



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0731/2024.

Rio de Janeiro, 02 de maio de 2024.

Processo nº 5002350-13.2024.4.02.5117,
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 **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com documento médico do Hospital Universitário Pedro Ernesto (Evento 6, LAUDO5, Páginas 1 a 4; Evento 6, RECEIT6, Página 1), emitidos pelo médico em 16 de abril de 2024, o autor, 40 anos, apresenta diagnóstico de **fibrose cística** (CID-10: E84.8), com diagnóstico desde a infância dosagem de íon cloreto elevada e pesquisa genética (sequenciamento do gene CFTR) com mutação **F508del/3772-26A>G**. Consta prescrito ao autor:

- **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg** (Trikafta®) – tomar dois comprimidos pela manhã;
- **Ivacaftor 150 mg** - tomar um comprimido à 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 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).

5. 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.



6. 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.
7. A Portaria no 006/SEMSADC/2022, publicada no Diário Oficial do Município, de 11 de fevereiro de 2022 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.
8. Portaria GM/MS Nº 3.132, de 19 de fevereiro de 2024 altera o Anexo XXXVIII da Portaria de Consolidação GM/MS nº 2, de 28 de setembro de 2017, para instituir a Câmara Técnica Assessora de Doenças Raras - CTA de Doenças Raras, no âmbito do Ministério da Saúde.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **fibrose cística (FC)** é uma doença genética com acometimento multissistêmico. Decorre de variantes patogênicas em ambos os alelos do gene Regulador de Condutância Transmembrana (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator – 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. Existem mais de 2 mil mutações identificadas no gene CFTR registradas na base de dados Cystic Fibrosis Mutation Database. Essas mutações são classificadas em seis classes distintas, conforme o tipo de defeito que causam na proteína CFTR, de maior ou menor expressão ou alteração de sua função nas células epiteliais: Classe I (produção): ausência da proteína ou proteína truncada, levando à perda completa ou quase completa da função da proteína CFTR; 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): a regulação é defeituosa e a proteína não pode ser ativada, apesar de haver expressão de CFTR; Classe IV (condução): a condutância do cloreto é diminuída, apesar de haver síntese e expressão da CFTR, com função residual da proteína na membrana; pode levar a fenótipo de menor gravidade; Classe V (síntese reduzida): síntese da CFTR parcialmente prejudicada, com quantidade reduzida. Podem levar a fenótipo de menor gravidade; e Classe VI (degradação acelerada): proteína com instabilidade na membrana apical da célula, com degradação 5 a 6 vezes mais veloz do que a observada com a proteína selvagem¹.

DO PLEITO

1. O **Elexacaftor (ELX) + Tezacaftor (TEZ) + Ivacaftor (IVA)** (Trikafta®) ELX e TEZ são corretores de CFTR, e IVA é um potencializador de CFTR. O efeito combinado de elexacaftor, tezacaftor e ivacaftor é o aumento da quantidade e da função do CFTR na superfície celular, resultando em aumento na atividade de CFTR medida pelo transporte de cloreto mediado por CFTR. Está indicado para o tratamento da fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais que tenham pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR)².

¹ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 5, de 30 de abril de 2024. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf>. Acesso em: 02 mai. 2024.

² Bula do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) por Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=138230005>>. Acesso em: 02 mai. 2024.



