



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1668/2024.

Rio de Janeiro, 02 de outubro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Trata-se de Autor, 8 anos, com diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne – com mutação nonsense no gene DMD, com solicitação do medicamento atalureno nas doses de 125mg e 250mg (Translarna®) (Evento 1, LAUDO11, Páginas 1 a 5; Evento 1, RECEIT12, Página 1).

Diante o exposto, informa-se que o medicamento pleiteado atalureno (Translarna®) está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor distrofia muscular de Duchenne com mutação nonsense no gene DMD, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que o atalureno nas doses de 125mg e 250mg (Translarna®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, não cabendo seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

O medicamento pleiteado atalureno (Translarna®) até o momento não foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS).

Considerando o caso em tela, informa-se que no momento não há publicado pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas para distrofia muscular de Duchenne, e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Elucida-se ainda, que distrofia muscular de Duchenne (DMD) é uma doença rara. Segundo pesquisas a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos. 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.

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. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)6 publicado para o manejo da distrofia muscular de Duchenne.

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 corticosteróides 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. Entre essas abordagens está o medicamento oral atalureno (Translarna®).

Cabe resgatar relato médico (Evento 1, LAUDO11, Página 1), no qual foi informado que o Autor [NOME], além de orientações quanto a indicação de acompanhamento multidisciplinar.

O medicamento pleiteado possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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).

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.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de preços CMED o medicamento atalureno 125mg (Translarna®) com 30 envelopes possui preço de fábrica R\$ 25.919,23 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 20.338,82; atalureno 250mg (Translarna®) com 30 envelopes possui preço de fábrica R\$ 51.838,89 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 40.677,98, para o ICMS de 20% 12.

É o parecer.

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