



## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1914/2024

Rio de Janeiro, 06 de novembro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

Trata-se de Autor, 11 anos (DN: 14/07/2013), portador de distrofia muscular de Duchenne, confirmado por sequenciamento do gene DMD. Sendo prescrito os medicamentos givinostat 8.86 mg/ml (Duvyzat®) – 5ml, via oral, de 12 em 12 horas, prednisolona 3mg/ml e vitamina D3 1000UI (Addera D®) gotas (Evento 1, RECEIT13, Página 1; Evento 1, RECEIT14, Página 1; Evento 1, RECEIT15, Página 1).

A prednisolona e a vitamina D3 têm indicações importantes no tratamento da distrofia muscular de Duchenne (DMD). A prednisolona, um corticosteroide, é amplamente prescrita para reduzir a inflamação e retardar a progressão da fraqueza muscular, auxiliando na preservação da função muscular por períodos mais longos. Já a vitamina D3 é recomendada para manter a saúde óssea e prevenir a osteoporose, uma complicação comum em pacientes com DMD, particularmente devido ao uso prolongado de corticosterooides, que pode impactar negativamente a densidade óssea. Dessa forma, ambos os medicamentos são adequados ao quadro clínico do autor.

Destaca-se que o medicamento pleiteado givinostat (Duvyzat®) não possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme análise no seu banco de dados referente a registro de produtos, logo configura produto importado.

Quanto à indicação do pleito givinostat (Duvyzat®) em outros países, de acordo com a bula da ITF Therapeutics, registrada na Food and Drug Administration (FDA), está indicado para o tratamento de distrofia muscular de Duchenne (DMD), em pacientes com 06 anos de idade ou mais. Assim, o medicamento pleiteado possui indicação para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.

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 givinostat (Duvyzat®) 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 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.

Quanto à disponibilização no âmbito do SUS, elucida-se:

- O givinostat (Duvyzat®) e vitamina D3 1000UI (Addera D®) não integram nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Nilópolis e do Estado do Rio de Janeiro. Logo, não cabe o fornecimento em nenhuma esfera do SUS.
- Prednisolona 3mg/ml solução oral encontra-se listada a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENOME 2022) no Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) e padronizado no Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro, através da Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019, cabendo assim, seu fornecimento pela Secretaria Municipal de Saúde de Nilópolis, onde o Autor [NOME]. Recomenda-se que a representante legal do Autor compareça a Unidade Básica de Saúde mais próxima de sua residência, para receber as informações pertinentes à disponibilização.

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

Tendo em vista 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. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta dentre as anomalias congênitas. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)5 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 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 corticosteroides, 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 givinostat (Duvyzat®), é importante que o Autor seja reavaliado pelo médico [NOME], a fim de que possa ser aferida a efetividade do tratamento.

Informa-se que medicamento prednisolona 3mg/ml possui registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

Já suplemento alimentar de vitamina D3 em solução gotas 1000UI (Addera D®), conforme a RDC 240/2018 da ANVISA, os alimentos e suplementos alimentares com obrigatoriedade de registro sanitário são aqueles que se incluem nas seguintes categorias: alimentos com alegação de propriedade funcional e/ou de saúde, novos alimentos e novos ingredientes, suplementos alimentares contendo enzimas ou probióticos, alimentos infantis e fórmulas para nutrição enteral. Sendo assim o suplemento vitamínico vitamina D3 1000UI gotas (Addera D®) está dispensado da obrigatoriedade de registro para comercialização pela ANVISA.

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 à Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%8, têm-se:

- Fosfato sódico de prednisolona 3mg/ml solução oral frasco de 60ml possui preço de fábrica R\$ 13,98 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 10,97;
- Givinostat (Duvyzat®) e o suplemento alimentar de vitamina D3 em solução gotas 1000UI (Addera D®), por se tratar de item não registrado na ANVISA, não há definição de valor estabelecido junto à CMED.

É o parecer.

À 6ª Vara Federal de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.