III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente cabe mencionar que acostado ao Evento 1, PARECER14, Páginas 1-5 **Processo nº 5005949-28.2022.4.02.5117** pelo **1º Juizado Especial Federal de São Gonçalo**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro ajuizado pelo mesmo Autor – – com os pleitos oxigenoterapia domiciliar prolongada e seus equipamentos e insumo cateter nasal, sendo emitido para o referido processo o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0729/2022.
2. Trata-se de ação por meio da qual a parte autora, diagnosticada com **fibrose cística** com **mutação F508del/ 3772-26A>G**, pretende o fornecimento da associação farmacêutica **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)**.
3. Posto isto, informa-se que o medicamento pleiteado **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)** **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e **está indicado em bula**² para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor, conforme relato médico.
4. Em relação a disponibilização no SUS, o medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor foi incorporado ao SUS** para o tratamento da **fibrose cística**³. Os critérios de acesso foram definidos no **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da fibrose cística** (Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 5, de 30 de abril de 2024)¹. Adicionalmente, para o uso de elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor, os pacientes devem apresentar idade igual ou maior do que 6 anos de idade e pelo menos uma mutação F508del no gene CFTR (*caso do autor*).
5. Em consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP⁴, na competência de 05/2024, constatou-se que o **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** encontra-se no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF). Sendo **disponível** para o tratamento de **pacientes com fibrose cística** no SUS, no âmbito do Estado do Rio de Janeiro.
6. Acrescenta-se que o **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** é disponibilizado pelo CEAF perfazendo o **grupo de financiamento 1A** do referido componente: *medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal*^{5,6}.
7. Para o tratamento **fibrose cística**, o Ministério da Saúde atualizou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da referida doença (Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 5, de 30 de abril de 2024), a qual preconizou os seguintes fármacos: Alfadornase 1mg/mL (solução para inalação); **Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor** (comprimidos de 100mg/50mg/75mg e 50mg/25mg/37,5mg); Ivacaftor 150mg (comprimido); Pancreatina: cápsulas com 10.000 e 25.000UI de lipase presente na formulação, Tobramicina: solução inalatória de 300 mg.
8. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que o Autor **está cadastrado** no CEAF para recebimento dos medicamentos disponibilizados no SUS para o manejo de sua doença, a saber: Alfadornase 2,5mg (ampola), Pancreatina 10.000UI e 25.000UI e Tobramicina: solução inalatória de 300 mg.

³ CONITEC. 121ª Reunião Ordinária. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/reuniao_conitec/2023/Pauta121ReuniaoMedicamentos.pdf>. Acesso em: 02 mai. 2024.

⁴ SISTEMA DE GERENCIAMENTO DA TABELA DE PROCEDIMENTOS, MEDICAMENTOS E OPM DO SUS – SIGTAP. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/inicio.jsp>>. Acesso em: 22 fev. 2024.

⁵ Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. Portaria nº 1554, de 30 de julho de 2013. Disponível em: <https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html>. Acesso em: 02 mai. 2024.

⁶ Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME 2022). Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/20220128_rename_2022.pdf>. Acesso em: 02 mai. 2024.



9. Para recebimento do medicamento pleiteado a Autora ou representante legal deverá atualizar o seu cadastro no CEAF comparecendo à Travessa Jorge Soares, 157 - Centro - São Gonçalo, portando documentos pessoais: original e cópia de documento de identidade ou da certidão de nascimento, cópia do CPF, cópia do cartão nacional de saúde/SUS e cópia do comprovante de residência. Documentos médicos: Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, receita médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias (validade de 30 dias para medicamentos sob regime especial de controle – PT SVS/MS 344/98). Observar que o laudo médico será substituído pelo Laudo de Solicitação que deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – PCDT do Ministério da Saúde, nível de gravidade, relato de tratamentos anteriores (medicamentos e período de tratamento), emitido a menos de 90 dias e exames laboratoriais e de imagem previstos nos critérios de inclusão do PCDT.
10. Elucida-se ainda, que a **fibrose cística** é uma doença rara e grave que afeta crianças causando redução significativa da qualidade de vida¹. 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 Raras⁷ 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.
11. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (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 raras⁸. Tal PCDT foi descrito no item 6 desta Conclusão.
12. 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)⁹.
13. De acordo com publicação da CMED⁷, 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.
14. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se:

⁷ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 02 mai. 2024.

⁸ CONITEC. 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: 02 mai. 2024.

⁹ 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/cmed>>. Acesso em: 02 mai. 2024.



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg (Trikafta®)**, apresenta preço de fábrica correspondente a R\$ 138.750,39 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 108.877,43.

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