



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0109/2023

Rio de Janeiro, 01 de fevereiro de 2023.

Processo nº 5005063-43.2023.4.02.5101,
ajuizado por [REDACTED] neste
ato representada por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **4ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio, quanto ao medicamento **Burosumabe 20mg/mL**.

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o documento médico (Evento 1_EXMMED18_Página 1), emitido em 29 de novembro de 2022, pelo médico [REDACTED], a Autora necessita de 02 frascos do medicamento **Burosumabe 20mg/mL** (Crysvita™) a cada 15 dias de modo contínuo e por tempo indeterminado.
2. No Evento 1_EXMMED13_Páginas 1/2, em impresso do laboratório *Mendelics Análise Genômica*, liberado em 16 de setembro de 2019, encontra-se o resultado do sequenciamento do gene PHEX para raquitismo hipofosfatêmico, evidenciando heterozigose do referido gene, confirmando o diagnóstico de **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X**.

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. Diversas doenças já foram descritas como causadoras do **raquitismo hipofosfatêmico**, podendo cursar com um aumento da atividade do fator de crescimento do fibroblasto (**raquitismo hipofosfatêmico ligado ao cromossoma X** ou hipofosfatemia ligada ao cromossoma X – HLX, raquitismo hipofosfatêmico autossômico dominante e raquitismo hipofosfatêmico autossômico recessivo) ou com defeitos nos canais de reabsorção de fósforo dependente de sódio (raquitismo hipofosfatêmico com hipercaleiúria hereditária). A principal causa do raquitismo fosfopênico consiste em um grupo de doenças genéticas que desregulam e inibem a reabsorção de fosfato nos túbulos proximais renais, mas também pode ser causado por uma síndrome paraneoplásica rara decorrente de tumores produtores de fator de crescimento do fibroblasto (osteomalácia oncogênica) ou por condições que levam a distúrbios da absorção intestinal desse mineral. Entre os **raquitismos hipofosfatêmicos genéticos**, o HLX é o mais frequente, uma doença progressivamente debilitante e deformante, que corresponde a cerca de 80% dos casos e tem transmissão de caráter dominante ligada ao cromossoma X. O HLX decorre de um distúrbio genético raro decorrente de mutações com perda de função do gene PHEX (*Phosphate Regulating Endopeptidase Homolog X-Linked*, endopeptidase homóloga reguladora do fosfato ligada ao X) que codifica a proteína PHEX, envolvida na síntese e na degradação do fator de crescimento do fibroblasto 23 (FGF23). É uma doença com penetrância completa, mas com ampla variabilidade clínica, levando a graus variados na gravidade do raquitismo e nas deformidades dos membros superiores e inferiores, associadas à dor crônica, fraqueza muscular, muitas vezes incapacitante, e tendência a abscessos dentários. Este quadro pode levar a comprometimento grave do crescimento, da deambulação, necessidade de procedimentos cirúrgicos ortopédicos para correção das deformidades e redução importante da qualidade de vida do indivíduo. Adultos com



HLX podem apresentar osteomalácia, dores ósseas e fraqueza muscular importante, que também pode ser incapacitante e comprometer a qualidade de vida do paciente¹.

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. Dentre suas indicações, consta o tratamento da hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (XLH) em pacientes adultos e pediátricos a partir de 6 meses de idade².

III – CONCLUSÃO

1. A Autora, **13 anos** (Evento 1_CPF2_Página 1) com diagnóstico de **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X**, evidenciado através de sequenciamento do gene PHEX, apresenta, nesta ação, solicitação médica para tratamento com **Burosumabe 20mg/mL**.

2. Inicialmente, cumpre elucidar que o medicamento pleiteado **Burosumabe possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **apresenta indicação prevista em bula**², para o tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora – **raquitismo hipofosfatêmico ligado ao X**, conforme descrito em documento médico.

3. No que tange ao quadro clínico da Autora, informa-se que a **hipofosfatemia ligada ao cromossomo X (HLX)** é considerada uma doença ultrarrara, cronicamente debilitante e deformante¹. 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 Raras³ 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.

4. 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 raras⁴.

5. Desse modo, para o quadro clínico em tela, o Ministério da Saúde **atualizou** o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Raquitismo e Osteomalácia¹, que preconiza 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 +

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Departamento de Gestão e Incorporação de Tecnologias em Saúde. Portaria Conjunta nº 02, de 11 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Raquitismo e Osteomalácia. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20220201_portal_portaria_conjunta_2_pcdt_raquitismo_e_osteomalacia-1.pdf>. Acesso em: 01 fev. 2023.

² Bula do medicamento Burosumabe (Crysvita®) por Ultragenyx Brasil Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=139640002>>. Acesso em: 01 fev. 2023.

³ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 01 fev. 2023.

⁴ 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_DoençasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 01 fev. 2023.



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 **Burosumabe** solução injetável em frascos de 10mg/mL, 20mg/mL ou 30mg/mL. Por conseguinte, o para o tratamento do referido quadro:

- ✓ 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 do Rio de Janeiro disponibiliza os medicamentos Carbonato de Cálcio (comprimidos de 1.250mg) (corresponde a 500mg de cálcio elementar).

6. Informa-se que o **Burosumabe 20mg/mL foi incorporado** ao Sistema Único de Saúde – SUS para o manejo do raquitismo e osteomalácia, conforme disposto na Portaria SCTIE/MS Nº 1, de 19 de fevereiro de 2021¹. De acordo com a Superintendência de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos **os cadastros** para as solicitações do medicamento **Burosumabe** solução injetável (frasco ampola) **já estão sendo aceitos** para as CIDs: E55.0, E55.9, E64.3, E83.3, M83.0, M83.1, M83.2, M83.3 e M83.8.

7. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) consta que a Autora **está cadastrada** no CEAF **somente** para o recebimento do medicamento Calcitriol 0,25mcg (cápsula), tendo efetuado a última retirada no dia 17 de janeiro de 2023.

8. **Estando a Autora dentro dos critérios de inclusão** conforme descrito no PCDT do Raquitismo e Osteomalácia, deverá efetuar cadastro no CEAF, comparecendo à Rio Farmes - Farmácia Estadual de Medicamentos Especiais Rua Júlio do Carmo, 175 – Cidade Nova (ao lado do metrô da Praça Onze), de 2ª à 6ª das 08:00 às 17:00 horas. Tel.: (21) 98596-6591/ 96943-0302/ 98596-6605/ 99338-6529/ 97983-3535, portando as seguintes documentações: **Documentos Pessoais**: Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/ SUS, Cópia do comprovante de residência. **Documentos médicos**: Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias. O Laudo de Solicitação deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos PCDT do Ministério da Saúde, nível de gravidade, relato de tratamentos anteriores (medicamentos e período de tratamento), emitido a menos de 90 dias e Exames laboratoriais e de imagem previstos nos critérios de inclusão do PCDT.

9. No que concerne ao valor, 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)**⁵.

10. De acordo com publicação da CMED, 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.

⁵ 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/cmcd/precos>>. Acesso em: 01 fev. 2023.



11. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se⁶:

- **Burosumabe 20mg/mL** (Crysvita™) – possui menor preço de fábrica consultado correspondente a R\$ 45.579,70e menor preço de venda ao governo consultado correspondente a R\$ 35.766,39.

É o parecer.

À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

GABRIELA CARRARA

Farmacêutica
CRF- RJ 21.047
ID. 5083037-6

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

⁶ 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_pmyg_2023_01_v2.pdf/@@download/file/lista_conformidade_pmvg_2023_01_v2.pdf>. Acesso em: 01 fev. 2023.