



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1137/2025.

Rio de Janeiro, 13 de agosto de 2025.

Processo nº 5080828-49.2025.4.02.5101,
ajuizado por **R. C. S.**

Trata-se de Autor, 10 anos, com diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne (DMD)**, conforme exame genético apresenta mutação de stop códon no gene da distrofia, realizado pelo método MLPA. Além disso, também é diagnosticado com transtorno do espectro autista e deficiência intelectual moderada. Encontra-se em tratamento com **atalureno 125mg** (Translarna®) – 1 sachê à noite (30 sachês/mês); **atalureno 250mg** (Translarna®) – um sachê pela manhã, um à tarde e dois à noite (120 sachês/mês), prednisona 20mg, enalapril 5mg e espironolactona 25mg; e terapias de reabilitação. Consta, no presente feito, a solicitação do medicamento **atalureno** nas doses de **125mg e 250mg** (Translarna®) (Evento 1, RECEIT15, Página 1; Evento 1, ANEXO19, Página 1; Evento 1, ANEXO20, Página 1).

Diante do exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **atalureno** (Translarna®) **está indicado em bula**¹ para o manejo do quadro clínico apresentado pelo Autor - **distrofia muscular de Duchenne** mutação de stop códon no gene da distrofia, em pacientes deambulatorios pediátricos a partir dos 2 anos de idade do sexo masculino.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do SUS, informa-se que o **atalureno nas doses de 125mg e 250mg** (Translarna®) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, **não cabendo** seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

O medicamento pleiteado **atalureno** (Translarna®) até o momento **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS)².

Considerando o caso em tela, informa-se que no momento **não há publicado** pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas³ para **distrofia muscular de Duchenne**, e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias**.

Elucida-se ainda, que **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma doença rara. Segundo pesquisas a incidência de DMD é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos⁴. 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

¹ Bula do medicamento atalureno (Translarna®) por PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRANSLARNA>. Acesso: 13 ago. 2025.

² BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 13 ago. 2025.

³ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 13 ago. 2025

⁴ MORAES, R.M. et al. Intervenções fisioterapêuticas na distrofia muscular de duchenne: revisão de literatura. Brazilian Journal of Health Review, Curitiba, v.4, n.2, p. 5182-5194 mar./apr2021. Disponível em: <<https://www.brazilianjournals.com/index.php/BJHR/article/view/26169/20797>>. Acesso em: 13 ago. 2025.

GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Raras⁵ 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 raras⁶. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁶ publicado para o manejo da **distrofia muscular de Duchenne**.

Não há cura para a **distrofia muscular de Duchenne**, e as intervenções são baseadas na prevenção e tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides. O Consenso Brasileiro sobre Distrofia Muscular de Duchenne recomenda que a terapia com corticosteróides seja iniciada, preferencialmente, na fase de platô dos déficits motores, a partir dos 2 anos de idade. Os autores sugerem que nesta fase, especialmente entre 2 e 3 anos, o uso dessa medicação deve ser discutido com a família devido a possibilidade de comprometimento funcional, com prejuízos na aquisição de habilidades motoras. Apesar de ser amplamente prescritos, alguns pacientes não respondem de forma satisfatória ao tratamento com corticosteróides, enquanto outros não toleram o seu uso crônico devido ao aparecimento de efeitos adversos que vão desde alterações hormonais a obesidade e redução da tolerância à glicose, e outras reações adversas já bem documentadas com o uso prolongado desses fármacos⁷.

O tratamento sintomático ainda inclui o uso de inibidores da enzima conversora da angiotensina (ECA) com ou sem betabloqueadores para cardiomiopatia; diuréticos e oxigênio para insuficiência cardíaca congestiva; transplante cardíaco para pessoas com cardiomiopatia dilatada grave; órtese e cirurgia para correção da escoliose; além de outras intervenções adequadas ao quadro clínico do paciente. Abordagens para o tratamento específico da DMD também estão sendo exploradas, tornando o panorama terapêutico para crianças mais promissor. Entre essas abordagens está o medicamento oral **atalureno** (Translarna®)⁷.

Cabe ressaltar o relato médico (Evento 1, ANEXO19, página 2), no qual consta que o Autor já faz uso de corticoide, prednisona 20 mg/dia, e enzima conversora da angiotensina (ECA) e diurético como parte do manejo clínico atual da distrofia muscular de Duchenne.

O medicamento pleiteado **possui registro ativo** na Agência Nacional de Vigilância 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)⁸.

⁵BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 13 ago. 2025.

⁶CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2015/relatorio_pcdt_doenasraras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 13 ago. 2025.

⁷CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Monitoramento do horizonte tecnológico. 03/2022.

Medicamentos para tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Brasília, abril de 2022. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/radar/2022/informemht_distrofiamuscularduchene.pdf>. Acesso em: 13 ago. 2025.

⁸BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 13 ago. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

De acordo com publicação da CMED⁹, 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 a Tabela de preços CMED o medicamento **atalureno 125mg** (Translarna®) com 30 envelopes possui preço máximo de venda ao governo R\$ 16.184,10; **atalureno 250mg** (Translarna®) com 30 envelopes possui preço máximo de venda ao governo R\$ 32.368,46, para o ICMS de 0%⁸.

É o parecer.

À 23ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ

⁹ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjojYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyLiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVIZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 13 ago. 2025.