



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1031/2023**

Rio de Janeiro, 03 de agosto de 2023.

Processo nº 5014596-96.2023.4.02.5110,  
ajuizado por

neste ato representado por

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 **atalureno 250mg** (Translarna™).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com documentos médicos do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira - UFRJ, emitido em 02 de março de 2023 pela médica  o Autor apresenta diagnóstico confirmado de **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** por teste genético identificando uma mutação por troca de G>A (chrX: 32.454685) no gene de distrofina. Está indicado o uso do medicamento **atalureno** (Translarna™) considerando que o Requerente apresenta mutação sem sentido (nonsense), conforme documento em Evento 1, PARECERTEC4, Página 1. Além do medicamento específico, faz parte do tratamento o acompanhamento multidisciplinar contínuo e ininterrupto. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular**. Esquema terapêutico para o medicamento indicado:

- **Atalureno** (Translarna™)
  - 01 sachê de 250mg pela manhã;
  - 01 sachê de 250mg à tarde;
  - 01 sachê de 250mg à noite.

**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.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.
8. 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.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. A **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma doença hereditária, de caráter recessivo, ligada ao cromossomo X - portanto afeta mais os indivíduos do sexo masculino. Sua manifestação clínica pode ser de atividade motora levemente atrasada até quadros mais graves, embora a maioria seja incapaz de correr e pular adequadamente devido à fraqueza muscular. O diagnóstico geralmente ocorre próximo aos 5 anos de idade, quando sua capacidade física diverge do esperado para essa faixa etária. Quando não tratada, a força muscular se deteriora e os indivíduos necessitam do uso de uma cadeira de rodas antes da adolescência. Também surgem complicações respiratórias, ortopédicas e cardíacas. Sem intervenção, a idade média do óbito é de cerca de 19 anos<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. O **atalureno (Translarna™)** é um medicamento que permite a leitura ribossômica do RNAm que contém códon de parada prematuro, o que resulta na produção de uma proteína de comprimido completo. É indicado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne resultante de uma mutação sem sentido (nonsense) no gene da distrofina (DMDmn) em pacientes deambulatórios pediátricos a partir dos 2 anos de idade do sexo masculino. A presença de uma mutação sem sentido no gene da distrofina deve ser determinada por testes genéticos<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autor (DN: 28/11/2014; 8 anos) com diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** – por mutação sem sentido (*nonsense*) – com indicação de uso do medicamento **atalureno 250mg (Translarna™)**.
2. O tratamento padrão da DMD consiste no uso de glicocorticoides para melhora da função motora, pulmonar e redução do risco de escoliose, além de medidas de suporte como

<sup>1</sup> Parecer Técnico-Científico. Eteplirsena para distrofia muscular de Duchene. (Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde da Unifesp, Campus Diadema. São Paulo, abril de 2020. Disponível em: < <https://www.cnj.jus.br/e-natjus/arquivo-download.php?hash=0be6a5adee877eb07ff2b176f8485088b96560e8>>. Acesso em: 03 ago. 2023.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Atalureno (Translarna™) por Millidock Produtos Médicos e Farmacêuticos Ltda – ME. Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=157700001>>. Acesso em: 03 ago. 2023.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

fisioterápicas e para prevenção e tratamento das complicações: suplementações de vitamina D, bifosfonatos, fisioterapia motora, órteses e cirurgias ortopédicas para estabilizar ou alongar tendões<sup>1</sup>.

3. Destaca-se que **atalureno** (Translarna™) possui registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e **está indicado** em bula aprovada pela Anvisa para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne resultante de uma mutação sem sentido (nonsense) no gene da distrofina (DMDmn) em pacientes deambulatórios pediátricos a partir dos 2 anos de idade do sexo masculino.

