



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1095/2024

Rio de Janeiro, 08 de julho de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME], neste ato
representada por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 1ª Vara Federal de Macaé, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o laudo e receituário médicos emitidos em impresso próprio pela médica Lívia Cabral Lobo (Evento 1_ LAUDO11_Páginas 1/2 e Evento 1_RECEIT13_Página 1) em 13 de junho de 2024, o Autor 7 anos e 3 meses, foi atendido com a queixa de quedas frequentes. Relata que aos 5 anos, evoluiu com regressão dos marcos motores. Na ocasião apresentava dificuldade em pular, subir escadas e agachar. No primeiro trimestre de 2024, evoluiu com quedas frequentes durante a marcha. Realizou exames de rotina evidenciando alterações sugestivas de patologia neuromuscular, com aumento de transaminases e de CPK.

2. Após anamnese e avaliação dos exames, ficou evidente hipotonia de membros inferiores, principalmente distal, com levantar miopático – ou sinal de Gowers, hipertrofia de panturrilhas, e ROP presentes de forma simétrica.

3. A análise molecular, confirmou a suspeita clínica. O Autor apresenta a seguinte variante em hemizigose no gene DMD, ChrX:32.365.171 TTC>T. Tal variante já foi previamente descrita associada ao quadro de distrofia muscular de Duchenne. Tal alteração genética, aliada a avaliação clínica, configura o fenótipo clínico de distrofia muscular de Duchenne.

4. O Autor não apresenta déficit intelectual associado ao quadro neuromuscular, nem comprometimento pulmonar ou cardíaco e ainda apresenta marcha espontânea, mas vem evoluindo com fraqueza progressiva, e quedas frequentes, entretanto ainda consegue realizar atividades de vida diária e recreativas habituais a sua faixa etária. Porém com a fraqueza progredindo ao longo de 2024, tem tido limitações funcionais. Assim, a médica assistente indica de forma urgente a terapia genica com delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®), visando reduzir a morbidade anterior ao seu uso.

5. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G71.0 – distrofia muscular.

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.



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. No tocante ao Município de Macaé, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME – Macaé 2017.

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 distrofia muscular de Duchenne é uma doença grave, progressiva, que atrofia os músculos, levando a dificuldades de movimento, necessidade de ventilação assistida e morte prematura. A doença é causada por mutações no gene DMD (responsável por codificar a proteína distrofina) que abolem a produção de distrofina no músculo. Músculos sem distrofina são mais sensíveis a danos, resultando em perda progressiva de tecido e função muscular, além de cardiomiopatia. Os primeiros sintomas são dificuldades para subir escadas e quedas frequentes, que ocorrem por volta dos 2–3 anos de idade.

DO PLEITO

1. O medicamento delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) é uma terapia genética baseada em vetor de vírus adenoassociado, indicada em indivíduos com pelo menos 4 anos de idade:

- Para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD) em pacientes ambulatoriais e com mutação confirmada no gene DMD;
- Para o tratamento de DMD em pacientes que não ambulatoriais e têm uma mutação confirmada no gene DMD.

III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autor [NOME], apresentando solicitação para tratamento com delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®).

2. A delandistrogene moxeparvovec foi aprovada em 2023 nos Estados Unidos e é indicada para o tratamento de pacientes pediátricos ambulatoriais com distrofia muscular de Duchenne com uma mutação confirmada no gene DMD. A terapia de transferência de genes com delandistrogene moxeparvovec é bem tolerada, com um perfil de segurança favorável. As melhorias funcionais são sustentadas por 4 anos, sugerindo que delandistrogene moxeparvovec pode alterar positivamente a progressão da doença.

3. Com este entendimento, informa-se que o medicamento pleiteado delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) está indicado no tratamento do quadro clínico do Autor.

4. A delandistrogene moxeparvovec (Elevidys®) não possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme análise em banco de dados referente a registro de produtos, configurando produto importado e, sendo assim, não se encontra padronizado em nenhuma lista oficial de medicamentos não integra nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Macaé e do Estado do Rio de Janeiro.

5. 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 uso.

6. Considerando que o pleito delandistrogene moxeparvovec (Elevidys®) trata-se de medicamento importado, informa-se que a importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, foi atualizada pela RDC nº 208, de 05 de janeiro de 2018. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam às exigências sanitárias dispostas na referida 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.

7. Cabe ressaltar que, considerando que a doença do Autor [NOME], neste contexto, o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 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.

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 raras. Entretanto, ainda não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicado para o manejo da distrofia muscular de Duchenne.

9. 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).

10. Entretanto, por se tratar de item não registrado na ANVISA, não há definição de valor estabelecido junto à CEMED.

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Macaé, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.