



## **PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1432/2023**

Rio de Janeiro, 09 de outubro de 2023.

Processo nº 5010202-25.2023.4.02.5117,  
ajuizado 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 **Algasidase Alfa** ou **Algasidase Beta**.

### **I – RELATÓRIO**

1. De acordo com documentos médicos do Hospital Universitário Gaffrée e Guinle (Evento 1, ANEXO2, Páginas 11 e 15), emitido em 13 de outubro de 2023, pela médica geneticista a Autora, foi encaminhada para a genética médica após diagnóstico de doença de Fabry em seus familiares. É filha de casal não consanguíneo. Por conta da história familiar, Renata foi investigada e o exame mostrou que apresenta a mesma mutação familiar no gene GLA (c.454T>G). A Autora refere que desde a infância apresenta intolerância ao exercício, ao frio e tem alteração de sudorese. O exercício físico ocasiona mal-estar e aquecimento excessivo por conta da dificuldade de sudorese. Refere também acroparestesia e dor em membros, especialmente extremidades. Faz uso de topiramato e amitriptilina para tratamento de dor e de migrânea. Refere que em 2016 teve pico hipertensivo e dor torácica, tendo sido internada e na investigação teve diagnóstico de infarto. Não tivemos acesso aos exames da época. Realizou dosagem de proteína em amostra de urina isolada que estava dentro da normalidade. O ecocardiograma, eletrocardiograma e holter realizados em 2020 não mostravam alterações. Audiometria realizada em 2022 não mostrava alterações e ainda não conseguiu realizar ressonância nuclear magnética de crânio. O quadro clínico e a história familiar sugerem tratar-se de forma clássica de **doença de Fabry**. Por ter crises de dor, acroparestesia e alteração de sudorese há indicação de iniciar tratamento com terapia de reposição enzimática.

2. Foi prescrito **Algasidase Alfa** – dose 0,2mg/kg de peso, dose total por infusão 10,4mg **ou** **Algasidase Beta** dose 1mg/kg de peso, dose total por infusão 52mg; uma infusão intravenosa a cada 15 dias.

### **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 007 de 25 de janeiro de 2018 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 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  $\alpha$ -galactosidase A ( $\alpha$ GAL-A). A falha da  $\alpha$ GAL-A afeta todo o organismo devido ao acúmulo de glicoesfingolipídios, principalmente o globotriaosilceramida (GL-3 ou Gb3). 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. Na maioria dos casos de DF, na idade adulta os pacientes desenvolvem doença renal e cardíaca graves. O acometimento dos podócitos nos glomérulos renais leva a proteinúria e hematúria, geralmente detectadas na adolescência<sup>1</sup>.

---

<sup>1</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 20, de 06 de dezembro de 2021. Aprova as Diretrizes Brasileiras para 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](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/diretrizes/20211230_portal-portaria-conjunta-no-20_diretrizes_doenca-de-fabry.pdf)>. Acesso em: 09 out. 2023.



## DO PLEITO

1. **Alfagalsidase** catalisa a hidrólise de Gb3, clivando um resíduo galactose terminal da molécula. O tratamento com a enzima demonstrou reduzir o acúmulo de Gb3 em muitos tipos de células, incluindo células endoteliais e parenquimatosas. Está indicado para terapia crônica de reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Fabry<sup>2</sup>.
2. **Beta-agalsidase** (Fabrazyme®) está indicado para o uso no tratamento de longo prazo da reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Fabry<sup>3</sup>.

