



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1558/2023

Rio de Janeiro, 1º de novembro de 2023.

Processo nº 5013057-71.2023.4.02.5118,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **2ª Vara Federal de Duque de Caxias**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **ivacaftor 150mg** (Kalydeco®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Hospital Universitário Pedro Ernesto (Evento 1, LAUDO7, Página 1- 4) emitidos em 15 de setembro de 2023 pelo médico o Autor, 27 anos, possui diagnóstico de **fibrose cística** (CID-10 E84.8) desde a infância com cloro no suor > 80 mmol/L, e pesquisa genética com detecção das variantes **3849+10kbC>T / G542X**. O Autor apresenta exacerbações pulmonares frequentes com necessidade de internação e múltiplos cursos de antibióticos intravenosos ao longo dos últimos anos. Após um episódio grave de exarcebação, em novembro de 2021, tornou-se dependente de suplementação de oxigênio contínua. Apresenta bronquiectasias difusas na tomografia computadorizada do tórax (08/02/2023), associadas a espessamento brônquico e áreas de impaction mucoide, o que demonstra a progressão da doença e o claro dano aos pulmões, tendo a necessidade de fisioterapia diária e uso das medidas para higiene brônquica. Apresenta dispnéia aos pequenos esforços (em uso de oxigênio), já com impacto para as suas atividades de vida diária. Possui alteração na função pulmonar caracterizado por distúrbio obstrutivo de grau grave com VEF1-21% do predito (espirometria 07/07/2023), sendo que nos últimos 2 anos apresentou uma perda significativa da função pulmonar. A evolução do quadro clínico demonstra claramente ausência de resposta significativa e a ineficácia do atual tratamento disponível pela SUS, além disso apresenta outras complicações graves relacionadas a FC, incluindo insuficiência pancreática exócrina com dificuldade de absorção de nutrientes, ganho de peso e osteopenia. Nesse contexto, atualmente apresenta infecção crônica das vias aéreas por *Pseudomonas aeruginosa* (sem resposta as tentativas de erradicação da bactéria) que está associada a um declínio exponencial da sua função pulmonar, apresentando ainda colonização crônica das vias aéreas por *Staphylococcus aureus*, *Stenotrophomonas maltophilia*, *Serratia marcescens* e *Aspergillus sp.*

2. Faz uso regular crônico de todos os medicamentos disponíveis pelo SUS para tratamento da doença de base, atualmente faz uso diário de dornase alfa inalada 2x/dia, tobramicina inalatória 2x/dia, nebulização com solução salina hipertônica a 7% 2x/dia, reposição de enzimas pancreáticas, reposição de vitaminas e suplementos nutricionais, lavagem nasal, e fisioterapia respiratória. E ainda necessita do uso contínuo de azitromicina 3x por semana para imunomodulação da inflamação crônica das vias aéreas. Desde julho de 2022 está em acompanhamento no programa de transplante pulmonar no Instituto Nacional de Cardiologia RJ no qual faz regularmente reabilitação pulmonar.

3. Dessa forma, foi prescrito ao Autor o medicamento **ivacaftor 150mg** (Kalydeco®) – um comprimido de 12 em 12 horas.



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 Duque de Caxias, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME - Duque de Caxias, publicada no Portal da Prefeitura de Duque de Caxias, <<http://www.duquedecaxias.rj.gov.br/portal>>.
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 **fibrose cística (FC)** é uma doença genética com acometimento multissistêmico e impacto significativo na qualidade e na expectativa de vida dos pacientes. Estima-se que existam mais de 90.000 doentes de FC no mundo, e a incidência no Brasil é variável. Cerca de 6.000 pacientes estão atualmente cadastrados no Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC), base de dados proveniente da atuação de profissionais da saúde de mais de 50 centros de referência (CR) distribuídos pelo País. A fisiopatologia da FC decorre de variantes patogênicas em ambos os alelos do gene CFTR, codificador da proteína CFTR, um canal de cloreto e bicarbonato presente na superfície apical das células epiteliais do organismo e que bombeia substratos de forma ativa através das membranas. Defeitos na sua síntese ou função resultam em manifestações clínicas



