



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1098/2023

Rio de Janeiro, 14 de agosto de 2023.

Processo nº 5005211-33.2023.4.02.5108
ajuizado por

O presente parecer técnico visa atender à solicitação de informações da **2ª Vara Federal de São Pedro da Aldeia**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **migalastate 123mg** (Galafold®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com os documentos médicos do Instituto de Genética Dr. Carlos Leprevost (Evento 1, INIC1, Página 96-106) emitidos em 29 de março de 2023 pelo médico , a Autora apresenta o diagnóstico de **doença de Fabry**, confirmada pelos sintomas clínicos em junção com o exame molecular analisando o gene GLA, que evidenciou mutação antes já descrita na literatura médica. Seus sintomas incluem: mutação R118C no gene GLA detectada em sequenciamento genético de nova geração; transplante primário em 2005 - doadora materna; embolia pulmonar pós transplante; proteinúria em 2018, que evoluiu com nova necessidade de hemodiálise; transplante renal 2018 - doador cadáver; miocardiopatia hipertrófica em lâmina de biópsia confirmada por exame de patologia; intolerância a lactose confirmada por PCR (gene MCM6); trombofilia por mutação em F5 patogênica (Arg534Glc); plaquetopenia; transtorno do espectro autista; neuropatia continua a despeito do uso de medicações para a dor; febre contínua; pericardite com derrame pericardico - dores no peito - contudo ressonância magnética cardíaca normal.

2. Em uso dos medicamentos zolpidem, alprazolam, prednisolona e tacrolimo. Devido ao caráter genético e progressivo da doença, com necessidade de dois transplantes renais prévios, e com a evolução da doença cardíaca e neurológica, se faz necessário o início de terapia direcionada para o tratamento da doença em questão com o uso contínuo do medicamento **migalastate 123mg** (Galafold®) uma cápsula, a cada dois dias.

3. Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doença (CID-10): **E75.2 – Outros esfingolipidoses**.

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.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 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 **Doença de Fabry (DF)** também conhecida como doença de Anderson Fabry, é uma esfingolipidose devida a um erro inato ligado ao X, ocasionada pela deficiência da enzima lisossômica α -galactosidase A (α GAL-A). A falha da α GAL-A afeta todo o organismo devido ao acúmulo de glicosfingolipídios, principalmente o globotriaosilceramida (GL-3 ou Gb3). O grau de acometimento ocasionado por esta alteração genética varia muito entre os diferentes tipos de células e órgãos, afetando todos os subtipos celulares. Esta disparidade altera as taxas de metabolismo de esfingolipídios nas diversas células do corpo humano. O acúmulo do GL-3 ocorre especialmente nas células do epitélio renal, nas células endoteliais vasculares, células do músculo liso, cardiomiócitos e neurônios do sistema nervoso autônomo. Estas alterações na concentração do GL-3 provocam manifestações clínicas sobretudo no endotélio vascular da pele, coração, fígado, rins e sistema nervoso central. Alterações auditivas, vestibulares, oftalmológicas e do trato gastrointestinal também são observadas. Por ser uma doença sistêmica, a DF pode se manifestar por distúrbios gastrointestinais (como diarreia e dor abdominal), insuficiência renal, neuropatia periférica, doença cardíaca, doença cerebrovascular e perdas sensoriais, entre outros¹.

DO PLEITO

¹ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos. Portaria Conjunta nº 20, de 06 de dezembro de 2021. Diretrizes Brasileiras para o Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry. Disponível em: < https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/diretrizes/20211230_portal-portaria-conjunta-no-20_diretrizes_doenca-de-fabry.pdf >. Acesso em: 14 ago. 2023.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

1. **Migalastate** (Galafold®) é indicado para o tratamento de longa duração de adultos e adolescentes de 12 anos ou mais, com diagnóstico confirmado de doença de Fabry (deficiência de α -galactosidase A) e que possuam uma mutação suscetível².

III - CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **migalastate 123mg** (Galafold®) **está indicado** em bula para o tratamento do quadro clínico que acomete a Autora – **Doença de Fabry**.

2. No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que o **migalastate 123mg** (Galafold®) **não se encontra padronizado** em nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Cabo Frio e do Estado do Rio de Janeiro.

3. O medicamento **migalastate** **foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – Conitec, que decidiu pela recomendação de **não incorporação do medicamento ao SUS** para o tratamento de pacientes com Doença de Fabry com mutações suscetíveis e idade igual ou superior a 16 anos.

4. A Comissão considerou que a evidência clínica sobre o migalastate mostra benefícios clínicos limitados e incertezas, e que as relações de custo-efetividade e o impacto orçamentário são bastante elevado³.

5. O tratamento da **doença de Fabry** é complexo e requer equipe multidisciplinar constituída por clínicos, dermatologistas, neurologistas, cardiologistas, nefrologistas e geneticistas experientes no assunto¹. No entanto, **não existe tratamento curativo para a doença**⁴.

6. Atualmente, o **tratamento no SUS** foi estabelecido pelas **Diretrizes Brasileiras para o Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry** (Portaria Conjunta nº 20, de 06 de dezembro de 2021) e está **focado no manejo das complicações advindas da doença, tratamento sintomático e a terapia de reabilitação**⁵.

7. Informa-se que o medicamento pleiteado **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

8. No que concerne ao valor, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância

² Bula do medicamento migalastate 123mg (Galafold®) por Pint Pharma Produtos Medico-Hospitalares e Farmaceuticos LTDA. Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/detalhe/1898530?nomeProduto=galafold>>. Acesso em: 14 ago. 2023.

³ Conitec. Relatório de recomendação. Nº 632. Junho de 2021. Migalastate para o tratamento de pacientes com Doença de Fabry com mutações suscetíveis e idade igual ou superior a 16 anos. Disponível em: https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210708_relatorio_632_final_migalastate_fabry_p42.pdf. Acesso em: 14 ago. 2023.

⁴ CONITEC. Relatório para Sociedade. Alfa-agalsidase e Beta-agalsidase como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry. N. 87, 05/2018. Disponível em: < https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2018/sociedade/20201231_resoc87_algasidase_fabry.pdf>. Acesso em: 14 ago. 2023.

⁵ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos. Portaria Conjunta nº 20, de 06 de dezembro de 2021. Diretrizes Brasileiras para o Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry. Disponível em: < https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/diretrizes/20211230_portal-portaria-conjunta-no-20_diretrizes_doenca-de-fabry.pdf>. Acesso em: 14 ago. 2023.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)⁶.

9. De acordo com publicação da CMED⁷, 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.

10. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de preços CMED⁸, tem-se os seguintes preços com ICMS 20%: **123mg** (Galafold®) blister com 14 cápsula – possui PF de R\$ 71.397,55 e PMVG de R\$ 56.025,66.

É o parecer.

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

ALINE PEREIRA DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 13065
ID. 4.391.364-4

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

⁶ 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: 14 ago. 2023.

⁷ 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: 14 ago. 2023.

⁸ 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> >. Acesso em: 14 ago. 2023.