

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL N° 1384/2024

Rio de Janeiro, 20 de agosto de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 23ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto à aplicação do medicamento Delandistrogene moxeparvovect-rokl (Elevidys®) e ao exame de anticorpos.

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração do presente parecer técnico, foram avaliados os documentos médicos mais recentes acostados aos autos, em impresso do Hospital Universitário Antônio Pedro (Evento 17_LAUDO2_Página 1/2 e Evento 17_RECEIT3_Página 1), emitidos em 07 de agosto de 2024, [NOME] [REGISTRO].

2. Narram os referidos documentos que o Autor, 09 anos (data de nascimento: 04 de dezembro de 2014), iniciou acompanhamento no referido nosocomio este ano, com diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne (DMD), causada por duplicação do exón 2 do gene DMD.

3. Foi participado que o Autor apresenta a doença ainda em fase intermediária (fase 2) e ainda é capaz de andar livremente, momento ideal para receber a terapia modificadora de doença – Delandistrogene moxeparvovect-rokl (Elevidys®), em única administração de 430mL (43 frascos) por via intravenosa (considerando o peso atual de 42,7kg). O Requerente já está recebendo todos os tratamentos disponíveis no Brasil, tais como corticoterapia e fisioterapia motora e respiratória. O adiamento do uso de Delandistrogene moxeparvovect-rokl (Elevidys®) pode acarretar danos irreversíveis ao Autor, como incapacidade para andar e o uso definitivo de uma cadeira de rodas.

4. Desse modo, está prescrito ao Autor, dose única do medicamento Delandistrogene moxeparvovect-rokl (Elevidys®) 1,33 x 1014 genomas-vetor por quilo de peso (430mL por via intravenosa em dose única).

5. Foi mencionado o código da 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.

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 Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.

8. **A Portaria GM/MS nº199, de 30 de janeiro de 2014, consolidada no Anexo XXXVIII da Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, instituiu 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.**

9. A Portaria de Consolidação nº 3/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, contém as diretrizes para a organização da Atenção à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) visando superar a fragmentação da atenção e da gestão nas Regiões de Saúde e aperfeiçoar o funcionamento político-institucional do SUS com vistas a assegurar ao usuário o conjunto de ações e serviços que necessita com efetividade e eficiência.

10. A Portaria de Consolidação nº 1/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, publica a Relação Nacional de Ações e Serviços de Saúde (RENASES) no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e dá outras providências.

11. Considerando a Política Nacional de Regulação do SUS, disposta no Anexo XXVI da Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017;

Art. 9º § 1º O Complexo Regulador será organizado em:

I - CENTRAL DE REGULAÇÃO DE CONSULTAS E EXAMES: REGULA O ACESSO A TODOS OS PROCEDIMENTOS AMBULATORIAIS, INCLUINDO TERAPIAS E CIRURGIAS AMBULATORIAIS;

II - CENTRAL DE REGULAÇÃO DE INTERNAÇÕES HOSPITALARES: REGULA O ACESSO AOS LEITOS E AOS PROCEDIMENTOS HOSPITALARES ELETIVOS E, CONFORME ORGANIZAÇÃO LOCAL, O ACESSO AOS LEITOS HOSPITALARES DE URGÊNCIA; E

III - CENTRAL DE REGULAÇÃO DE URGÊNCIAS: REGULA O ATENDIMENTO PRÉ-HOSPITALAR DE URGÊNCIA E, CONFORME ORGANIZAÇÃO LOCAL, O ACESSO AOS LEITOS HOSPITALARES DE URGÊNCIA.

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 gênica baseada no vetor do vírus adenoassociado, indicado para o tratamento de pacientes pediátricos ambulatoriais ou não ambulatórios, a partir dos 04 anos de idade, portadores de distrofia muscular de Duchenne (DMD) com uma mutação confirmada no gene DMD. Tal indicação ocorreu em regime de aprovação acelerada com base na expressão de microdistrofina no músculo esquelético observada em pacientes tratados com a Delandistrogene moxeparvovec-rokl



(Elevidys®). A aprovação continuada para esta indicação pode depender da verificação e descrição do benefício clínico em ensaios confirmatórios.

2. Na via de administração intravenosa (IV) ou endovenosa (EV), o medicamento prescrito é administrado diretamente na corrente sanguínea. Sendo uma das vias mais usadas, a via é adequada para soluções que necessitam ser absorvidas rapidamente, assegurando a ação imediata do medicamento, além de permitir a introdução de grandes volumes de líquidos e de soluções irritantes.

