o início de **Burosumabe**. Devido à idade da Autora e início da puberdade, limitando o tempo restante de crescimento, a introdução deste medicamento deve ocorrer logo para que haja tempo suficiente para melhora das deformidades e recuperação da altura antes de cessar o crescimento ósseo.

3. Anexado aos autos (Evento 1\_EXMMED9, págs. 1 e 2), encontra-se laudo de exame da Mendelics, emitido em 21 de julho de 2020, pelo geneticista [REDACTED] com resultado diagnóstico de Raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X (OMIM # 307800) - foi identificada variante patogênica em heterozigose no gene PHEX (1cópia): variante ChrX:22.219.041 T>C.



## 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. No tocante ao Município de Barra Mansa, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME – Barra Mansa 2018, publicada no Boletim Informativo Oficial do Município nº 1070 - Barra Mansa, 11 de dezembro de 2018.
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 ultrarrara, cronicamente debilitante e deformante, 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<sup>1</sup>.

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 fósforo) e o **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao cromossomo X** (tipo de raquitismo resistente ao tratamento com vitamina D, secundário à perda renal de fósforo) chamado também de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X<sup>1</sup>.

### **DO PLEITO**

1. O **Burosumabe** é um anticorpo monoclonal humano que se liga e inibe a atividade biológica da FGF23, restaurando a reabsorção renal de fósforo e aumentando a concentração sérica da 1,25 dihidroxi-vitamina D. Dentre suas indicações, consta o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em pacientes adultos e pediátricos a partir de 6 meses de idade<sup>2</sup>.

### **III – CONCLUSÃO**

1. A Autora, 8 anos, com diagnóstico de **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X** Iniciou tratamento convencional com Fósforo e Calcitriol ao diagnóstico, porém não houve melhora das deformidades ósseas e estatura. Devido as alterações ósseas relacionadas ao **raquitismo** que não melhoram com tratamento convencional, foi orientado o início de **Burosumabe**.

2. Neste ponto, cumpre informar que o medicamento pleiteado **Burosumabe** possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e possui indicação prevista em bula<sup>2</sup>, para o tratamento do **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X**, contudo não foi mencionada a posologia indicada a Autora.

3. Quanto à disponibilidade na rede pública, informa-se que o pleito **Burosumabe** foi avaliado e incorporado pelo SUS para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), conforme disposto na Portaria SCTIE/MS Nº 1, de 19 de fevereiro de 2021<sup>1</sup>. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2013<sup>3</sup>, há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS. Contudo, findado o prazo de 180 para a efetivação da oferta do medicamento no SUS, após consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP<sup>4</sup>, na competência de 07/2022, constatou-se que **Burosumabe** ainda não integra nenhuma lista oficial de medicamentos

<sup>1</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC – Relatório de Recomendação Medicamento Nº 594. Fevereiro/2021 – Burosumabe para o tratamento de hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos e crianças. Disponível em:

<[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2021/20210222\\_Relatorio\\_594\\_burosumabe\\_HLX\\_HMV.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2021/20210222_Relatorio_594_burosumabe_HLX_HMV.pdf)>. Acesso em: 12 jul. 2022

<sup>2</sup>Bula do medicamento Burosumabe (Crysvita<sup>®</sup>) por Ultragenyx Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Crysvita>>. Acesso em: 12 jul. 2022.

<sup>3</sup>Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2013. 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/Decreto/D7646.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm)>. Acesso em: 12 jul. 2022.

<sup>4</sup>SISTEMA DE GERENCIAMENTO DA TABELA DE PROCEDIMENTOS, MEDICAMENTOS E OPM DO SUS – SIGTAP. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/inicio.jsp>>. Acesso em: 12 jul. 2022.





(Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Barra Mansa e do Estado do Rio de Janeiro.

4. Acrescenta-se que a **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (HLX)** é considerada uma doença ultrarrara, cronicamente debilitante e deformante<sup>1</sup>. Nesse sentido, cumpre salientar que 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.

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 raras<sup>6</sup>.

6. Para a doença em tela, o Ministério da Saúde atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Raquitismo e Osteomalácia<sup>7</sup>, que preconizou os seguintes fármacos: Carbonato de cálcio (comprimidos de 1.250mg (corresponde a 500mg de cálcio elementar); carbonato de cálcio + colecalciferol (comprimidos de 500mg de cálcio elementar + 200UI de D3); carbonato de cálcio + colecalciferol (comprimidos de 500mg de cálcio elementar + 400UI de D3); carbonato de cálcio + colecalciferol (comprimidos de 600mg de cálcio elementar + 400UI de D3); fosfato de cálcio tribásico + colecalciferol: comprimidos de 600mg de cálcio + 400UI); calcitriol: cápsulas de 0,250 microgramas; e **burossumabe** (solução injetável em frascos de 10mg/mL, 20mg/mL ou 30mg/mL).

7. Por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) atualmente disponibiliza, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), o medicamento Calcitriol 0,25mcg (cápsula). No âmbito da Atenção Básica, a Secretaria Municipal de Saúde de Barra Mansa, conforme relação municipal de medicamentos (REMUME-Barra Mansa 2018) disponibiliza: Carbonato de Cálcio + Vitamina D (500mg + 200UI).

8. Quanto ao questionamento *se o medicamento requerido é imprescindível e necessário para o quadro da Autora*. Informa-se que cabe ao médico assistente uma avaliação mais precisa acerca dos riscos inerentes à condição clínica atual da Autora. No relato médico, consta que a Autora apresenta *“...alterações ósseas relacionadas ao raquitismo que não melhoram com tratamento convencional, foi orientado o início de **Burossumabe**. Devido à idade da Autora e início da puberdade, limitando o tempo restante de crescimento, a introdução deste medicamento deve ocorrer logo para que haja tempo suficiente para melhora das deformidades e recuperação da altura antes de cessar o crescimento ósseo”*.

9. Em relação *se a posologia indicada pelo médico e requerida na ação, à primeira vista, pode ser reputada adequada ou se é exagerada*. Destaca-se que no documento datado anexado aos autos (Evento 1\_LAUDO8, págs. 1 e 2), não consta a posologia do medicamento

<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: 12 jul. 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\\_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. 2022.

<sup>7</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 02, de 11 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do 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: 12 jul. 2022.





Burosumabe que será utilizada no plano terapêutico da Autora. Dessa forma, este Núcleo fica **impossibilitado de inferir qualquer consideração neste item.**

10. No que concerne ao valor do medicamento **Burosumabe**, 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>8</sup>.

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

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Burosumabe 10mg/mL SOL INJ CT FA VD TRANS X 1ML** possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 22789,81 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 17883,16; **Burosumabe 20mg/mL SOL INJ CT FA VD TRANS X 1ML** possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 45579,70 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 35766,39; **Burosumabe 30mg/mL SOL INJ CT FA VD TRANS X 1ML** possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 68369,49 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 53649,54, para o ICMS 20%<sup>10</sup>.

**É o parecer.**

**A 1ª Vara Federal de Volta Redonda, 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>8</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. 2022.

<sup>9</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: 12 jul. 2022.

<sup>10</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\\_2021\\_07\\_v1.pdf/view](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2021_07_v1.pdf/view)>. Acesso em: 12 jul. 2022.