



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0432/2023

Rio de Janeiro, 03 de abril de 2023.

Processo nº 5001552-10.2023.4.02.5110,
ajuizado por [REDACTED] representada
por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **2ª Vara Federal de Nova Iguaçu**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme®).

I – RELATÓRIO

1. Acostado aos autos (Evento 10, PARECER1, Páginas 1 a 5), encontra-se PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0217/2023, emitido em 23 de fevereiro de 2023, no qual foram esclarecidos os aspectos relativos às legislações vigentes, à condição clínica da Autora (Doença de Pompe), à indicação de uso e ao fornecimento pelo SUS do medicamento **Alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme®).

2. Em seguida, foi apensado novo laudo médico em impresso Instituto Fernandes Figueira - IFF (Evento 15, LAUDO2, Página 1) emitido em 08 de março de 2023 pelo médico [REDACTED], no qual foi informado que a Autora apresenta *Doença de Pompe de início tardio*, não perfazendo o critério de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para o tratamento com o medicamento padronizado no SUS – alfa-avglicosidase.

II – ANÁLISE

DA LEGISLAÇÃO/ DO QUADRO CLÍNICO/ DO PLEITO

1. Conforme abordado em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0217/2023, emitido em 23 de fevereiro de 2023 (Evento 10, PARECER1, Páginas 1 a 5).

III – CONCLUSÃO

1. Segundo teor conclusivo do **Parecer Técnico nº 0217/2023**, este Núcleo recomendou, com base nas informações prestadas em documentos médicos anexados na ocasião, avaliação do médico assistente acerca da possibilidade de a Autora fazer uso do tratamento padronizado no SUS - Alfa-avglicosidase, com base no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Doença de Pompe.

2. Em resposta à solicitação (Evento 15, LAUDO2, Página 1), foi informado que a Autora apresenta **doença de pompe de instalação tardia**, forma da doença **não autorizada (critério de exclusão)** pelo referido protocolo para a terapia de reposição enzimática (TRE) com Alfa-avglicosidase.



3. Acrescenta-se que a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC avaliou e decidiu pela não incorporação no SUS do medicamento padronizado Alfa-alglicosidase como TRE para o tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado de **doença de Pompe de Início Tardio**, tendo em vista os benefícios modestos e o alto impacto orçamentário¹.

4. Dessa forma, **não existem terapias medicamentosas específicas disponíveis no SUS para a forma tardia da doença** (caso da Autora).

5. Reitera-se que o medicamento pleiteado **Alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme®), até o momento, **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)² para o tratamento da **Doença de Pompe**.

6. Destaca-se a importância da CONITEC, criada pela lei nº 12.401, de 28 de abril de 2011, em assessorar o Ministério da Saúde nas atribuições relativas à incorporação, exclusão ou alteração de tecnologias em saúde pelo SUS e sua análise deve ser baseada em evidências científicas, levando em consideração aspectos como eficácia, acurácia, efetividade e a segurança da tecnologia, além da avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já existentes³.

7. Em consulta às agências internacionais de avaliação de tecnologia, verificou-se o seguinte:

- O *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE) recomendou o uso do medicamento **Alfa-avalglicosidase** para tratamento da doença em bebês, crianças, jovens e adultos, caso a empresa o forneça conforme acordo comercial estabelecido⁴.
- O *Canada's Drug and Health Technology Agency* (CADTH) recomendou o tratamento de longo prazo com **Alfa-avalglicosidase** para pacientes com a forma tardia da doença caso apresentem os critérios estabelecidos⁵.

8. após feitos os esclarecimentos, este Núcleo conclui o seguinte:

- A terapia de reposição enzimática (TRE) com o medicamento pleiteado **Alfa-avalglicosidase** está indicada para o manejo da doença da Autora, porém não foi avaliada pela CONITEC.
- A terapia de reposição enzimática utilizando o medicamento já padronizado Alfa-alglicosidase não foi incorporada no SUS para a forma tardia da doença de Pompe, após avaliação da CONITEC.
- As diretrizes do SUS para o tratamento da doença de Pompe não preveem a terapia de reposição enzimática no tratamento da forma tardia da doença, não havendo, portanto, critérios definidos de posologias recomendadas, mecanismos de controle clínico,

¹ CONITEC. Relatório de Recomendação nº 769. Setembro/2022. Alfa-alglicosidase para o tratamento da doença de Pompe de início tardio. Disponível em: < https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2022/20220927_relatorio_769_alfaalglicosidase_final.pdf >. Acesso em: 30 mar. 2023.

² 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: 23 fev. 2023.

³ CONITEC. Conheça a Conitec. Disponível em: < <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/a-comissao/conheca-a-conitec> >. Acesso em: 08 mar. 2023.

⁴ *National Institute for Health and Care Excellence* (NICE). Avalglucosidase alfa for treating Pompe disease. Disponível em: < <https://www.nice.org.uk/guidance/ta821/chapter/1-Recommendations> >. Acesso em: 30 mar. 2023

⁵ *Canada's Drug and Health Technology Agency* (CADTH). Avalglucosidase alfa. Disponível em: < <https://www.cadth.ca/avalglucosidase-alfa> >. Acesso em: 30 mar. 2023.



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

acompanhamento e verificação dos resultados terapêuticos a serem seguidos pelos gestores do SUS.

9. Por fim, ficam mantidas as demais informações prestadas em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0217/2023, emitido em 23 de fevereiro de 2023(Evento 10, PARECER1, Páginas 1 a 5).

É o parecer.

À 2ª Vara Federal de Nova Iguaçu, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO

Farmacêutico
CRF-RJ 15023
ID.5003221-6

KARLA SPINOZA C. MOTA

Farmacêutica
CRF- RJ 10829
ID. 652906-2

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02