

## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1207/2024.

Rio de Janeiro, 23 de julho de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 1ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento Beta-Agalsidase 35mg (Fabrazyme®).

### I – RELATÓRIO

1. De acordo com documentos médicos (Evento 1\_ANEXO6, página 1) e (Evento 1\_ANEXO7, página 1), emitidos em 18 e 04 de junho de 2024, pelo[NOME] [REGISTRO], em impressos próprios, o Autor, 46 anos, portador de doença de Fabry, com presença da variante em homozigose GEN-GLA. O biomarcador para avaliação da substância que compromete os vasos sanguíneos, que é o Lyso-Gb 3, numa concentração elevada igual a 4,5ng/mL, mostra o comprometimento sistêmico da doença. Assim foi prescrito o medicamento Beta-Agalsidase 35mg (Fabrazyme®) – 1mg/kg de 15/15 dias, a administração deverá ser realizada nos intervalos entre duas semanas

### 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. No tocante ao Município de Niterói, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME-NITERÓI 2023 - Portaria FMS/FGA Nº 014/2023.

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. A Doença de Fabry (DF), também conhecida como doença de Anderson Fabry, é uma esfingolipidose devida a um erro inato ligado ao X, ocasionada pela deficiência da enzima lisossômica  $\alpha$ -galactosidase A ( $\alpha$ GAL-A). A falha da  $\alpha$ GAL-A afeta todo o organismo devido ao acúmulo de glicoesfingolipídios, principalmente o globotriaosilceramida (GL-3 ou Gb3). O acúmulo do GL-3 ocorre especialmente nas células do epitélio renal, nas células endoteliais vasculares, células do músculo liso, cardiomiócitos e neurônios do sistema nervoso autônomo. Estas alterações na concentração do GL-3 provocam manifestações clínicas sobretudo no endotélio vascular da pele, coração, fígado, rins e sistema nervoso central. Na maioria dos casos de DF, na idade adulta os pacientes desenvolvem doença renal e cardíaca graves. O acometimento dos podócitos nos glomérulos renais leva a proteinúria e hematúria, geralmente detectadas na adolescência.

## DO PLEITO

1. O medicamento Beta-Agalsidase (Fabrazyme®) é usado como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry, onde o nível de atividade da enzima  $\alpha$ -galactosidase está ausente ou inferior ao normal. Está indicado para o uso no tratamento de longo prazo da reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de doença de Fabry.

## III – CONCLUSÃO

1. Cumpre informar que o medicamento pleiteado Beta-Agalsidase (Fabrazyme®) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e apresenta indicação prevista em bula<sup>2</sup> para o tratamento de doença de Fabry, quadro clínico apresentado pelo Autor.

2. No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado insta mencionar que Beta-Agalsidase foi incorporado ao SUS para o tratamento da doença de Fabry clássica, conforme Protocolo Clínico do Ministério da Saúde. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011, há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS.

3. Em consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP, na competência de 07/2024, constatou-se que Beta-Agalsidase ainda não está disponível para o tratamento de pacientes com doença de Fabry no SUS, no âmbito do Município de Niterói e do Estado do Rio de Janeiro.

4. Considerando o caso em tela, informa-se que o Ministério da Saúde publicou a Portaria Conjunta Nº 20, de 06 de dezembro de 2021, a qual dispõe as Diretrizes Brasileiras para Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry.

5. Segundo a referida Diretriz, o tratamento específico, direcionado à causa primária da DF baseia-se na terapia de reposição enzimática (TRE) com a enzima recombinante da  $\alpha$ GAL-A. Atualmente, duas formas de enzimas recombinantes estão disponíveis comercialmente com registro na Anvisa: alfa-agalsidase e beta-agalsidase. O tratamento da DF preconizado nestas Diretrizes envolve a prevenção de complicações ocasionadas pela doença, o tratamento sintomático e a terapia de reabilitação. Não foram previstos medicamentos para o tratamento da causa primária da doença de Fabry na referida Diretriz.

6. Acrescenta-se ainda, que a Doença de Fabry (DF) é uma doença rara. Relata-se a incidência de indivíduos homozigotos para a DF como sendo 1 para cada 117.000 indivíduos<sup>1</sup>. 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 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.

7. Ressalta-se que, conforme observado em consulta ao sítio eletrônico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (CONITEC), o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da doença de Fabry encontra-se em atualização<sup>6</sup>.

8. No que concerne ao valor dos medicamentos 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. De acordo com publicação da CMED, 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.

10. Assim, considerando a regulamentação vigente, m consulta a Tabela de Preços CMED, o Beta-Agalsidase 35mg (Fabrazyme®) solução injetável possui preço de fábrica R\$ 17.449,38 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 13.692,53, para o ICMS 20% 10.

É o parecer.

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