



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0029/2025

Rio de Janeiro, 16 de janeiro de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Refere-se à Autor, 17 anos (DN: 15/02/2007), com diagnóstico de fibrose cística aos 03 meses de idade, após suspeita clínica, alterações radiológicas, teste de suor indeterminado e genética G85E e c.232del18. Atualmente encontra-se em hemodiálise regular e em fila de transplante. Foi prescrito o medicamento Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg (Trikafta®) em uso contínuo (Evento 1,_EXMMED4, página 1 a 12 e Evento 1,_RECEIT17, página 1).

Deste modo, informa-se que o medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) não apresenta indicação descrita em bula, para o tratamento de fibrose cística com mutação G85E, quadro clínico apresentado pelo Autor, conforme relato médico. Assim, sua indicação, nesse caso, configura uso off label.

Ainda sem tradução oficial para o português, usa-se o termo off label para se referir ao uso diferente do aprovado em bula ou ao uso de produto não registrado no órgão regulatório de vigilância sanitária no País, que, no Brasil, é a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Engloba variadas situações em que o medicamento é usado em não conformidade com as orientações da bula, incluindo a administração de formulações extemporâneas ou de doses elaboradas a partir de especialidades farmacêuticas registradas; indicações e posologias não usuais; administração do medicamento por via diferente da preconizada; administração em faixas etárias para as quais o medicamento não foi testado; e indicação terapêutica diferente da aprovada para o medicamento.

Excepcionalmente a ANVISA pode autorizar o uso de um medicamento para uma indicação que não conste em bula, conforme previsto no Artigo 21 do Decreto 8.077, de



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

14 de agosto de 2013. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso off label do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) no tratamento de fibrose cística com mutação G85E (em pacientes não F508del).

Informa-se que, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022, autoriza o uso off label de medicamento em que a indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro na Anvisa, desde que seu uso tenha sido recomendado pela Conitec, demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde.

De acordo com literatura consultada, o Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) foi aprovado em mais de 30 países, incluindo os Estados Unidos da América (EUA), Canadá e Austrália. Está amplamente disponível na Europa. O tratamento foi aprovado pela Food and Drug Administration Agency (FDA) dos EUA em outubro de 2019 para tratar pacientes com fibrose cística (FC), maiores de 12 anos e com pelo menos uma mutação DF508. A FDA expandiu o número de mutações elegíveis para Trikafta® em dezembro de 2020. Segundo bula aprovada pela FDA do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®), dentre as mutações do gene CFTR que respondem ao (Trikafta®), consta a mutação G85E.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) foi incorporado ao SUS, para o tratamento de fibrose cística, conforme protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde e Portaria SECTICS/MS Nº 47, de 05 de setembro de 2023. Conforme os critérios de inclusão do aludido PCDT7, o tratamento com Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor está reservado aos pacientes com idade igual ou maior que 06 anos de idade e pelo menos uma mutação F508del no gene CFTR.

Segundo documento médico o Autor apresenta de fibrose cística com mutação G85E. Desse modo, o Suplicante não preenche os critérios estabelecidos pelo Ministério da Saúde para acesso pela via administrativa do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®).

O medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo, até o momento,



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

não foi analisado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento da fibrose cística com mutação G85E (em pacientes não F508del).

Para o tratamento Fibrose Cística no SUS, o Ministério da Saúde publicou a Portaria Conjunta SAES/SECTICS nº 5, de 30 de abril de 2024, que dispõe sobre o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT7) da Fibrose Cística no qual foi preconizado os seguintes fármacos: Alfadornase 1mg/mL, Colistimetato de sódio 80mg e 160mg, Ivacaftor 150mg, Pancreatina 10.000UI e 25.000UI, Tobramicina 300mg e Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que o Autor está cadastrado no CEAF para recebimento dos medicamentos: Alfadornase 2,5 mg e Pancreatina 25.000UI, tendo efetuado a última retirada em 13 de janeiro de 2025.

Ao Autor foi prescrito a combinação dos fármacos Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®). A título de informação, acrescenta-se que de acordo com o PCDT ministerial, o Ivacaftor (não associado) foi incorporado somente para pacientes acima de 06 anos, que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. A mutação do Autor G85E não está prevista nesta incorporação.

Dessa forma, o Autor não preenche os critérios estabelecidos pelo Ministério da Saúde para acesso pela via administrativa do fármaco isolado Ivacaftor, bem como, observa-se que dos medicamentos padronizados, alguns já são utilizados pelo Autor.

Acrescenta-se ainda que a fibrose cística (FC) é uma doença rara grave que afeta crianças causando redução significativa da qualidade de vida. 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,



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

Ademais, o Elexacftor + Tezacftor + Ivacftor (Trikafta®) foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 02 de março de 2022. Por ser um medicamento novo e embora a pesquisa tenha mostrado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo quando corretamente indicado e usado, eventos adversos imprevisíveis e desconhecidos podem acontecer¹. Nesse sentido, é importante que o Autor seja reavaliado pelo médico [NOME], a fim de comprovar 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).

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, o Elexacftor 100mg + Tezacftor 50mg + Ivacftor 75mg (Trikafta®) possui preço de fábrica R\$ 138.750,39 e o preço máximo de venda ao governo R\$ 108.877,43, para o ICMS de 20%¹⁴.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

É o parecer.

À 5ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro,
para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.