



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL N° 1693/2023

Rio de Janeiro, 06 de dezembro de 2023.

Processo nº 5112332-44.2023.4.02.5101,
ajuizado por
representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **1ª Vara Federal de Itaperuna**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **voretigeno neparvoveque** (Luxturna®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos do Instituto Genética Ocular (Evento 1, LAUDO14, Página 1), emitidos em 06 de setembro de 2023, pela médica o Autor, 14 anos, apresenta diagnóstico de **amaurose congênita de Leber relacionada ao gene RPE65 de forma bialélica**. Sua acuidade visual com correção e medida em tabela de optotipos de Snellen: 20/150 em OD e 20/400 em OE usando a correção OD= -2,00/ -1,00 à 25° e OE= -1,50/-0,50 a 180. Apresenta nistagmo e estrabismo com desvio no olhar superior. O segmento anterior está normal em ambos os olhos. O resultado do exame de Exoma realizado pelo laboratório DNA Consult em 2016 revelou uma variante em homozigose (2 cópias, bialélicas) no gene RPE65 c.1022T>C p.Leu341Ser (rs61752909). Esta variante foi classificada como definitivamente patogênica. O diagnóstico foi conclusivo para amaurose congênita de Leber. Trata-se de uma **distrofia de retina grave** de aparecimento na infância e no caso do requerente é relacionada a variante bialélica no gene RPE65. O problema lhe acarreta nictalopia e baixa visão em decorrência do campo reduzido, conforme exame anexo. Estas alterações limitam suas atividades diárias. Tem feito atividades de reabilitação na Apae para aprender a conviver com sua deficiência visual. É usuário de bengala verde para deambulação em locais pouco iluminados. O paciente apresenta indicação para tratamento com terapia gênica. Ao exame de tomografia de coerência óptica nota-se boa quantidade de células na retina aptas a receberem o tratamento com **voretigeno neparvoveque**.

2. Foi prescrito ao Autor o medicamento **voretigeno neparvoveque** (Luxturna®) para uso médico em cirurgia nos dois olhos, uma caixa para cada olho. Será usado em cirurgia de vitrectomia via pars plana.

3. Classificações Internacional de Doenças (CID-10), citadas: H35.5 – Outros descolamentos da retina; H53.4 - Defeitos do campo visual; H53.6 - Cegueira noturna e H54.1 - Cegueira em um olho e visão subnormal em outro.

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 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 hereditárias da retina** (DHRs) representam um grupo de doenças raras que afetam a visão e podem se apresentar com diferentes sinais e sintomas. Em geral, são caracterizadas pela perda das características e funções originais da retina de forma lenta e gradual, e estão frequentemente associadas à cegueira. Dentre os diversos tipos de DHRs, destacam-se aquelas relacionadas a **mutações** herdadas de ambos os pais no **gene RPE65**, que é a proteína responsável pela regeneração das substâncias ativas necessárias à absorção da luz na retina. Essa mutação pode levar ao desenvolvimento de duas das principais DHRs: **amaurose congênita de Leber (ACL)** e retinite pigmentosa ou retinose pigmentar (RP). Tratam-se de patologias que acometem principalmente os olhos de crianças e adultos jovens, cuja nictalopia (dificuldade de enxergar à noite) representa a primeira manifestação clínica, a qual progride para a perda da visão periférica (visão tubular) e com grande potencial de evoluir para cegueira ¹.

¹CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de recomendação Voretigêno neparoveque para distrofia hereditária da retina mediada por mutação bialélica no gene RPE65. Nº 664 setembro de 2021. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210927_relatorio_664_voretigeno_neparoveque_dhr_final.pdf>. Acesso em: 06 dez. 2023.



