



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1700/2024

Rio de Janeiro, 04 de outubro de 2024.

Processo nº 5008973-41.2024.4.02.5102, ajuizado por
[NOME].

A presente ação refere-se à Autora diagnosticada com cistinose e síndrome de Fanconi, com acometimento ósseo-esquelético, já tendo sido submetida a intervenções cirúrgicas ortopédicas, resultando em deficiência motora e dores ósseas recorrentes. Em 2017 foi submetida a transplante renal, após ter ficado por mais de um ano em terapia de substituição renal (diálise peritoneal e hemodiálise). Entretanto, apesar do transplante, a doença de base – cistinose, não foi curada. Para que o processo de deterioração do enxerto seja detido, a Requente necessita efetuar tratamento com Cisteamina, na posologia de 10 cápsulas com 75mg e 02 cápsulas com 25mg a cada 12 horas, além de colírio de Cisteamina em via ocular 02 vezes ao dia. Desse modo, para a presente ação, a Autora requer o fornecimento do medicamento Cisteamina (Procysbi®) (Evento 1_ANEXO6_Página 1 e Evento 1_ANEXO7_Página 1).

Dito isto, informa-se que o medicamento aqui pleiteado – Cisteamina (Procysbi®), apresenta indicação prevista em bula aprovada pela Food and Drug Administration – FDA, para o tratamento da cistinose nefropática em pacientes adultos e pediátricos com idade igual ou superior a 2 anos de idade.

Cabe destacar que o pleito Cisteamina (Procysbi®), atualmente, não possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), e portanto, não está elencado na Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME), assim como não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componente Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Niterói e do Estado do Rio de Janeiro.

Ressalta-se que seu uso no tratamento da cistinose nefropática foi aprovado pelas agências Européia (EMA) e Americana (FDA) de medicamentos, em 1997 e 1994, respectivamente, não se tratando, assim, de terapia experimental.

Segundo as bases de dados científicas, a Cisteamina por via oral é o único medicamento específico para o tratamento da cistinose e o seu uso em longo prazo, em pacientes com início precoce do tratamento e boa adesão a ele, atrasa a progressão para a doença renal terminal. Dessa forma, o referido medicamento está indicado para o tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora.

Considerando que o pleito Cisteamina (Procysbi®), trata-se de medicamento importado, cumpre acrescentar que a importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, é autorizada por meio da 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.

Impende esclarecer que não há correspondente genérico do medicamento em questão, assim como não há substâncias/medicamentos disponíveis no Brasil que sejam específicos para o tratamento da cistinose, tal como a Cisteamina.

Quanto aos tratamentos disponibilizados pelo SUS, não existe até o momento, Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas publicado pelo Ministério da Saúde para o tratamento da cistinose. Assim, não há uma lista padronizada de tratamentos. No SUS, é fornecido tão somente o tratamento sintomático de suporte para os pacientes com essa doença, o qual irá depender das comorbidades ou complicações decorrentes dela como diabetes, insuficiência renal, hipotireoidismo, desequilíbrio de eletrólitos, entre outros.

Elucida-se que a cistinose nefropática é uma doença rara. Nesse sentido, 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, através da Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Ficou estabelecido que tal política 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.





**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Ademais, a Portaria SCTIE-MS nº19 de 26 de maio de 2015, aprova a priorização de Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) para doenças raras no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, onde a cistinose compõe o Eixo I – erros inatos do metabolismo.

Insta mencionar que o medicamento pleiteado ainda não foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS) para o tratamento do quadro clínico da Autora.

Por fim, é importante ressaltar que, tendo em vista o caráter genético da doença a Autora, o medicamento pleiteado não tem a capacidade de promover a cura. Entretanto, a ação da Cisteamina retarda a evolução para doença renal crônica e o desenvolvimento de comprometimento extrarrenal.

No que concerne ao valor dos medicamentos pleiteados, 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 CMED11, 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.

Apesar do exposto acima, o medicamento pleiteado Cisteamina (Procysbi®) por se tratar de medicamento importado, não apresenta preço estabelecido pela CMED.

Encaminha-se à 7ª Vara Federal de Niterói, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.