

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0532/2025

Rio de Janeiro, 10 abril de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

Trata-se de Autora, 47 anos (DN: 10/03/1978), com diagnóstico de esclerose lateral amiotrófica (ELA) familiar por mutação SOD1, início dos sintomas em 2021. No momento não deambula sem auxílio. Foi prescrito o medicamento Tofersen 100mg (Qalsody®). Mencionado o código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G12.2 – Doença do neurônio motor (Evento 1_RECEIT9, página 1, Evento 1_ATESTMED12-13, página 1 e Evento 1_ATESTMED14, página 1 a 5).

Destaca-se que o medicamento pleiteado Tofersen (Qalsody®), 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. O mesmo não integra nenhuma lista oficial de dispensação no SUS no âmbito do Município de Guapimirim e do Estado do Rio de Janeiro, logo, não cabe seu fornecimento à nenhuma das esferas de gestão do SUS.

Quanto à indicação do pleito Tofersen (Qalsody®) em outros países, de acordo com a bula da Biogen Netherlands B.V , registrada na European Medicine Agency (EMA), está indicado para o tratamento de adultos com esclerose lateral amiotrófica (ELA), associada a uma mutação no gene da superóxido dismutase 1 (SOD1). 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, analisando sua segurança e qualidade. Medicamentos ainda sem registro não possuem diretrizes nacionais que orientem seu uso.



Considerando que o pleito Tofersen (Qalsody®) 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 referida 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.

A esclerose lateral amiotrófica (ELA) é uma doença do neurônio motor (DNM) e uma das principais doenças neurodegenerativas. O diagnóstico da ELA é feito com base na presença de sinais de acometimento do NMI e NMS concomitantes em diferentes regiões. Os critérios de El Escorial revisados classificam os diagnósticos em várias categorias: ELA definitiva, ELA provável, ELA provável com suporte laboratorial, ELA possível e ELA suspeita. A Autora apresenta esclerose lateral amiotrófica (ELA) familiar por mutação SOD1.

Em relação ao tratamento da ELA, cumpre salientar que o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT5) para o manejo da Esclerose Lateral Amiotrófica, o qual recomenda como tratamento específico a terapia com o medicamento Riluzol. Contudo, o protocolo supracitado preconiza tratamento os pacientes que apresentarem os critérios diagnósticos para ELA definitiva, ELA provável ou ELA provável com suporte laboratorial, avaliados por médico especialista em neurologia e com laudo médico detalhado. Também serão incluídos os pacientes que apresentarem ELA suspeita pelos critérios de El Escorial revisados e se incluam entre os Casos Especiais. A forma apresentada pela Autora – esclerose lateral amiotrófica (ELA) familiar por mutação SOD1, não é mencionada e não está descrita para tratamento pelo Protocolo Ministerial1.

Acrescenta-se que a esclerose lateral amiotrófica (ELA) é uma doença neurodegenerativa e inexorável, que resulta na degeneração seletiva dos neurônios motores superior e inferior. Trata-se de uma doença rara que é diagnosticada em 1-2 indivíduos por 100.000 habitantes a cada ano na maioria dos países; a prevalência de ELA é de cerca de 05 casos por 100.000 habitantes, o que reflete a rápida letalidade da doença. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

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

No momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município de Guapimirim e do Estado do Rio de Janeiro, não constam alternativas terapêuticas com a mesma substância/princípio ativo que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento pleiteado Tofersen (Qalsody®).

Quanto ao questionamento referente à possibilidade de constatar a imprescindibilidade clínica do tratamento e de risco de dano irreparável ou de difícil reparação à saúde da parte autora, ante a demora no fornecimento do medicamento por ela pleiteado, entende-se que cabe ao médico assistente uma avaliação mais precisa acerca dos riscos inerentes à condição clínica atual da Autora. No relato médico (Evento 1_ATESTMED12-13, página 1 e Evento 1_ATESTMED14, página 4) consta que a Autora “Encontra-se evoluindo com grande déficit motor, comprometendo sua deambulação, sem condições de retornar ao trabalho, definitivamente. A demora na liberação do medicamento acarretará rápida evolução e morte da paciente”. Salienta-se que a demora exacerbada na realização do tratamento adequado pode influenciar negativamente no seu prognóstico.



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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) .

Considerando que o medicamento pleiteado não possui registro na ANVISA, não tem preço estabelecido pela CMED.

É o parecer.

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