DO PLEITO

1. **Voretigeno Neparvoveque (Luxturna®)** é um vetor de transferência gênica que utiliza um capsídeo de vetor viral adenoassociado sorotipo 2 (AAV2) como veículo de transporte do cDNA da proteína do epitélio pigmentado. É indicado para o tratamento de pacientes adultos e pediátricos com perda de visão devido à distrofia hereditária da retina causada por mutações bialélicas do RPE65 confirmadas e que tenham suficientes células retinianas viáveis².

III – CONCLUSÃO

1. Refere-se ao Autor, 14 anos, com diagnóstico de **amaurose congênita de Leber relacionada ao gene RPE65 de forma bialélica**, com boa quantidade de células na retina aptas a receberem o tratamento com voretigeno neparvoveque. Sendo solicitado tratamento com o medicamento **voretigeno neparvoveque (Luxturna®)**.

2. Diante ao exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **voretigeno neparvoveque (Luxturna®)** possui **indicação prevista em bula²** para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor.

3. No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado insta mencionar que **voretigeno neparvoveque (Luxturna®)** **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Bom Jesus de Itabapoana e do Estado do Rio de Janeiro.

4. A Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, após a avaliação das evidências científicas com relação ao uso do **voretigeno neparvoveque** para o tratamento da **distrofia hereditária da retina mediada por mutação bialélica no gene RPE65**, recomendou **não incorporar** este medicamento no âmbito do SUS³.

5. A comissão considerou a incorporação da tecnologia com os indicadores de eficiência apresentados e estimativa de impacto orçamentário vultoso não contribuiria para a sustentabilidade do SUS e viabilidade de oferta da tecnologia¹.

6. Salienta-se que como não há cura para as distrofias hereditárias da retina mediadas por mutação no gene RPE65. O tratamento de suporte consiste em retardar a progressão da doença, evitar complicações, propor estratégias terapêuticas para melhorar o uso da visão residual e até mesmo restaurar alguma visão, quando possível¹.

7. Elucida-se ainda, que a amaurose congênita de Leber é uma doença **rara**, cuja prevalência é estimada em 1/ 100.000⁴. 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 Raras⁵** 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,

² Bula do medicamento Voretigeno Neparvoveque (Luxturna®) por Novartis Biociências S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=LUXTURNA>>. Acesso em: 06 dez. 2023.

³ Ministério da Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos. Portaria nº 86, de 24 de dezembro de 2018. Torna pública a decisão de não incorporar o nintedanibe para o tratamento da fibrose pulmonar idiopática (FPI) no âmbito do Sistema Único de Saúde - SUS. Disponível em: < <https://pesquisa.bvsalud.org/porta/portal/resource/pt/biblio-997485>>. Acesso em: 06 dez. 2023.

⁴ Retina Brasil. Mutações bialélicas no gene RPE65. Disponível em: <https://retinabrasil.org.br/mutacoes-bialelicas-no-gene-rpe65/#:~:text=Preval%C3%Aancia%20dessas%20distrofias%20de%20retina&text=J%C3%A1%20a%20preval%C3%Aancia%20da%20Amaurose,afetados%20em%20100%20mil%20pessoas>. Acesso em: 06 dez. 2023.

⁵ BRASIL, 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: 06 dez. 2023.



por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.

8. 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 raras⁶. Para a amaurose congênita de Leber, até o momento, **não há publicado** pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁷. Assim, **não há uma lista padronizada de tratamentos disponível no SUS.**

9. O medicamento **voretigeno neparvoveque** (Luxturna[®]) apresenta registro da Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

10. 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)**⁸.

11. De acordo com publicação da CMED¹⁰, 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.

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o **voretigeno neparvoveque** (Luxturna[®]) 5X10¹²GV/ML solução frasco X 0,5ML + 2 SOL DIL X 1,7 ML possui preço de fábrica R\$ 3.113.162,53 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 2.442.898,64 para o ICMS 20%.¹⁰

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Itaperuna, 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

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

⁶CONITEC. 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: 06 dez. 2023.

⁷BRASIL. 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: 06 dez. 2023

⁸BRASIL 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: 06 dez. 2023.