## III – CONCLUSÃO

1. Cumpre informar que os medicamentos **Alfagalsidase** e **Beta-agalsidase** (Fabrazyme®) estão indicados em bula<sup>2</sup> ao manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – **doença de Fabry**, conforme relato médico.
2. Ressalta-se que conforme documento médico a Autora deverá fazer uso de apenas um dos medicamentos: Alfagalsidase ou Beta-agalsidase.
3. No que tange à disponibilização pelo SUS, insta mencionar que a **Alfagalsidase** e a **Beta-agalsidase não integram** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de São Gonçalo e do Estado do Rio de Janeiro.
4. Considerando o caso em tela, informa-se que o Ministério da Saúde publicou a Portaria Conjunta N° 20, de 06 de dezembro de 2021<sup>1</sup>, a qual dispõe as **Diretrizes Brasileiras para Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry**.
5. Segundo a referida Diretriz, o tratamento específico, direcionado à causa primária da **Doença de Fabry** baseia-se na terapia de reposição enzimática (TRE) com a enzima recombinante da  $\alpha$ GAL-A. Atualmente, duas formas de enzimas recombinantes estão disponíveis comercialmente com registro na Anvisa: **alfa-agalsidase** e **beta-agalsidase**.
6. Conforme observado em consulta ao sítio eletrônico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC) o medicamento **Beta-agalsidase** encontra-se em análise para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes com oito anos de idade ou mais<sup>4</sup>.
7. Quanto ao medicamento **alfagalsidase** foi incorporado ao SUS para o tratamento da **doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde**<sup>5</sup>, conforme Portaria SECTICS/MS N° 26, de 18 de maio de 2023.
8. No entanto, acrescenta-se que, de acordo com o Decreto n° 7.646, de 21 de dezembro de 2011<sup>6</sup>, há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta

<sup>2</sup>Bula do medicamento Alfagalsidase (Replagal®) por Takeda Pharma Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Replagal>>. Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>3</sup>Bula do medicamento Beta-agalsidase (Fabrazyme®) por Sanofi Medley Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=FABRAZYME>>. Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>4</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: 09 out. 2023.

<sup>5</sup> Diário Oficial da União. Portaria SECTICS/MS N° 26, de 18 de maio de 2023. Torna pública a decisão de incorporar, no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS, a alfagalsidase para o tratamento da doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Disponível em: [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2023/20230522\\_portaria\\_dou\\_26.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/portaria/2023/20230522_portaria_dou_26.pdf). Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>6</sup> Decreto n° 7.646, de 21 de dezembro de 2011 - Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de



desse medicamento no SUS. Portanto, o medicamento **alfagalsidase** ainda não está disponível para o tratamento de pacientes com doença de Fabry clássica em pacientes a partir dos sete anos de idade, no SUS, no âmbito do Município de São Gonçalo e do Estado do Rio de Janeiro.

9. Ressalta-se que, conforme observado em consulta ao sítio eletrônico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da doença de Fabry encontra-se em atualização<sup>7</sup>.

10. O tratamento da **doença de Fabry** é complexo e requer equipe multidisciplinar constituída por clínicos, dermatologistas, neurologistas, cardiologistas, nefrologistas e geneticistas experientes no assunto<sup>1</sup>. No entanto, não existe tratamento curativo para a doença<sup>8</sup>.

11. 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. Dessa forma, vale esclarecer que até o momento não há alternativa terapêutica no SUS à classe dos fármacos pleiteados (terapia de reposição enzimática).

12. Os medicamentos **Alfagalsidase** ou **Beta-agalsidase** possuem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

13. Acrescenta-se ainda, que a **Doença de Fabry** (DF) é uma doença rara<sup>9</sup>. Relata-se a incidência de indivíduos homizigotos para a DF como sendo 1 para cada 117.000 indivíduos<sup>1</sup>. 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 Raras<sup>10</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.

14. 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)<sup>11</sup>.

15. De acordo com publicação da CMED<sup>7</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**

---

Saúde - SUS, e dá outras providências. Disponível em: < [http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm)>. Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>7</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. PCDT em elaboração. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>8</sup> 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](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2018/sociedade/20201231_resoc87_algasidase_fabry.pdf)>. Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>9</sup> BOGGIO, P., et al. Doença de Fabry. Anais Brasileiros de Dermatologia, v.84, n.4, Rio de Janeiro, 2009. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0365-05962009000400008&script=sci\\_arttext](http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0365-05962009000400008&script=sci_arttext)>. Acesso em: 09 out. 2023.

<sup>10</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <[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: 09 out. 2023.

<sup>11</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/cmec> >. Acesso em: 09 out. 2023.



(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.

16. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED para o ICMS 20%<sup>7</sup>:

- **Alfagalsidase 1mg/mL** possui preço de fábrica R\$ 7.725,04 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 6.061,84;
- **Beta-agalsidase (Fabrazyme®) 35mg/20mL** possui preço de fábrica R\$ 16.697,96 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 13.102,89.

**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