



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0864/2022

Rio de Janeiro, 26 de agosto de 2022.

Processo nº 5000279-37.2022.4.02.5140,  
ajuizado por .

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **Juízo 2 do Núcleo de Justiça 4.0**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Burosumabe** (Crysvita®).

### I – RELATÓRIO

1. De acordo com os documentos médicos em impresso da Universidade Federal do Rio de Janeiro – UFRJ e Hospital Clementino Fraga Filho (Evento 1\_LAUDO8\_Página 1/8 e Evento 1\_RECEIT9\_Página 1) emitidos em 04 de abril de 2022, pela médica , o Autor, 49 anos, diagnosticado na infância com **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X (XLH)**, devido à deformidade de membros inferiores. Tem história pregressa de duas cirurgias corretivas de membros inferiores ainda na infância, devido a doença de base, bem como história familiar de mãe e filha com raquitismo.

2. Além de deformidades em membros inferiores, o Autor também apresenta baixa estatura, dor articular e limitação funcional importante. Faz uso de Calcitriol, solução de Joulie e Colecalciferol, com refratariedade dos sintomas.

3. Submetido à análise molecular, foi confirmado o diagnóstico de **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X**, doença genética, de caráter crônico, que depende de tratamento medicamentoso contínuo e acompanhamento com consultas médicas periódicas, associado a exame clínico e laboratorial para avaliação da melhora destes pacientes.

4. Deste modo, visando oferecer ao Autor um tratamento capaz de interferir na fisiopatologia da doença, melhorar significativamente sua qualidade de vida, diminuir suas limitações e necessidades de correções cirúrgicas e ainda reduzir o custo a curto e longo prazo para o sistema público de saúde, a médica assistente recomenda:

- **Burosumabe** (Crysvita®) – 70mg por via subcutânea a cada 4 semanas (duas ampolas de 30mg e uma ampola de 10mg), de forma contínua.

5. Foram mencionados os seguintes códigos da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **E83.3 – Distúrbios do metabolismo do fósforo** e **E55.0 – Raquitismo ativo**.

### 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 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. O termo **raquitismo** refere-se à insuficiente mineralização ou ao retardo da mineralização da matriz osteóide recentemente formada durante o processo de ossificação endocondral, na placa de crescimento. O **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X** é considerado a causa mais comum de raquitismo hereditário. Representa também a etiologia mais frequente dentre as doenças hereditárias que causam aumento da perda renal de fósforo. É uma doença dominante ligada ao cromossomo X, causada por mutações no gene *PHEX* localizado no cromossomo X. A gravidade da doença é bastante variável, mesmo entre membros da mesma família. Na sua forma mais leve, a doença pode apresentar-se apenas com hipofosfatemia, sem que as alterações ósseas estejam presentes. O quadro clínico das crianças com a doença é caracterizado por baixa estatura, deformidades predominantemente em membros inferiores (genu varum ou genu valgum), que se



desenvolvem após o início da deambulação, alargamento metafisário, rosário raquíptico, bossa frontal e alterações dentárias decorrentes de anormalidades na formação da dentina, aumento da frequência de queda dentária e formação de abscessos dentários. Os pacientes apresentam altura normal ao nascer e redução da velocidade de crescimento durante os primeiros anos de vida. Nestes pacientes, o déficit de altura final é decorrente do reduzido ritmo de crescimento antes do diagnóstico e da instituição terapêutica<sup>1</sup>.

2. O tratamento do **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X** 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>2</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 fosfato e aumentando a concentração sérica da 1,25 dihidroxi-vitamina D. Está indicado para:

- Hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em pacientes adultos e pediátricos a partir de 6 meses de idade;
- Osteomalácia induzida por tumor (pacientes acima de 2 anos de idade)<sup>3</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autor, 49 anos, com diagnóstico molecular de **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X (XLH)**, que faz uso de Calcitriol, solução de Joulie e Colecalciferol, com refratariedade dos sintomas. Na presente ação, requer tratamento com o medicamento **Burosumabe** (Crysvita<sup>®</sup>).