4. Sobre o uso do referido medicamento, o Consenso Brasileiro da DMD (2023) esclareceu o seguinte: resultados da fase 3 do **atalureno** foram publicados: O estudo multicêntrico, randomizado, duplo-cego, controlado por placebo incluiu 228 meninos DMD que podiam andar e 7 a 16 anos. A mudança na progressão da doença foi mais evidente no subgrupo pré-especificado de pacientes com teste de caminhada de 6 minutos de 300 m a 400 m. O **atalureno** era geralmente bem tolerado (nível de evidência: 1B). Além disso, uma meta-análise adicional de ensaios clínicos de fase 2 e 3 dá suporte a evidência anterior<sup>3</sup>.

5. Quanto à disponibilização no SUS, o **atalureno** (Translarna™) **não integra** uma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, **não cabendo** seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

6. Em 2018 foi publicada pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), Síntese de Evidências elaborada de 2017 que contém informações sobre as evidências científicas disponíveis a respeito da eficácia, segurança e custo-efetividade das tecnologias, dentre outras. Tal síntese menciona que a **distrofia muscular de Duchenne** não tem cura e o seu tratamento se baseia na terapia sintomática. E quanto ao uso do **Atalureno**, reitera que a eficácia **não foi demonstrada em doentes sem capacidade de marcha**<sup>4</sup>.

7. A **distrofia muscular de Duchenne** é uma doença rara e, nesse sentido, o Ministério da Saúde publicou a Portaria nº 199 de 30 de janeiro de 2014 que 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 Sistema Único de Saúde (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. Contudo, a **distrofia muscular de Duchenne** não é mencionada.

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

<sup>3</sup> Araujo APQC, Saute JAM, Fortes CPDD, França MC Jr, Pereira JA, Albuquerque MAV, Carvalho AAS, Cavalcanti EBU, Covaleski APPM, Fagundes SC, Gurgel-Giannetti J, Gonçalves MVM, Martinez ARM, Coimbra Neto AR, Neves FR, Nucci A, Nucera APCDS, Pessoa ALS, Rebel MF, Santos FND, Scola RH, Sobreira CFDR. Update of the Brazilian consensus recommendations on Duchenne muscular dystrophy. Arq Neuropsiquiatr. 2023 Jan;81(1):81-94. doi: 10.1055/s-0043-1761466. Epub 2023 Mar 14.

<sup>4</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC. Síntese de Evidências - 2017. Ataluren para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Sintese\\_Evidencias/2017/SE\\_037\\_Ataluren\\_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf](http://conitec.gov.br/images/Sintese_Evidencias/2017/SE_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf)> Acesso em: 03 ago. 2023.

<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: 03 ago. 2023.



cuidado das pessoas com doenças raras. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênitas<sup>6</sup>.

9. O Ministério da Saúde, até o momento, **não publicou** Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT), que verse sobre a **distrofia muscular de Duchenne**. Portanto, não há opções de mesma classe terapêutica do pleito padronizadas no SUS que possam ser implementados nestas circunstâncias.

10. 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)<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 contemplan medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, o **Atalureno 250mg** (Translarna™) – 2 seringas preenchidas – apresenta PF de R\$ 49.606,61 e PMVG de R\$ 38.926,31.<sup>9</sup>

13. Após feitos os esclarecimentos, e tendo em vista os estudos mencionados e a indicação aprovada em bula com relação ao uso do medicamento em pacientes com capacidade de marcha, cumpre informar que o laudo médico foi faltoso em esclarecer se o Autor deambula.

**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

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

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

<sup>6</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: < [https://docs.bvsalud.org/biblioref/2017/11/874983/relatorio\\_pcdt\\_doenasraras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://docs.bvsalud.org/biblioref/2017/11/874983/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf) >. Acesso em: 03 ago. 2023.

<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/cmmed/apresentacao>>. Acesso em: 03 ago. 2023.

<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: <[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: 03 ago. 2023.

<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\\_2023\\_07\\_v1.pdf/@download/file](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvg_2023_07_v1.pdf/@download/file) >. Acesso em: 03 ago. 2023.