3. Os exames de anticorpos envolvem a análise de uma amostra (geralmente sangue) para mostrar a presença de um anticorpo (exame qualitativo) ou para medir a quantidade de um anticorpo (exame quantitativo).

III – CONCLUSÃO

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

2. A Delandistrogene moxeparvovec-rokl foi aprovada em 2023 nos Estados Unidos para o tratamento de pacientes pediátricos ambulatoriais com distrofia muscular de Duchenne com uma mutação confirmada no gene DMD. Em junho de 2024, esta aprovação foi expandida aos indivíduos portadores da referida doença, ambulatoriais ou não, a partir dos 04 anos de idade com uma mutação confirmada no gene DMD. A terapia de transferência de genes com Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) é bem tolerada, com um perfil de segurança favorável, na qual as melhorias funcionais são sustentadas por 4 anos, sugerindo que Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) pode alterar positivamente a progressão da doença.

3. Dito isto, informa-se que o medicamento pleiteado Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) possui indicação em bula para quadro clínico descrito para o Autor – Distrofia muscular de Duchenne (DMD) e uma mutação confirmada no gene DMD, para o tratamento de pacientes pediátricos a partir dos 04 anos de idade.

4. Delandistrogene moxeparvovec-rokl (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. Assim, não se encontra padronizado em nenhuma lista oficial de medicamentos no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro. Acrescenta-se que este medicamento não foi avaliado pela CONITEC.

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-rokl (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 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], segundo pesquisas, a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos. Neste contexto, 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.

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. Não há cura para a distrofia muscular de Duchenne, e as intervenções são baseadas na prevenção e tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides. O Consenso Brasileiro sobre Distrofia Muscular de Duchenne recomenda que a terapia com corticosteroides seja iniciada, preferencialmente, na fase de platô dos déficits motores, a partir dos 2 anos de idade. Os autores sugerem que nesta fase,



especialmente entre 2 e 3 anos, o uso dessa medicação deve ser discutido com a família devido a possibilidade de comprometimento funcional, com prejuízos na aquisição de habilidades motoras. Apesar de ser amplamente prescritos, alguns pacientes não respondem de forma satisfatória ao tratamento com corticosteróides, enquanto outros não toleram o seu uso crônico devido ao aparecimento de efeitos adversos que vão desde alterações hormonais a obesidade e redução da tolerância à glicose, e outras reações adversas já bem documentadas com o uso prolongado desses fármacos. O tratamento sintomático ainda inclui o uso de inibidores da enzima conversora da angiotensina (ECA) com ou sem betabloqueadores para cardiomiopatia; diuréticos e oxigênio para insuficiência cardíaca congestiva; transplante cardíaco para pessoas com cardiomiopatia dilatada grave; órtese e cirurgia para correção da escoliose; além de outras intervenções adequadas ao quadro clínico do paciente. Abordagens para o tratamento específico da DMD também estão sendo exploradas, tornando o panorama terapêutico para crianças mais promissor.

10. Nesse sentido, no caso de fornecimento do fármaco pleiteado, é importante que o Autor seja reavaliado pelo médico [NOME], a fim de que possa ser aferida a efetividade do tratamento.

11. 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). Entretanto, por se tratar de item não registrado na ANVISA, não há definição de valor estabelecido junto à CMED.

12. Cumpre esclarecer que o fornecimento de informações referentes à honorários médicos, despesas hospitalares, deslocamento e acomodação não faz parte do escopo de atuação deste Núcleo.

13. Ressalta-se ainda que a aplicação de medicamento endovenoso está coberta pelo SUS, conforme Tabela de Procedimentos, Medicamentos, Órteses/Próteses e Materiais Especiais do SUS (SIGTAP), na qual consta: administração de medicamentos por via endovenosa (03.01.10.019-5).

14. Considerando que o Autor é acompanhado por uma unidade de saúde pertencente ao SUS – Hospital Universitário Antônio Pedro (Evento 17, LAUDO2, Página 1), informa-se que, no caso de fornecimento do fármaco pleiteado, é responsabilidade da referida instituição realizar a sua devida aplicação ou, no caso de impossibilidade, encaminhar o Requerente à uma outra unidade de saúde apta ao atendimento da demanda.

15. No que tange ao pedido de exame de anticorpos (Evento 1, INIC1, Página 33), informa-se que este não consta prescrito nos documentos médicos anexados ao processo. Portanto, não há como este Núcleo realizar uma inferência segura acerca de sua indicação.

É o parecer.

À 23ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.