



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0680/2025

Rio de Janeiro, 20 de maio de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

Refere-se a Autora, 49 anos (DN: 28/10/1975), sem comorbidades prévias, apresenta quadro progressivos de fraqueza muscular proximal em membros superiores e inferiores há aproximadamente 16 anos, caracterizando uma miopatia das cinturas. No exame neurológico, observa-se marcha miopática, fraqueza muscular proximal simétrica, com reflexos e sensibilidade preservados. Os exames complementares demonstraram elevação de CPK, eletroneuromiografia com padrão miopático e dosagem de alfa-glicosidase ácida significativamente reduzida. A confirmação diagnóstica foi realizada por meio de teste genético, que identificou duas variantes patogênicas em heterozigose composta no gene GAA, compatíveis com doença de Pompe de início tardio. Sendo prescrito, em uso contínuo, o medicamento Alfa- α -glicosidase 50mg (Myozyme®) - 20mg/kg a cada 14 dias. O atraso no início do tratamento pode resultar em agravamento irreversível da fraqueza muscular, perda da independência funcional e piora da qualidade de vida, com possíveis implicações respiratórias no futuro. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): E74.0 - Doença de depósito de glicogênio (Evento 1_ANEXO7, página 1 e 2; Evento 1_ANEXO10, página 1 a 4).

Desse modo, informa-se que o medicamento pleiteado Alfa- α -glicosidase (Myozyme®) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e está indicado em bula para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – doença de Pompe, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que Alfa- α -glicosidase 50mg é disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência



Farmacêutica (CEAF) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Doença de Pompe, e conforme o disposto na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS.

- Alfa- α -glicosidase 50mg é disponibilizado pelo CEAF perfazendo o grupo de financiamento 1A do referido componente: medicamento com aquisição centralizada pelo Ministério da Saúde e fornecidos às Secretarias de Saúde dos Estado e Distrito Federal,.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que a Autora não está cadastrada no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para recebimento de medicamentos.

Deste modo, para ter acesso ao medicamento Alfa- α -glicosidase 50mg disponibilizado no CEAF, estando a Autora dentro dos critérios para dispensação do protocolo da doença de Pompe, e ainda cumprindo o disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS e nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, que estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS, a Autora ou seu representante legal deverá efetuar cadastro junto ao CEAF comparecendo à Farmácia Polo Magé - Rua Papa Pio XII nº 35 - Centro. Tel.: (21) 2317-0217 Ramal: 117280 / Whatsapp: (21) 99876-1207, munida da seguinte documentação: Documentos pessoais: Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do CPF, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/SUS e Cópia do comprovante de residência. Documentos médicos: Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido a menos de 90 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida a menos de 90 dias.

Nesse caso, o médico assistente deve observar que o laudo médico será substituído pelo Laudo de Solicitação, avaliação e autorização de medicamentos (LME), o qual deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos Protocolos Clínicos



e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde, bem como os exames exigidos no PCDT, quando for o caso.

Para o tratamento do quadro clínico em questão, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Doença de Pompe, aprovado através da Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 12, de 03 de agosto de 2020, preconizou o seguinte fármaco: Alfa-alglicosidase 50mg.

Acrescenta-se ainda que a doença de Pompe (DP) é uma doença genética rara. A incidência global da DP é estimada em 1/40.000, sendo de 1/138.000 para os grupos A e B e de 1/57.000 para os grupos C e D. Influência étnica é identificada, pois a incidência da doença é maior entre afro-americanos (1/12.000) e chineses (1/40.000 a 1/50.000). Dados obtidos a partir de registro internacional de pacientes com DP, independente da forma clínica, mostram que 53/763 (7%) pacientes são acompanhados na América Latina. Atualmente há, no Brasil, em torno de 106 pacientes em tratamento pela terapia de reposição enzimática (TRE) com DP5. 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. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

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).



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o Alfa-alglicosidase 50mg (Myozyme®) solução injetável frasco ampola possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 1.693,37, alíquota ICMS 0%.

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.