



## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1934/2024

Rio de Janeiro, 06 de novembro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

O Autor, 07 anos (DN: 02/05/2017), é portador de distrofia muscular de Duchenne, mutação deleção do exón 45 a 50 em hemizigose no gene DMD, sendo prescrito o medicamento Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) – infundir 270mL (27 frascos) (Evento 1, LAUDO9, Páginas 1-2).

Destaca-se que o medicamento pleiteado Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) atualmente não possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), conforme análise no seu banco de dados referente à registro de produtos, logo configura produto importado.

O Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) não integra nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Rio Bonito e do Estado do Rio de Janeiro, logo, não cabe o seu fornecimento em nenhuma esfera do SUS.

Quanto à indicação do pleito Delandistrogene moxeparvovec-rokl (Elevidys®) em outros países, de acordo com a bula da Sarepta Therapeutics, Inc, registrada na Food and Drug Administration (FDA), está indicado para o tratamento de pacientes pediátricos ambulatoriais ou não ambulatoriais, a partir dos 04 anos de idade, portadores de distrofia muscular de Duchenne (DMD) com uma mutação confirmada no gene DMD. 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 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 sanitárias dispostas na referida portaria e legislação pertinentes. 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.

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.

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

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, reiterase 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 02 anos de idade. Os autores sugerem que nesta fase, especialmente entre 02 e 03 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 serem 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 à obesidade e redução da tolerância à glicose, entre 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.

Cumpre esclarecer que o fornecimento de informações referentes às despesas inerentes à aplicação, tais como frete, tributos, armazenamento, despesas hospitalares, honorários médicos não faz parte do escopo de atuação deste Núcleo.

É o parecer.

À 1<sup>a</sup> Vara Federal de Itaboraí, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.