



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1827/2024

Rio de Janeiro, 22 de outubro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Trata-se de Autor, 2 anos e 11 meses (DN: 04/11/2021) com distrofia muscular de Duchenne (CID-10: G71.0), deleção éxon 51 do gene DMD, apresentando solicitação para tratamento com Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) e custeios de deslocamento, internação, ICMS, despesas hospitalares, honorários médicos e despachante aduaneiro (Evento 1, LAUDO8, Páginas 1 a 8 e Evento 1, INIC1, Página 22).

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.

Isto posto, o medicamento Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) em outros países, de acordo com a bula da Sarepta Therapeutics, Inc, registrada na Food and Drug Administration (FDA), consta que está indicado ao manejo da 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. No entanto, o autor, com menos de 4 anos (2 anos e 11 meses), não se enquadra na faixa etária aprovada em bula registrada no FDA para o uso do medicamento, o que inviabiliza sua indicação no momento, assim como a indicação da internação para a administração deste medicamento.

O medicamento pleiteado Delandistrogene Moxeparvovec-rokl (Elevidys®) não foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS).

O 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 de Macaé e do Estado do Rio de Janeiro. Logo, não cabe o fornecimento em nenhuma esfera do SUS.

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.

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.

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.

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.

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



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.

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.

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.

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

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.