



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0518/2025

Rio de Janeiro, 11 de abril de 2025.

Processo nº 5002468-94.2025.4.02.5103,
ajuizado por [NOME].

De acordo com os documentos médicos (Evento 1_LAUDO15_Página 1), a Autora apresenta diagnóstico de doença de Pompe, na forma de início tardio, confirmada em teste genético, com indicação para reposição enzimática através da terapia com alfa-avalglicosidase 100mg (Nexviazyme®) (Evento 1_RECEIT9_Página 1). Foi participado que a Demandante tem evoluído rapidamente com comprometimento do equilíbrio, cansaço aos pequenos esforços e dificuldade de realizar suas atividades diárias.

Dito isto, informa-se que a doença de Pompe (DP), também conhecida como glicogenose tipo II ou deficiência de maltase ácida é uma doença genética rara, de acometimento neuromuscular progressivo e frequentemente fatal nas formas mais graves, causada por variantes patogênicas bialélicas no gene GAA, localizado no cromossomo 17q25.2-q25.3.

Em consequência, existe atividade deficiente da alfa glicosidase ácida (sinônimo: maltase ácida), enzima lisossômica que libera glicose a partir do glicogênio, conforme a demanda de energia celular. A deficiência dessa enzima leva a um acúmulo de glicogênio dentro dos lisossomos e do citoplasma de múltiplos tecidos, incluindo a musculatura lisa, esquelética e cardíaca. Esse acúmulo acaba danificando o funcionamento celular e destruindo as células, por hipertrofia e ruptura dos lisossomos.

Associa-se a esse processo fisiopatológico um acúmulo do material a ser processado pelas vias autofágicas. Como regra, a atividade enzimática correlaciona-se com a idade de início e a taxa de progressão da doença, sendo algumas variantes responsáveis por ausência de atividade enzimática e resultando na DP de início precoce, infantil ou clássica - a forma mais grave da doença.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

O tratamento proposto, alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®), é indicado para terapia de reposição enzimática de uso prolongado, para o tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado da doença de Pompe (deficiência da alfa-glicosidase ácida), como é o caso em tela.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do município de Campos dos Goytacazes e Estado do Rio de Janeiro.

Elucida-se que o medicamento pleiteado alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®), até o momento, não foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento da doença de Pompe.

Para o tratamento da doença de Pompe, o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)¹, aprovado através da Portaria Conjunta nº 12, de 03 de agosto de 2020, preconizou o seguinte fármaco: alfa-avglicosidase 50mg. Entretanto, a Autora apresenta doença de pompe de instalação tardia (Evento 1_LAUDO10_Página 3), forma da doença não autorizada (critério de exclusão) pelo referido protocolo para a terapia de reposição enzimática (TRE) com alfa-avglicosidase.

Dessa forma, até o momento não existem terapias medicamentosas específicas, disponíveis no SUS, para a forma tardia da doença – caso em pauta.

Acrescenta-se ainda que a doença de Pompe também conhecida como glicogenose tipo II ou deficiência de maltase ácida é uma doença genética rara, de acometimento neuromuscular progressivo e frequentemente fatal nas formas mais graves. Nesse sentido, 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 mencionado acima.

Adicionalmente, informa-se que o medicamento alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®) possui registro ativo na Agência Nacional de Vigilância de Sanitária (Anvisa).

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 alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®) possui preço de venda ao governo correspondente à R\$ 3.697,02, alíquota ICMS 0%.

É o parecer.

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

Secretaria de
Saúde



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde