



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1449/2022**

Rio de Janeiro, 16 de dezembro de 2022.

Processo nº 5008717-69.2022.4.02.5102,  
ajuizado por .

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **3ª Vara Federal de Niterói**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg (Trikafta®)**.

**I – RELATÓRIO**

1. Para a elaboração do presente Parecer Técnico, foram avaliados os documentos médicos acostados em Evento 1, ANEXO2, Página 8 e Páginas 1 a 4, suficientes para apreciação do pleito.

2. De acordo com os documentos do Instituto Fernandes Figueira - IFF emitidos em 25 de julho de 2022 pela médica , o Autor, 14 anos, é portador de **fibrose cística**, com diagnóstico da doença a partir de testes do suor alterado e teste genético evidenciando duas mutações patogênicas – **F508del/232del**. O acompanhamento do Autor é realizado segundo a colonização da via aérea e o monitoramento da doença ocorre por meio de avaliação clínica e laboratorial.

3. Dados espirométricos recentes (2022) com prova broncodilatadora positiva. Tomografia computadorizada de tórax (2021) evidenciou áreas de bronquiectasias difusas, principalmente em lobos superiores e nódulos centrolobulares, alguns com árvore em brotamento.

4. Atualmente, o Autor faz fisioterapia respiratória regularmente, além do uso regular de Alfadornase, salina hipertônica, Salbutamol, Beclometasona, reposição enzimática, vitaminas e suplementos nutricionais orais. Mantém acompanhamento clínico regular.

5. O medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)** tem indicação para o grupo de pacientes que apresentam a mutação **F508del/232del**. Os benefícios esperados são cumulativos e, desse modo, o atraso ao acesso do tratamento pode acarretar em impacto negativo no comprometimento pulmonar e na sobrevida do Autor.

6. Desse modo, foi prescrito ao Requerente:

- ✓ Manhã: **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg** – 2 cápsulas;
- ✓ Noite: **Ivacaftor 150mg** – 01 cápsula;
- ✓ O intervalo entre as 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. No tocante ao Município de Niterói, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais ("REMUME-Niterói"). Foi realizada em 2021, revisão e atualização da REMUME, sendo publicada em 31 de março/2021, no diário oficial do município.
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. **Elexacaftor** e **Tezacaftor** atuam como corretores de CFTR e **Ivacaftor** é um potencializador de CFTR. O efeito combinado de **Elexacaftor**, **Tezacaftor** e **Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) 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. Trata-se de solicitação de **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) para o Requerente de 15 anos, com diagnóstico de **fibrose cística** decorrentes das mutações patogênicas – **F508del/232del**.

2. Diante o exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) está indicado em bula<sup>2</sup> para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor – **fibrose cística**, conforme relato médico (Evento 1, ANEXO2, Páginas 15 a 23). No entanto, não integra nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Niterói 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 Tecnologias no SUS (CONITEC)<sup>3</sup> para o tratamento da **fibrose cística**.

4. Para o tratamento da **fibrose cística**, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>1</sup>, aprovado através da Portaria Conjunta N° 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.

<sup>1</sup> BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 25, de 27 de dezembro de 2021. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230\\_portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf)>. Acesso em: 16 dez. 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/?numeroRegistro=138230005>>. Acesso em: 16 dez. 2022.

<sup>3</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 16 dez. 2022.



5. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que o Autor **está cadastrado** no CEAF para recebimento dos medicamentos: Salbutamol 100mcg (aerossol), Salmeterol 25mcg + Fluticasona 125mcg (aerossol), Alfadornase 2,5mg (ampola), Pancreatina 10.000UI e 25.000UI (cápsula), Cloreto de Sódio 20% (solução injetável), Salmeterol 50mcg + Fluticasona 250mcg (pó para inalação oral).

6. Ao Autor foi prescrita a combinação dos fármacos Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta<sup>®</sup>). Entretanto, a título de informação, acrescenta-se que Portaria SCTIE/MS Nº 68, de 30 de dezembro de 2020, que torna pública a decisão de incorporar no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, somente o Ivacaftor (não associado) para pacientes acima de 6 anos, descreve as seguintes mutações no gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N, S549R. As mutações do Autor **F508del/232del** não estão previstas nesta incorporação.

7. 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.

8. 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>. Tal PCDT foi descrito no item 4.

9. Adicionalmente, informa-se que a associação farmacêutica **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) **tem registro ativo** na Agência Nacional de Vigilância de Sanitária (ANVISA), datado de 02 de março de 2022.

10. Em atenção ao Despacho/Decisão Judicial (Evento 4, DESPADEC1, Página 1), seguem abaixo as elucidações:

- *Se o medicamento postulado na petição inicial faz parte do RENAME esclarecendo, ainda, qual a substância/princípio ativo do remédio requerido, a fim de se verificar se existe outro medicamento fornecido pelo SUS com as mesmas propriedades, para o tratamento da(s) patologia(s) apresentada(s) pela parte autora – O medicamento pleiteado **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) não faz parte da RENAME. O medicamento **Ivacaftor** (não associado) é padronizado para pacientes acima de 6 anos, descreve as seguintes mutações no gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N, S549R. As mutações do Autor **F508del/232del** não estão previstas nesta incorporação.*

<sup>4</sup>GOVERNO DO ESTADO DE SÃO PAULO. Fibrose Cística - Mucoviscidose. Secretaria de Estado de Saúde. Disponível em: <[https://www.prefeitura.sp.gov.br/cidade/secretarias/upload/saude/publ\\_Estado\\_3.pdf](https://www.prefeitura.sp.gov.br/cidade/secretarias/upload/saude/publ_Estado_3.pdf)>. Acesso em: 16 dez. 2022.

<sup>5</sup>BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: <[http://bvmsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvmsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 16 dez. 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. Maio/2015. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio\\_pcdt\\_doenasraras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 16 dez. 2022.



- *Se o fármaco possui registro na ANVISA e, em caso negativo, se a medicação ainda está em fase experimental* - O medicamento pleiteado possui registro ativo na ANVISA e não se encontra em fase experimental.
- *Se existem programas, nas três esferas governamentais, que venham a atender as necessidades terapêuticas de fornecimento do medicamento pleiteado nesta ação, mediante cadastramento prévio, esclarecendo ainda, se for o caso, quais os programas existentes* – Não existem.

11. No que concerne ao valor do pleito **Elexacftor + Tezacftor + Ivacftor** (Trikafta<sup>®</sup>), no Brasil para um medicamento ser comercializado 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>7</sup>.

12. 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.

13. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Elexacftor 100mg + Tezacftor 50mg + Ivacftor 75mg** (Trikafta<sup>®</sup>) embalagem com 84 comprimidos possui PF correspondente a R\$ 125.734,37 e PMVG correspondente a R\$ 98.663,76, para o ICMS 20%<sup>9</sup>.

**É o parecer.**

**À 3ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**ALINE ROCHA S. SILVA**

Farmacêutica  
CRF-RJ 14.429  
ID. 4357788-1

**VANESSA DA SILVA GOMES**

Farmacêutica  
CRF- RJ 11538  
Mat.4.918.044-1

**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: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed>>. Acesso em: 16 dez. 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/cmmed/compras-publicas/lista-de-precos-maximos-para-compras-publicas>>. Acesso em: 16 dez. 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/cmmed/precos/arquivos/lista\\_conformidade\\_pmvg\\_2022\\_12\\_v2.pdf/@download/file/lista\\_conformidade\\_pmvg\\_2022\\_12\\_v2.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvg_2022_12_v2.pdf/@download/file/lista_conformidade_pmvg_2022_12_v2.pdf)>. Acesso em: 16 dez. 2022.