



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1225/2023**

Rio de Janeiro, 04 de setembro de 2023.

Processo nº 5008909-20.2023.4.02.5117,  
ajuizado por

representada por

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

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos do Hospital Universitário Gaffrée Guinle (Evento 1, ANEXO2, Páginas 24-25; Evento 1, ANEXO3, Página 13) emitidos em 27 de junho de 2023 pela médica . Consta que o Autor apresenta diagnóstico confirmado para a **Doença de Pompe**, ou Glicogenose do tipo II, atualmente com 36 anos, em torno de 25 anos início dos sintomas com dificuldade motora, progressiva. Nas formas mais tardias da doença, como é o caso em questão, o início é insidioso e a progressão no tempo, variável. Nesta **forma tardia**, o depósito de glicogênio está principalmente confinado a musculatura esquelética e respiratória (diafragma e músculos acessórios), levando a uma miopatia dos músculos predominantemente proximais, cinturas e insuficiência respiratória crônica. Muitos dos afetados, diante da progressão da doença vão perdendo a sua independência e tendo reduzidas suas habilidades na vida diária, invariavelmente passando a necessitar de cadeira de rodas e ventilação assistida. A falência respiratória costuma ser a causa do óbito nesse grupo de pacientes. Atualmente o Autor apresenta marcha miopática, força muscular diminuída principalmente proximal, com piora progressiva, com dificuldade para algumas atividades diárias.

2. Dessa forma, foi prescrito ao Requerente o uso de **alfa-avalglicosidase 100mg** (Nexviazyme®) 20mg/kg, a cada duas semanas (624 frascos/ ano), terapia de reposição enzimática, que deve ser continuada para toda a vida. O médico assistente relatou ainda que existe alternativa terapêutica com alfa-avglicosidase (Myozyme®), *no entanto, estudos recentes mostram que o uso a longo prazo de alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®) melhora em 2,43% a capacidade vital forçada, aumenta em 30 metros o teste de caminhada de 6 minutos, além disso, os pacientes que usaram alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®) apresentaram menos efeitos adversos relacionados ao uso do medicamento.*

3. Classificação Internacional de Doenças (CID10) mencionada: **E74.0 - doença de depósito de glicogênio.**

**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 Portaria nº 006/SEMSADC/2022, publicada no Diário Oficial do Município, de 11 de fevereiro de 2022 da Secretaria Municipal de Saúde da Cidade de São Gonçalo dispõe sobre a relação dos medicamentos que farão parte da grade de medicamentos da rede de atenção básica, os quais deverão estar disponíveis nas Unidades Básicas de Saúde, a saber, a REMUME – São Gonçalo.
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. A **doença de Pompe** (DP), também conhecida como glicogenose tipo II ou deficiência de maltase ácida é uma doença genética rara, de acometimento neuromuscular progressivo e frequentemente fatal nas formas mais graves, causada por variantes patogênicas bialélicas no gene GAA, localizado no cromossomo 17q25.2-q25.3. Em consequência, existe atividade deficiente da alfa glicosidase ácida (sinônimo: maltase ácida), enzima lisossômica que libera glicose a partir do glicogênio, conforme a demanda de energia celular. A deficiência dessa enzima leva a um acúmulo de glicogênio dentro dos lisossomos e do citoplasma de múltiplos tecidos, incluindo a musculatura lisa, esquelética e cardíaca. Esse acúmulo acaba danificando o funcionamento celular e destruindo as células, por hipertrofia e ruptura dos lisossomos. Associa-se a esse processo fisiopatológico um acúmulo do material a ser processado pelas vias autofágicas. Como regra, a atividade enzimática correlaciona-se com a idade de início e a taxa de progressão da doença,



sendo algumas variantes responsáveis por ausência de atividade enzimática e resultando na DP de início precoce, infantil ou clássica - a forma mais grave da doença<sup>1</sup>.

### **DO PLEITO**

1. **Alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>) é indicado para terapia de reposição enzimática de uso prolongado, para o tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado da doença de Pompe (deficiência da alfa-glicosidase ácida)<sup>2</sup>.

