



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

## **PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 2044/2024**

**Rio de Janeiro, 28 de novembro de 2024.**

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

O Autor, 69 anos, é portador de esclerose lateral amiotrófica (ELA) (CID G12.2). Já foi submetido ao tratamento com riluzol após seu diagnóstico até 2021, mas sem resposta clínica. Realizou este ano o mapeamento genético confirmando o diagnóstico de ELA por mutação no gene SOD1. No momento, há indicação urgente e absoluta do uso de tofersen 100 mg (QalsodyTM) a cada 14 dias por 3 doses, depois a cada 28 dias como tratamento de base dada a falha terapêutica do medicamento riluzol. A não adesão ao tratamento acarretará risco de paralisia motora irreversível e morte precoce como resultado da perda de capacidades vitais, como falar, engolir e respirar (Evento 1, LAUDO6, Página 1).

Destaca-se que o medicamento pleiteado tofersen 100 mg (QalsodyTM) 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.

O tofersen 100 mg (QalsodyTM) não integra nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro. Logo, não cabe o fornecimento em nenhuma esfera do SUS.

Quanto à indicação do pleito tofersen 100 mg (QalsodyTM) em outros países, de acordo com a bula da Biogen, Inc., registrada na Food and Drug Administration (FDA), está indicado para tratamento de pacientes adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA) associada à mutação no gene da superóxido dismutase 1 (SOD1). 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 tofersen 100 mg (QalsodyTM) 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.

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

Para o tratamento da esclerose lateral amiotrófica no SUS, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêutica (PCDT) da referida doença (Portaria Conjunta nº 13, de 13 de agosto de 2020). Por conseguinte, a SES/RJ disponibiliza, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), o medicamento: riluzol 50mg (comprimido).

Em consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica (HORUS), verificou-se que o Autor está cadastrado no CEAF para o recebimento do medicamento previsto no PCDT de esclerose lateral amiotrófica, riluzol 50mg.

Resgata-se o documento médico que o autor “já foi submetido ao tratamento com riluzol após seu diagnóstico até 2021, mas sem resposta clínica” (Evento 1, LAUDO6, Página 1). Portanto, o Requerente já fez uso do medicamento disponibilizado no SUS.

O PCDT da esclerose lateral amiotrófica não prevê outra linha de tratamento farmacológico em casos de refratariedade ao tratamento com o medicamento padronizado riluzol.

Elucida-se ainda, que esclerose lateral amiotrófica (ELA) é uma doença rara. Sua incidência na população é heterogênea e varia de 0,73 a 1,89 casos por 100.000 pessoas ao ano no sul da Ásia e no norte da Europa, respectivamente<sup>6</sup>. 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.



**GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. Tal PCDT foi descrito anteriormente nesta Conclusão.

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.

É o parecer.

À 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.