



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 2195/2024

Rio de Janeiro, 11 de dezembro de 2024.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

A Autora, 13 anos, é portadora de deficiência de Arginase com alterações no ciclo da ureia cursando com hiperargininemia e hiperamonemia, com quadro neurológico complexo de regressão do desenvolvimento, medula ancorada com bexiga neurogênica, deficiência intelectual moderada mas com boa interação, transtorno de déficit de atenção e hiperatividade, paraparesia espástica pior em membros inferiores com prejuízo de deambulação. Vem em tratamento com dietoterapia e suplementação, com melhora clínica bem restrita e sem grandes evoluções neurológicas. Faz uso de Sertralina, Risperidona e Melatonina.

Necessita da reposição enzimática para controle da evolução da doença e, portanto, necessita da utilização do fármaco Loargys® 5mg/mL, com princípio ativo Pegzilarginase aprovado para uso na Europa (Evento 1, INIC1, Página 34).

Destaca-se que o medicamento pleiteado Pegzilarginase (Loargys®) atualmente 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.

Pegzilarginase (Loargys®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos dispensados no SUS no âmbito do Município de Três Rios e do Estado do Rio de Janeiro, logo, não cabe o seu fornecimento em nenhuma esfera do SUS.

Quanto à indicação do pleito Pegzilarginase (Loargys®) em outros países, de acordo com a bula da Immedica Pharma AB, registrada na Agência Europeia de Medicamentos (EMA), é indicado para o tratamento da deficiência de arginase 1 (ARG1-D), também conhecida como hiperargininemia, em adultos, adolescentes e crianças com 2 ou mais anos de idade. Assim, o medicamento pleiteado possui indicação para o tratamento do quadro clínico apresentado pela Autora.

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 Pegzilarginase (Loargys®) 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 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.

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 deficiência de arginase e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

O medicamento pleiteado Pegzilarginase (Loargys®) 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 a deficiência de arginase é uma doença rara. Com prevalência 1/1.000.000. 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. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)5 publicado para o manejo da deficiência de arginase.

No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil para um medicamento ser



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 1ª Vara Federal de Três Rios, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.