2. Isto posto, cumpre-se informar que o medicamento pleiteado **Burosumabe apresenta indicação prevista em bula<sup>3</sup>** para o tratamento da **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X**, em pacientes adultos, conforme descrito em documento médico (Evento 1\_LAUDO8\_Página 1/8).

3. O **Burosumabe** foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC) para o tratamento de **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos e crianças**.

<sup>1</sup> AMBCFM – Associação Médica Brasileira e Conselho Federal de Medicina. Projeto Diretrizes. Raquitismo Hipofosfatêmico Ligado ao X. Disponível em: <[https://amb.org.br/files/\\_BibliotecaAntiga/raquitismo-hipofosfatemico-ligado-ao-x.pdf](https://amb.org.br/files/_BibliotecaAntiga/raquitismo-hipofosfatemico-ligado-ao-x.pdf)>. Acesso em: 26 ago. 2022.

<sup>2</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: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210222\\_relatorio\\_594\\_burosumabe\\_hlx\\_hmv.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210222_relatorio_594_burosumabe_hlx_hmv.pdf)>. Acesso em: 26 ago. 2022.

<sup>3</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: 26 ago. 2022.



4. Entretanto, a Comissão decidiu incorporar apenas o **Burosumabe** para o tratamento da **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em crianças** conforme Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>4</sup> e não incorporar o **Burosumabe** para o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X em adultos, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, conforme disposto na Portaria SCTIE/MS Nº 1, de 19 de fevereiro de 2021<sup>5</sup>, **inviabilizando que o Requerente receba o referido medicamento pela via administrativa quando sua disponibilização iniciar.**
5. Os membros da CONITEC presentes na 94ª reunião ordinária, no dia 04 de fevereiro de 2021, consideraram que os benefícios clínicos do tratamento foram mais acentuados na população pediátrica apresentando desfechos consistentes<sup>2</sup>.
6. Para o tratamento do **Raquitismo**, o Ministério da Saúde atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Raquitismo e Osteomalácia<sup>4</sup>. 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).
7. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) consta que o Autor esteve cadastrado no CEAF para recebimento do medicamento padronizado Calcitriol 0,25mcg (cápsula), com solicitação encerrada em 31 de maio de 2021.
8. Acrescenta-se ainda que **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (HLX)** é considerada uma doença ultrarrara. 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>6</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.
9. 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. Para a doença em questão foi publicado o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Raquitismo e Osteomalácia, através da Portaria Conjunta nº 02, de 11 de janeiro de 2022<sup>4</sup>.
10. No que concerne ao valor do pleito **Burosumabe** (Crysvita®), no Brasil para um medicamento ser comercializado é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de

<sup>4</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta nº 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/PCDT\\_Raquitismo-e-Osteomalacia.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/PCDT_Raquitismo-e-Osteomalacia.pdf)>. Acesso em: 26 ago. 2022.

<sup>5</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. 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.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2021/20210222\\_portaria\\_01.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2021/20210222_portaria_01.pdf)>. Acesso em: 26 ago. 2022.

<sup>6</sup> BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <[http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 26 ago. 2022.



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

11. 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.

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a tabela de preços CMED, considerando o ICMS de 20% para o estado do Rio de Janeiro, tem-se<sup>9</sup>.

- **Burosumabe 10mg** – preço de fábrica R\$ 22.789,81 e preço máximo de venda ao governo R\$ 17.883,16;
- **Burosumabe 30mg** – preço de fábrica R\$ 68.369,49 e preço máximo de venda ao governo R\$ 53649,54.

**É o parecer.**

**Ao Juízo 2 do Núcleo de Justiça 4.0, 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

**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

<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: 26 ago. 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: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 26 ago. 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: 26 ago. 2022.