



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0756/2025

Rio de Janeiro, 28 de maio de 2025.

[REMOVIDO], ajuizado por [NOME].

Em consonância com os documentos médicos apensados aos autos, a Autora, 10 anos, apresenta diagnóstico de hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo), confirmado através de sequenciamento genético. Foi participado tratamento prévio com Atorvastatina 10mg e Ezetimiba 10mg, sem melhora nos níveis de LDL, mesmo com a dose ajustada progressivamente. Atualmente está em uso de Rosuvastatina 20mg e Ezetimiba 10mg, sem controle adequado da doença.

A despeito do quadro clínico supramencionado, a Autora ainda apresenta epilepsia, déficit intelectual e transtorno do espectro autista, em uso de Levetiracetam (Keppra®), Clobazam (Frisium®), Topiramato, Piridoxina, Risperidona e Levomepromazina (Neozine®).

Diante do quadro clínico e genético da Demandante, foi indicado tratamento com Evinacumabe 150mg/mL, visando reduzir os níveis de LDL-C a valores seguros e prevenir eventos cardiovasculares precoces e fatais. Código da Classificação Internacional de Doenças (CID-10): E78.0 – hipercolesterolemia pura (Evento 1_ANEXO9_Página 1/3).

No que tange ao quadro clínico apresentado pela Autora, informa-se que a hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) é uma doença genética rara e grave caracterizada por níveis extremamente elevados de colesterol LDL (tipicamente >500 mg/dL) desde o nascimento, resultando em risco muito elevado de doença cardiovascular aterosclerótica precoce, frequentemente já na infância ou adolescência,. A HFHo ocorre quando um indivíduo herda variantes patogênicas em ambos os alelos de genes envolvidos na via do receptor de LDL, principalmente o gene LDLR, mas também podendo envolver APOB, PCSK9 ou, mais raramente, LDLRAP1,.

Do ponto de vista genético, a HFHo pode se manifestar como homozigose verdadeira (duas cópias idênticas da mutação) ou heterozigose composta (duas mutações



diferentes em cada alelo do mesmo gene)^{3,4,5}. Clinicamente, pacientes com HFHo apresentam níveis de LDL-C pelo menos duas vezes maiores que os observados na forma heterozigótica (HFHe), frequentemente acima de 500 mg/dL, podendo ultrapassar 1000 mg/dL em casos graves^{1,2}.

Posto isso, informa-se que o medicamento pleiteado Evinacumabe (Evkeeza®) é indicado para tratar hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) em pacientes adultos e pediátricos, conforme previsto na bula.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, insta mencionar que o Evinacumabe (Evkeeza®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de São Gonçalo e do Estado do Rio de Janeiro. Não cabendo seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

O medicamento Evinacumabe (Evkeeza®) detém registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo, até o momento não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) para o tratamento do quadro clínico descrito para a Autora.

Considerando que a hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) é classificada como uma dislipidemia, para o tratamento da doença da Autora, o Ministério da Saúde publicou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas de Dislipidemia: Prevenção de eventos cardiovasculares e pancreatite, conforme Portaria Conjunta nº 8, 30 de julho de 2019 e, por conseguinte, a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) disponibiliza através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), os seguintes medicamentos: Atorvastatina 10mg e 20mg (comprimido) e Bezafibrato 200mg (comprimido). Adicionalmente, a Secretaria Municipal de Saúde de São Gonçalo, no âmbito da Atenção Básica, através da REMUME – São Gonçalo, disponibiliza a Rosuvastatina 20mg (comprimido) e a Sinvastatina 10mg, 20mg e 40mg (comprimido).

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



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Contudo, conforme observado em laudo médico (Evento 1_ANEXO9_Página 1/3), os medicamentos destinados ao tratamento da dislipidemia – Rosuvastatina, Atorvastatina e Ezetimiba, já estiveram incluídos no plano terapêutico da Autora, em suas doses diárias máximas, sem controle efetivo da doença.

Embora não exista menção de uso prévio do medicamento Bezafibrato – preconizado no PCDT, cabe destacar que o referido fármaco não é considerado uma terapia eficaz para redução de LDL-C em pacientes com hipercolesterolemia familiar homozigótica, e seu uso não é recomendado como estratégia principal para esse objetivo.

Dessa forma, considerando que o Bezafibrato não configura uma opção terapêutica para o caso em tela e que a Requerente [NOME], sem sucesso, dos fármacos Rosuvastatina, Atorvastatina e Ezetimiba, depreende-se que, neste caso, atualmente, não constam opções terapêuticas ao pleito Evinacumabe (Evkeeza®) disponíveis no SUS para o tratamento da Autora.

Acrescenta-se ainda que a hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) é uma doença genética rara e 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. Tal PCDT foi descrito acima no presente parecer.

A título de informação, o PCDT da Dislipidemia: Prevenção de eventos cardiovasculares e pancreatite encontra-se em atualização pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS).



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Adicionalmente, informa-se que o medicamento Evinacumabe (Evkeeza®) é contraindicado em pacientes com histórico de reação de hipersensibilidade grave ao Evinacumabe ou a qualquer um dos excipientes. Os efeitos de Evinacumabe (Evkeeza®) na morbidade e mortalidade cardiovascular não foram determinados.

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).

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o Evinacumabe 150mg/mL (Evkeeza®) solução injetável possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 36.968,83, alíquota ICMS 0%.

É o parecer.

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