### **III – CONCLUSÃO**

1. Trata-se de Autor com solicitação de **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>), com diagnóstico de **Doença de Pompe**, 36 anos de idade, em torno de 25 anos início dos sintomas com dificuldade motora, progressiva (**DP tardia**).

2. Isto posto, informa-se que o medicamento pleiteado **Alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>) **possui indicação** prevista em bula<sup>2</sup> para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.

3. No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do município de São Gonçalo e Estado do Rio de Janeiro.

4. Elucida-se que o medicamento pleiteado **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>), até o momento, **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)<sup>3</sup> para o tratamento da **Doença de Pompe**.

5. Para o tratamento da **Doença de Pompe**, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)<sup>1</sup>, aprovado através da Portaria Conjunta nº 12, de 03 de agosto de 2020, preconizou o seguinte fármaco: alfa-avalglicosidase 50mg. Entretanto, o Autor 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-avalglicosidase.

6. Acrescenta-se que o medicamento alfa-avalglicosidase encontra-se em análise pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para a terapia de reposição enzimática para tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Pompe de início tardio (DPIT).

7. Dessa forma, até o momento **não existem terapias medicamentosas específicas disponíveis no SUS para a forma tardia da doença** (caso do Autor).

8. Acrescenta-se ainda que a **doença de Pompe** também conhecida como glicogenose tipo II ou deficiência de maltase ácida é uma doença genética rara, de acometimento neuromuscular progressivo e frequentemente fatal nas formas mais graves<sup>4</sup>. Nesse sentido, o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as

<sup>1</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta nº 12, de 03 de agosto de 2020. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Pompe. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/protocolo\\_uso/portaria-conjunta-pcdt-doena-de-pompe10-08-2020.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/protocolo_uso/portaria-conjunta-pcdt-doena-de-pompe10-08-2020.pdf)>. Acesso em: 04 set. 2023.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Alfa-avalglicosidase (Nexviazyme<sup>®</sup>) por Sanofi Medley Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351006101202178/?nomeProduto=Nexviazyme>>. Acesso em: 04 set. 2023.

<sup>3</sup> 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: 04 set. 2023.

<sup>4</sup> GOVERNO DO ESTADO DE SÃO PAULO. Fibrose Cística - Mucoviscidose. Secretaria de Estado de Saúde. Disponível em: <[https://www.prefeitura.sp.gov.br/cidade/secretarias/upload/saude/publ\\_Estado\\_3.pdf](https://www.prefeitura.sp.gov.br/cidade/secretarias/upload/saude/publ_Estado_3.pdf)>. Acesso em: 04 set. 2023.



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 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.

9. 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 raras<sup>6</sup>. Tal PCDT foi descrito no item 5.

10. Adicionalmente, informa-se que o medicamento **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>) **possui registro ativo** na Agência Nacional de Vigilância de Sanitária (Anvisa).

11. No que concerne ao valor do pleito **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme<sup>®</sup>), 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>.

12. 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 contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

13. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **Alfa-avalglicosidase 100mg** (Nexviazyme<sup>®</sup>) – 1 frasco-ampola – possui PF R\$ 5813,22 e PMVG R\$ 4561,63, para o ICMS de 20%<sup>9</sup>.

**É o parecer.**

**À 2ª Vara Federal de São Gonçalo, 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

<sup>5</sup>BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<[http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 04 set. 2023.

<sup>6</sup>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. Maio/2015. Disponível em:

<[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio\\_pcdt\\_doenasraras\\_cp\\_final\\_142\\_2015.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf)>. Acesso em: 04 set. 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: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed>>. Acesso em: 04 set. 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: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/compras-publicas/lista-de-precos-maximos-para-compras-publicas>>. Acesso em: 04 set. 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\\_pmvvg\\_2023\\_02\\_v2.pdf/@download/file/lista\\_conformidade\\_pmvvg\\_2023\\_02\\_v2.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_pmvvg_2023_02_v2.pdf/@download/file/lista_conformidade_pmvvg_2023_02_v2.pdf)>. Acesso em: 04 set. 2023.