



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0119/2024

Rio de Janeiro, 30 de janeiro de 2024.

Processo nº 5000174.88.2024.4.02.5108,
ajuizado por

representada por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **2ª Vara Federal** de São Pedro da Aldeia, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto aos medicamentos **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos Hospital Universitário Pedro Ernesto (Evento 1_OUT3, págs. 1 a 4), emitidos em 22 de novembro de 2023, pela neurologista a Autora, 11 anos, tem o diagnóstico de **narcolepsia**. Já fez uso de vários medicamentos como estimulantes do sistema nervoso central: Metilfenidato, Modafinila, Amordafinila, Lisdexanfetamina, Cafeína - sem melhora significativa dos sintomas de sonolência. Para controle dos sintomas de humor utilizou a Fluoxetina. Sendo prescrito, os medicamentos: **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®) – tomar 1,5g no início do sono e depois 1,5g a cada 4 horas após a primeira dose (2 meses de tratamento) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®) – iniciar tratamento com 1 comprimido ao dia, aumentar pra 2 comprimidos em 2 semanas (tratamento contínuo e por tempo indeterminado). Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G47.4 – Narcolepsia e cataplexia**.

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 importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, é autorizada por meio da RDC nº 208, de 05 de janeiro de 2018.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **narcolepsia** trata-se uma de condição clínica caracterizada por necessidade súbita e incontrolável de dormir ou presença de “lapsos” de sono, que costumam estar associados a alterações na arquitetura do sono e a manifestações dissociativas do sono REM, como paralisia do sono, alucinações hipnagógicas ou hipnopômpicas e **cataplexia**. A rápida transição para o sono REM é a principal característica observada nas pessoas com narcolepsia. Achados polissonográficos também mostram encurtamento da latência para o início do sono, sono fragmentado por microdespertares, aumento do tempo acordado após o início do sono e diminuição da eficiência de sono. Apesar disso, o tempo total de sono é igual (ou menor) ao observado nos indivíduos sem a doença. Clinicamente, os pacientes reportam sono superficial e não reparado. Nesta doença crônica de origem hipotalâmica, além dos sintomas relacionados ao sono, os portadores podem ainda manifestar sintomas motores, cognitivos, metabólicos e autonômicos, além dos psiquiátricos e emocionais. Estudos evidenciam que cerca de 57% dos pacientes portadores de narcolepsia apresentam depressão e transtorno de ansiedade. Este conjunto de sintomas e repercussões trazem impacto negativo direto sobre aspectos sociais, profissionais e familiares, comprometendo a qualidade de vida dos pacientes¹.

DO PLEITO

1. O **Oxibato de Sódio** (Xyrem[®]) é um depressor do sistema nervoso central que reduz a sonolência excessiva durante o dia e a cataplexia em doentes com narcolepsia e modifica a arquitetura do sono reduzindo a fragmentação do sono noturno. Está indicado no tratamento da narcolepsia com cataplexia em doentes adultos².
2. O **Pitolisant** (Wakix[®]) é um antagonista/agonista inverso dos recetores H3 da histamina potente e ativo por via oral que, através do bloqueio que exerce nos auto-recetores da histamina aumenta a atividade dos neurónios histaminérgicos do cérebro, um sistema de excitação

¹BACELARA.A; SOSTER.L.S.A. et al. Narcolepsia do diagnóstico ao tratamento. Difusão Editora 1. ed. – São Caetano do Sul, SP, 2021. Disponível em: <https://absono.com.br/wp-content/uploads/2021/05/consenso_absono_narcolepsia_31_mai_2021.pdf>. Acesso em: 30 jan. 2024.

²Resumo das Características do medicamento Oxibato de Sódio (Xyrem[®]) por UCB Pharma Ltd. Disponível em: <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2015/20150908132596/anx_132596_pt.pdf>. Acesso em: 30 jan. 2024.



principal com projeções disseminadas para todo o cérebro. Está indicado em adultos para o tratamento da narcolepsia com ou sem cataplexia³.

