



## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1065/2023

Rio de Janeiro, 10 de agosto de 2023.

Processo nº 5083317-30.2023.4.02.5101,  
ajuizado por

neste caso representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **4ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Emicizumabe** (Hemcibra<sup>®</sup>).

### I – RELATÓRIO

1. Para elaboração deste Parecer Técnico foram considerados apenas os documentos médicos mais recentes e relacionados ao pleito, a saber laudos e receituário (Evento 1: LAUDO16, Páginas 1 a 3; RECEIT17, Página 1; LAUDO18, Página 1) em impresso do médico  emitidos em julho de 2023.

2. Trata-se de Autor (DN: 21/05/2015) com diagnóstico de hemofilia tipo A grave, realizado aos dois meses de idade após sofrer 2 sangramentos intracranianos espontâneos, tendo sido imediatamente hospitalizado na UTI de um hospital local. Durante a internação, devido à dificuldade de acesso venoso, aos 20 dias de internação, foi implantado um cateter de longa permanência tipo porta catch, que apresentou contaminação após uma semana e foi retirado, e substituído por outro acesso profundo. O Demandante esteve internado neste período por 30 dias, tendo havido melhora progressiva do edema cerebral e absorção significativa do sangramento intracraniano.

3. À medida que foi crescendo, teve vários episódios de sangramentos articulares e musculares profundos, sendo necessários internação hospitalar em muitos episódios, apesar do uso profilático de Fator VIII recombinante. Aos 2 anos e meio de idade, o Autor passou a fazer uso de Fator VIII derivado do plasma (Octanate<sup>®</sup>) venoso. Aos 3 anos e meio de idade, passou a fazer a infusão em casa diretamente aplicada pela mãe, após treinamento em centro especializado. Nos últimos anos, as infusões ficaram cada vez mais difíceis devido problemas com o porta catch e também ao fato de o Requerente ter desenvolvido um quadro de **autismo grave** e **déficit cognitivo importante e ter necessitado de contenção física obrigatoriamente antes de cada punção venosa**. Ao decorrer de todo os anos de tratamento para Hemofilia, existiram ocasiões em que o porta catch não funcionava e era necessário acessar diretamente na veia. O que foi extremamente difícil em todas as vezes. Muitas tentativas para acessar a veia para a administração de Fator, antibiótico, soro e outros medicamentos. Em agosto de 2022, apresentou quadro de septicemia, possivelmente originária do cateter profundo portacath, tendo sido necessário sua retirada, e utilização de veias periféricas com grande desconforto para ele. Na ocasião, apresentou fraqueza muscular e dores generalizadas. Passou então a fazer fator VIII recombinante em veia periférica 3 vezes por semana. Devido ao quadro de autismo, estes acessos periféricos eram muitos difíceis devido à pouca



colaboração e a grande agitação psicomotora, o que levava a sangramento nos locais das tentativas de punção.

4. O uso do medicamento se justifica pelo fato de o Autor ter sofrido dois sangramentos intracranianos espontâneos que quase o levaram à morte quando lactente. Sangramentos que causaram sérios danos ao cérebro, tais como: a Síndrome dos Espasmos Infantis, Epilepsia, baixo tônus muscular, Autismo Grave e seu baixo desenvolvimento mental e cognitivo. Para crianças que tiveram este tipo de sangramento a possibilidade de recorrência é alta e o controle da hemofilia A devem ser maximizados. Além do acometimento do Sistema Nervoso Central, ele apresentou vários sangramentos articulares e musculares recorrentes, a saber: tornozelos, joelhos, músculos da perna e braço, pés, mãos, braços, quadril, cavidade oral e nasal. A recidiva destes sangramentos podem levar a sequelas graves.

