



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº1332/2023

Rio de Janeiro, 26 de setembro de 2023.

Processo nº 5009350.43.2023.4.02.5103,
ajuizado por

representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **4ª Vara Federal** de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Atalureno** (Translarna™).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos (Evento 1_LAUDO9 e 10, pág. 1) e (Evento 1_RECEIT11, pág. 1), emitidos em 31 de julho de 2023, pela médica em impresso próprio, o Autor, 14 anos, acompanhado no ambulatório de neuropediatria por diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne (DMD)**, confirmado por teste molecular onde foi encontrada variante patogênica *stop códon no éxon 9 (mutação nonsense)*, no gene DMD. Apresenta perda progressiva de força muscular em múltiplos órgãos, além disso possui um déficit intelectual leve associado. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia muscular**, e prescrito, o medicamento:

- **Atalureno** (Translarna™): 250mg (dar 1 sachê de pela manhã, 1 sachê a tarde e 3 sachês a noite); 125mg (dar 1 sache pela manhã, 1 sachê a tarde e 1 sachê a 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.
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. No tocante ao Município de Campos dos Goytacazes, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos – REMUME - Campos dos Goytacazes 2016.
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. As **distrofias musculares** são um grupo de distúrbios caracterizados por fraqueza e atrofia muscular de origem genética que ocorre pela ausência ou formação inadequada de proteínas essenciais para o funcionamento da fisiologia da célula muscular, cuja característica principal é o enfraquecimento progressivo da musculatura esquelética, prejudicando os movimentos¹. A **Distrofia Muscular de Duchenne** é uma doença genética hereditária rara, onde o defeito está no cromossoma X, por isto só afeta o sexo masculino. Defeito encontra-se na falta da produção da proteína Distrofina. Existem várias mutações e deleções que podem causar a Síndrome. O diagnóstico da Distrofia Muscular de Duchenne é inicialmente clínico, os sintomas iniciam com 2 ou 3 anos de idade com fraqueza muscular ascendente e progressiva. A lesão da musculatura

¹BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca virtual em saúde. Distrofia Muscular. Disponível em: < <http://bvsm.s.saude.gov.br/dicas-em-saude/2194-distrofia-muscular>>. Acesso em: 26 set. 2023.



cardíaca leva a fibrose e miocardiopatia. Existem testes genéticos que identificam as mutações relacionadas a Doença².

2. A **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma forma rapidamente progressiva de distrofia muscular. É causada por uma alteração (mutação) em um gene, chamado gene de DMD, responsável por codificar a proteína muscular distrofina, que pode ser herdado nas famílias de forma recessiva, ligada ao X, e ocorre frequentemente nas pessoas sem uma história familiar conhecida. Indivíduos que têm DMD têm perda progressiva da função muscular e fraqueza, por não produzirem a distrofina em seus músculos³.

DO PLEITO

1. O **Atalureno** (Translarna™) permite a produção de distrofina e ajuda os músculos a trabalhar adequadamente. Está 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 masculino⁴.

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Atalureno** (Translarna™) **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula**² para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor **distrofia muscular de Duchenne** com variante patogênica **mutação nonsense**, conforme relato médico.

2. No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que o **Atalureno** (Translarna™) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Campos dos Goytacazes e do Estado do Rio de Janeiro.

3. O medicamento pleiteado **Atalureno** (Translarna™) até o momento **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)⁵.

4. Considerando o caso em tela, informa-se que no momento **não há publicado** pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁶ para **distrofia muscular de**

²BRASIL. Ministério da Saúde. Nota Técnica N° 28/2018. Atrofia Muscular de Duchenne. Medicamento Atalureno – Translarna. Disponível em:

<https://sei.saude.gov.br/sei/documento_consulta_externa.php?id_acesso_externo=26156&id_documento=3454757&infra_hash=9181c9ce2ef239904319446ed8f8bd5e>. Acesso em: 26 set. 2023.

