



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0336/2025

Rio de Janeiro, 07 de março de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME]

Trata-se de Autora, 12 anos (DN: 09/11/2012), com diagnóstico de acidemia propiônica, erro inato do metabolismo dos aminoácidos isoleucina, metionina, treonina e valina, além de transtorno do espectro autista. O início dos sintomas foi com 28 dias de vida, o início do acompanhamento foi em 2013, com 10 meses de vida. Manteve controle adequado das dosagens de amônia, com dieta restritiva em nitrogênio e quelação de glicina, pelo Benzoato de sódio por anos. Em julho de 2024, teve a menarca, em setembro de 2024 a dosagem de amônia mostrou um valor pouco usual, 82mMol/L. Em outubro fez o controle de amônia que veio ainda mais elevado, 102mMol/L. Em 04 de janeiro de 2025, foi internada na UTI com amônia de 185mMol/L. A partir da alta hospitalar, passou a usar Benzoato de sódio na dose de 150mg/Kg. Em 15/01/2025, a amônia dosada de 111mMol/L, mostrou que o Benzoato de sódio não controla mais seus níveis de amônia. Assim, foi indicado o uso de Ácido carglúmico 200mg (Carbaglu®) – 02 comprimidos de 200mg após café da manhã, almoço e jantar. O tempo de tratamento será definido de acordo com a resposta terapêutica. Foram mencionados os códigos da Classificação Internacional de Doenças: E71.1 – Outros distúrbios do metabolismo de aminoácidos de cadeia ramificada e F84.8 – Outros transtornos globais do desenvolvimento (Evento 1_ANEXO6, páginas 1 e 2 e Evento 1_ANEXO10, página 1).

Desse modo, informa-se que o medicamento Ácido carglúmico (Carbaglu®) está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – hiperamonemia provocada por acidemia propiônica, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que o Ácido carglúmico (Carbaglu®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS,



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

no âmbito do Município de Três Rios e do Estado do Rio de Janeiro. Assim, considerando que não existe política pública de saúde para dispensação deste medicamento salienta-se que não há atribuição exclusiva do Estado nem do Município em fornecê-lo.

O medicamento Ácido carginólico (Carbaglu®) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo ainda não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC.

Salienta-se que, até o momento, o Ministério da Saúde ainda não publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas que verse sobre acidemia propiônica – quadro clínico apresentado pela Autora e, portanto, não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Elucida-se ainda que, no momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município de Três Rios e do Estado do Rio de Janeiro, não constam alternativas terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento Ácido carginólico (Carbaglu®).

Acrescenta-se ainda que acidemia propiônica é uma doença rara, com morbidade e mortalidade significativas, caracterizada pela disfunção da complexa enzima mitocondrial piruvato Coa Carboxilase (PCC) que possui como grande consequência um enorme distúrbio metabólico grave. 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



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)³ publicado para o manejo da acidemia propiônica.

Ademais, o Ácido carginólico (Carbaglu®) foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 18 de junho de 2019. Por ser um medicamento novo e embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos¹. Nesse sentido, é importante que a Autora seja reavaliada pelo médico [NOME], a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

Quanto ao questionamento se há registro da eficácia do medicamento pretendido na literatura médica, reitera-se que o medicamento Ácido carginólico (Carbaglu®) possui registro na ANVISA. Destaca-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, bem como sua eficácia e segurança.

Em relação ao medicamento possuir congêneres ou genéricos disponíveis no mercado nacional ou internacional, informa-se que o Ácido carginólico possui registro apenas com nome comercial de Carbaglu®.

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 medicamento Ácido carginólico 200mg (Carbaglu®) com 60 comprimidos



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

para suspensão possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 20.125,78, alíquota ICMS 0%.

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.