5. Além disto, o paciente é uma criança fisicamente muito ativa e, devido ao seu autismo grave, não é capaz de tomar os devidos cuidados para minimizar os traumas habituais do dia a dia que pode levar a sangramentos significativos em pacientes com a Hemofilia. E como seu desenvolvimento cognitivo é muito baixo, com quase nenhuma interação verbal, há um retardo importante na descoberta do local das lesões e suas causas. Ele também não se queixa de dores ou desconfortos, que ajudariam a indicar o início de sangramentos mais significativos. Isto aumenta o risco de sequelas devido a hemartroses e sangramentos viscerais.

6. Em resumo, o seu autismo é um fator a mais e crítico na dificuldade de acesso venoso do paciente. No momento, ele apresenta enorme resistência ao comparecimento a centro de tratamento, opondo resistência a qualquer tentativa de punção venosa, sendo necessária a contenção do paciente, o que aumenta enormemente os riscos de sangramentos e complicações relacionadas ao procedimento. O acesso a uma medicação de uso subcutâneo quinzenal permitiu a melhora de sua qualidade de vida, com menor morbidade relacionada ao tratamento.

7. Consta indicado: **emicizumabe 105mg/0,7mL** (1 vez a cada 30 dias) e **emicizumabe 150mg/mL** (1 vez a cada 30 dias) – uso subcutâneo.

8. Foi citada a Classificação Internacional de Doença (CID-10): **D66 – Deficiência hereditária do fator VIII.**

## 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.

## DO QUADRO CLÍNICO

1. As **hemofilias** são doenças hemorrágicas hereditárias, ligadas ao cromossomo X e transmitidas quase que exclusivamente a indivíduos do sexo masculino por mães portadoras da mutação (cerca de 70% dos casos). As hemofilias são classificadas em **tipo A** e B, conforme a deficiência do fator da coagulação, se **fator VIII** e IX, respectivamente. Do ponto de vista clínico, as hemofilias A e B são semelhantes, sendo a hemofilia A 5 vezes mais prevalente que a hemofilia B. A hemofilia é classificada de acordo com o nível plasmático de atividade coagulante do fator deficiente em leve, moderada e **grave**, quando o nível de fator é de 5% a 40% (ou maior que 0,05 a 0,40 UI/mL), de 1% a 5% (ou de 0,01 a 0,05 UI/mL) e inferior a 1% (ou menor que 0,01 UI/mL), respectivamente. O tratamento das hemofilias consiste principalmente na reposição do fator deficiente, por meio dos concentrados de fator de origem plasmática ou recombinante<sup>1</sup>.

## DO PLEITO

1. O **emicizumabe** (Hemcibra<sup>®</sup>) é indicado para profilaxia de rotina, para prevenir sangramento ou reduzir a frequência de episódios de sangramento em adultos e crianças com hemofilia A (deficiência congênita do fator VIII) com ou sem inibidores do fator VIII (FVIII).

<sup>1</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria de Atenção Especializada. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos em Saúde. Portaria Conjunta nº 15, de 26 de agosto de 2021. Protocolo de uso de emicizumabe por pacientes com hemofilia A e inibidores do fator VIII refratários ao tratamento de imunotolerância. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/protocolo\\_uso/20210831\\_pu\\_emicizumabe\\_hemofilia.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/protocolo_uso/20210831_pu_emicizumabe_hemofilia.pdf) >. Acesso em: 10 ago. 2023.



Pode ser utilizado por todas as faixas etárias<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autor (DN: 21/05/2015; 8 anos) com diagnóstico de **hemofilia tipo A grave e autismo grave com indicação de uso de emicizumabe** tendo em vista o seguinte:

- Dificuldade de acesso venoso para aplicação do Fator de coagulação: no momento, ele apresenta enorme resistência ao comparecimento a centro de tratamento, opondo resistência a qualquer tentativa de punção venosa;
- Devido ao seu autismo grave, não é capaz de tomar os devidos cuidados para minimizar os traumas habituais do dia a dia que pode levar a sangramentos significativos em pacientes com a Hemofilia. E como seu desenvolvimento cognitivo é muito baixo, com quase nenhuma interação verbal, há um retardo importante na descoberta do local das lesões e suas causas. Ele também não se queixa de dores ou desconfortos, que ajudariam a indicar o início de sangramentos mais significativos.