³CENTRO COLABORADOR DO SUS: AVALIAÇÃO DE TECNOLOGIAS E EXCELÊNCIA EM SAÚDE – CCATES. Síntese de Evidências – Ataluren para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, 2017. Disponível em:

<https://docs.bvsalud.org/biblioref/2018/08/909250/pub_1496927514.pdf>. Acesso em: 26 set. 2023.

⁴Bula do medicamento Atalureno (Translarna™) por PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em:

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRANSLARNA>>. Acesso em: 26 set. 2023.

⁵BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas.

Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 26 set. 2023.

⁶BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 26 set. 2023



Duchenne, e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.**

5. Elucida-se ainda, que **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma doença rara. Segundo pesquisas a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos⁷. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde 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 SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁸ 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.

6. 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 raras⁹. Contudo, reitera-se que **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁶ publicado para o manejo da **distrofia muscular de Duchenne**.

7. Não há cura para a **distrofia muscular de Duchenne**, e as intervenções são baseadas na prevenção e tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides. O Consenso Brasileiro sobre Distrofia Muscular de Duchenne recomenda que a terapia com corticosteróides seja iniciada, preferencialmente, na fase de platô dos déficits motores, a partir dos 2 anos de idade. Os autores sugerem que nesta fase, especialmente entre 2 e 3 anos, o uso dessa medicação deve ser discutido com a família devido a possibilidade de comprometimento funcional, com prejuízos na aquisição de habilidades motoras. Apesar de ser amplamente prescritos, alguns pacientes não respondem de forma satisfatória ao tratamento com corticosteróides, enquanto outros não toleram o seu uso crônico devido ao aparecimento de efeitos adversos que vão desde alterações hormonais a obesidade e redução da tolerância à glicose, e outras reações adversas já bem documentadas com o uso prolongado desses fármacos. O tratamento sintomático ainda inclui o uso de inibidores da enzima conversora da angiotensina (ECA) com ou sem betabloqueadores para cardiomiopatia; diuréticos e oxigênio para insuficiência cardíaca congestiva; transplante cardíaco para pessoas com cardiomiopatia dilatada grave; órtese e cirurgia para correção da escoliose; além de outras intervenções adequadas ao quadro clínico do paciente. Abordagens para o tratamento específico da DMD também estão sendo exploradas, tornando o panorama terapêutico para crianças mais promissor. Entre essas abordagens está o medicamento oral **Ataluren** (TranslarnaTM)¹⁰.

⁷MORAES, R.M. et al. I ntervenções fisioterapêuticas na distrofia muscular de duchenne: revisão de literatura. Brazilian Journal of Health Review, Curitiba, v.4, n.2, p. 5182-5194 mar./apr2021. Disponível em:

<<https://www.brazilianjournals.com/index.php/BJHR/article/view/26169/20797>>. Acesso em: 26 set. 2023.

⁸BRASIL, 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>. Acesso em: 26 set. 2023.

⁹CONITEC. 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. Março/2015. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 26 set. 2023.

¹⁰CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Monitoramento do horizonte tecnológico. 03/2022.

Medicamentos para tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Brasília, abril de 2022. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2022/informemht_distrofiamuscularduchene.pdf>. Acesso em: 26 set. 2023.



8. No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser comercializado no país 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)¹¹.

9. De acordo com publicação da CMED¹², 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 CMED o medicamento **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) com 30 envelopes possui preço de fábrica R\$ 24.803,11 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 19.463,00; **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) com 30 envelopes possui preço de fábrica R\$ 49.606,61 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 38.926,31, para o ICMS de 20%¹³.

É o parecer.

À 4ª Vara Federal de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS

Farmacêutica
CRF-RJ 14680
ID. 4459192-6

MILENA BARCELOS DA SILVA

Farmacêutica
CRF- RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

¹¹BRASIL 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/cmed/precos>>. Acesso em: 26 set. 2023.

¹²BRASIL 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/cmed/precos/arquivos/pdf_conformidade_gov_20230912_083151803.pdf>. Acesso em: 26 set. 2023.