III – CONCLUSÃO

1. Refere-se a Autora, 11 anos, diagnóstico de **narcolepsia**, sendo indicado os medicamentos **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®).
2. Destaca-se que os medicamentos pleiteados **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®), atualmente não possuem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme análise no seu banco de dados referente a registro de produtos⁴, logo configuram produtos importados. Os mesmos não integram nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Cabo Frio e do Estado do Rio de Janeiro.
3. Quanto à indicação dos pleitos **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®)² e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®)³ estão indicados ao manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – **narcolepsia com cataplexia**.
4. Convém ressaltar ainda que, está previsto nas bulas^{2,3} dos medicamentos pleiteados **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®), sua utilização é para uso adulto. A segurança e eficácia do oxibato de sódio e pitolisant em crianças com 0 meses a 18 anos de idade não foram ainda estabelecidas. Não existem dados disponíveis. Destaca-se que a Autora nasceu em 13 de setembro de 2022 (Evento 1_COMP2, pág. 1)) e, portanto, apresenta, **11 anos**.
5. Assim, considerando que as bulas aprovadas não abrangem a faixa etária da Autora, e considerando que dados de eficácia e segurança para diversos medicamentos utilizados em crianças são escassos⁵, neste caso, cumprido complementar que cabe ao profissional assistente determinar de acordo com a avaliação individual e sua vivência clínica, a utilização do referido medicamento.
6. Ressalta-se que o registro de medicamentos é um dos meios estabelecidos pela Política Nacional de Medicamentos pelo qual a autoridade sanitária avalia a relevância terapêutica do medicamento, analisa sua segurança e qualidade. Medicamentos ainda sem registro não possuem diretrizes nacionais que orientem seu uso⁶.
7. Considerando que os pleitos **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem®) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix® ou Ozawade®) tratam-se de medicamentos importados, informa-se que a importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, foi atualizada pela **RDC n° 208, de 05 de janeiro de 2018**⁷. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam às exigências sanitárias dispostas na referida

³Resumo das Características do medicamento Pitolisant (Wakix®) por Bioprojet Pharma. Disponível em: <https://ec.europa.eu/health/documents/community-register/2020/20201217149764/anx_149764_pt.pdf>. Acesso em: 30 jan. 2024.

⁴ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária. Consulta de produtos – Medicamentos. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/>>. Acesso em: 30 jan. 2024.

⁵JOSEPH, P. D.; CRAIG, J. C.; CALDWELL, P. H. Y. Clinical trials in children. Br J Clin Pharmacol, v. 79, n. 3, p. 357-369, 2015. Disponível em: <<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC4345947/>>. Acesso em: 30 jan. 2024.

⁶BRASIL. Ministério da Saúde. Política Nacional de Medicamentos, 2001. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf>. Acesso em: 30 jan. 2024.

⁷BRASIL. Imprensa Nacional. Diário Oficial da União. Resolução RDC N° 208, de 05 janeiro de 2018. Disponível em: <https://www.in.gov.br/materia/-/asset_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/do1-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075>. Acesso em: 30 jan. 2024.



portaria e legislação sanitária pertinente. Sendo assim, cabe esclarecer que a aquisição de bens e produtos importados sem registro na ANVISA passa por um processo complexo que exige um determinado tempo, devido aos trâmites legais e sanitários exigidos.

8. Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde ainda não publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁸ que verse sobre a **G47.4 – Narcolepsia e cataplexia** – quadro clínico apresentado pela Autora e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

9. Elucida-se que, no momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município de Cabo Frio e Estado do Rio de Janeiro, não constam alternativas terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos aos medicamentos **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem[®]) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix[®] ou Ozawade[®]).

10. No que concerne ao valor dos medicamentos pleiteados, 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)⁹.

11. Apesar do exposto acima, considerando que os medicamentos pleiteados **Oxibato de Sódio 500mg/mL** (Xyrem[®]) e **Pitolisant 4,5mg** (Wakix[®] ou Ozawade[®]) não possuem registro na ANVISA, deste modo, não tem preço estabelecido pela CMED¹⁰.

É o parecer.

A 2ª Vara Federal de São Pedro da Aldeia, 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

Farmacêutico
CRF-RJ 9714
ID. 4391185-4

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

⁸Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 30 jan. 2024.

⁹BRASIL 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: 30 jan. 2024.

¹⁰BRASIL 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_20240103_180512786.pdf>. Acesso em: 30 jan. 2024.