2. Sobre o tema, cumpre informar que o tratamento da hemofilia A consiste principalmente na reposição do fator de coagulação deficiente – fator VIII, por infusão intravenosa administrada pelo próprio paciente ou cuidador. E a principal complicação desse tratamento é o desenvolvimento de inibidores, aloanticorpos direcionados contra o referido fator infundido, mais incidentes com a forma grave da doença e que interferem na resposta aos sangramentos, levando à ineficiência do tratamento<sup>1</sup>.

3. O único tratamento capaz de erradicar 60% a 80% dos inibidores é a imunotolerância. Contudo, 20% a 40% dos pacientes pode não responder a esse tratamento, demandando uso contínuo de agentes *bypassing*, que são menos eficientes e mais onerosos. **E foi justamente para esse grupo de pacientes que o medicamento emicizumabe foi incorporado no SUS**, perfazendo o Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica e sendo fornecido por farmácia do Centro de Hemofilia<sup>1</sup>.

4. Portanto, após leitura diligente dos documentos médicos, torna-se necessário explicitar que o médico assistente indicou o início da terapia com **emicizumabe** por motivo distinto daquele para o qual esse medicamento foi padronizado no SUS, o que **impede que o Autor receba tal medicamento por via administrativa**.

5. Na base de dados da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, há o relatório de recomendação relativo à ampliação do uso do medicamento **emicizumabe** para o tratamento profilático de pessoas com hemofilia A, moderada a grave, de até 12 anos de idade, sem inibidores do FVIII, ainda em sua versão preliminar (ou seja, que pode sofrer alterações após a consulta pública). Salienta-se que no ano de 2019, a comissão deliberou pela não incorporação no SUS (ou seja, por não ampliar o uso desse medicamento no tratamento dessa condição)<sup>3</sup>.

<sup>2</sup> Bula do medicamento emicizumabe (Hemcibra®) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000667>>. Acesso em: 10 ago. 2023.

<sup>3</sup> CONITEC. Relatório de Recomendação (versão preliminar). Tratamento profilático de pessoas com hemofilia A (PcHA), moderada ou grave de até 12 anos de idade, sem inibidores do FVIII. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2023/Relatorio\\_CP\\_20\\_emicizumabe\\_seminibidor12a\\_hemofilia.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2023/Relatorio_CP_20_emicizumabe_seminibidor12a_hemofilia.pdf) >. Acesso em: 10 ago. 2023.



6. Dessa forma, conclui-se que o medicamento **emicizumabe** (Hemcibra<sup>®</sup>) está indicado em bula para o tratamento da hemofilia A grave e é adequado no tratamento profilático do Autor, com base no histórico clínico de sua doença (forma grave com mais de um evento hemorrágico intracraniano) e na presença de autismo grave, com importante comprometimento cognitivo e verbal, que agrava os problemas relacionados ao acesso venoso (via de aplicação da terapia preconizada no SUS) bem como os riscos de eventos hemorrágicos tendo em vista a impossibilidade da identificação de lesões, suas causas e início de sintomas.

7. 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>4</sup>.

8. De acordo com publicação da CMED<sup>5</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.

9. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se:<sup>6</sup>

- **emicizumabe 105mg/0,7mL** (Hemcibra<sup>®</sup>) – 1 frasco-ampola – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 60.420,36 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 47.411,86.
- **emicizumabe 150mg/mL** (Hemcibra<sup>®</sup>) – 1 frasco-ampola – apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 87.582,75 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 67.731,22.

10. O medicamento pleiteado possui registro válido junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

**É o parecer.**

**À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, 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

**MILENA BARCELOS DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 9714  
ID. 4391185-4

<sup>4</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: 10 ago. 2023.

<sup>5</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: 10 ago. 2023.

<sup>6</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\\_v2.pdf/@@download/file](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvg_2023_07_v2.pdf/@@download/file)>. Acesso em: 10 ago. 2023.