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

variáveis, incluindo insuficiência pancreática exócrina e má absorção de nutrientes, doença pulmonar crônica progressiva, risco aumentado de desidratação e distúrbios metabólicos, com redução significativa da expectativa de vida dos pacientes. Existem mais de 2.000 mutações identificadas no gene CFTR, registradas na base de dados *Cystic Fibrosis Mutation Database*. Essas mutações são classificadas conforme o tipo de defeito que causam na proteína CFTR (maior ou menor expressão ou alteração de sua função nas células epiteliais). As mutações do gene CFTR são categorizadas em seis classes distintas: Classe I (produção); Classe II (processamento) - síntese de uma proteína imatura, com pouca ou nenhuma proteína na membrana apical. Nesta classe, a mutação mais frequente é a Phe508del; Classe III (regulação); Classe IV (condução); Classe V (síntese reduzida); e Classe VI (degradação acelerada)¹.

DO PLEITO

1. O **ivacaftor** (Kalydeco®) é indicado para o tratamento de fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais, pesando 25 kg ou mais que tenham mutação R117H no gene regulador da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR) ou que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III) no gene regulador da CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R².

III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autor, 27 anos, com diagnóstico de **fibrose cística** com solicitação de uso do medicamento **ivacaftor** (Kalydeco®).

2. Informa-se que o medicamento pleiteado **ivacaftor 150mg** (Kalydeco®) **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância de Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula**² para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor – **fibrose cística**, conforme relato médico.

3. No que tange à disponibilização, o medicamento **ivacaftor** (Kalydeco®) é **padronizado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), aos pacientes que perfaçam os critérios de inclusão descritos no **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da fibrose cística**¹, (Portaria Conjunta N° 25, de 27 de dezembro de 2021), bem como ao disposto na Portaria de Consolidação n°2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelece as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS.

4. Em consulta realizada no Sistema Nacional da Assistência Farmacêutica – HÓRUS, verificou-se que o Demandante **efetuou cadastrado** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para o recebimento do medicamento **ivacaftor 150mg**, **status em dispensação**.

5. Acrescenta-se ainda que a **Fibrose Cística** é uma doença **genética rara**, crônica e progressiva³. Nesse sentido, 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**⁴ tem como objetivo

¹BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 25, de 27 de dezembro de 2021. Disponível em: < https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf >. Acesso em: 1º nov. 2023.

²Bula do medicamento ivacaftor (Kalydeco®) por Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/detalhe/1274279?nomeProduto=KALYDECO> >. Acesso em: 1º nov. 2023.

³GOVERNO DO ESTADO DE SÃO PAULO. Fibrose Cística - Mucoviscidose. Secretaria de Estado de Saúde. Disponível em: < <https://www.saude.sp.gov.br/ses/perfil/profissional-da-saude/homepage/outros-destaques/fibrose-cistica-mucoviscidose> >. Acesso em: 1º nov. 2023.

⁴BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria n° 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível: < http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html >. Acesso em: 1º nov. 2023.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. 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 Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)⁵.

7. De acordo com publicação da CMED⁶, 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 n.º 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.

8. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se⁷: **ivacaftor 150mg** (Kalydeco®) blister com 56 comprimidos – possui preço de fábrica correspondente a R\$ 112.903,03 e o preço máximo de venda ao governo correspondente a R\$ 88.595,01.

É o parecer.

À 2ª Vara Federal de Duque de Caxias, 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

⁵BRASIL 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: 1º nov. 2023.

⁶BRASIL. 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>. Acesso em: 1º nov. 2023.

⁷BRASIL 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>. Acesso em: 1º nov. 2023.