



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1263/2025

Rio de Janeiro, 10 de setembro de 2025.

Processo nº 5089288-25.2025.4.02.5101,
ajuizado por **A. C. M. A. F.**

Trata-se de Autora, previamente saudável, que evoluiu com quadro compatível com **porfiria hepática aguda** (PHA), caracterizado por dor abdominal recorrente, sintomas neurológicos, hiponatremia e alteração da coloração urinária, confirmada como **porfobilinúria**. Exame genético (*Next-Generation Sequencing*) identificou mutação *missense* heterozigótica c.583C>T (p.Arg195Cys) no *éxon* 9 do gene HMBS, confirmando diagnóstico de **porfiria intermitente aguda**, forma rara de porfiria hepática aguda. Foi submetida a tratamento de primeira linha com glicose hipertônica, porém apresentou recorrência dos sintomas após a alta, com repercussões clínicas e psicossociais relevantes. Não conseguiu acesso ao tratamento específico com Hemina/Hematina, por falta de disponibilidade. Desse modo, foi prescrito à Autora, o medicamento **Givosirana Sódica 189mg/mL** (Givlaari®) na posologia de 01 frasco/mês de forma contínua (Evento 1_EXMMED10_Página 1/3).

No que concerne ao quadro clínico da Demandante, informa-se que a **porfiria hepática aguda** (PHA) é um grupo de doenças genéticas **raras** causadas por defeitos enzimáticos na via de biossíntese do *heme*, levando ao acúmulo de precursores neurotóxicos, principalmente ácido δ -aminolevulínico (ALA) e porfobilinogênio (PBG), no sangue e urina. As principais formas de PHA incluem **porfiria aguda intermitente**, coproporfiria hereditária, porfiria variegata e a ultra-rara deficiência de ALA desidratase¹.

Cumprido informar que o medicamento pleiteado **Givosirana Sódica** (Givlaari®) apresenta indicação prevista em bula², para o manejo do quadro clínico apresentado pela Autora – **porfiria hepática aguda** (PHA) em adultos, conforme relato médico.

No que tange à disponibilização do medicamento pleiteado no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, informa-se que a **Givosirana Sódica** (Givlaari®) não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

O medicamento **Givosirana Sódica** foi submetido à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, que deliberou por não incorporar no âmbito do SUS, o aludido fármaco para o tratamento pacientes adultos com porfirias hepáticas agudas.

A CONITEC, em recomendação preliminar, manifestou-se pela **não incorporação da tecnologia ao SUS**, fundamentando-se no elevado impacto orçamentário diante da relação entre

¹ Moghe A, McGuire BM, Levy C. Acute hepatic porphyrias-A guide for hepatologists. Hepatology. 2024 Apr 12. Disponível em: <<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/38607698/>>. Acesso em: 10 set. 2025.

² Bula do medicamento Givosirana Sódica (Givlaari®) por Specialty Pharma Goias LTDA. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=193610002>>. Acesso em: 10 set. 2025.



custos e benefícios clínicos. Após a realização da consulta pública, o Colegiado **mantve o posicionamento inicial**, concluindo pela **não incorporação**³.

Ademais, informa-se que este Núcleo não identificou Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicado⁴ para **porfiria hepática aguda** – quadro clínico apresentado pela Autora e, portanto, **não há lista oficial e específica de medicamentos** que possam ser implementados nestas circunstâncias.

Acrescenta-se ainda que a **porfiria hepática aguda** é considerada uma doença rara¹. 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. A Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças 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.

Nesta linha intelectual, considerando a enfermidade apresentada pela Requerente, informa-se que, conforme consulta ao sítio eletrônico da CONITEC, o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)** para **porfirias** já **foi aprovado**, e no momento, aguarda publicação oficial⁷.

O medicamento **Givosirana Sódica 189mg/mL** (Givlaari®) **possui registro** na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), contudo **não integra** a Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME⁸).

Não há disponível no SUS, medicamento que configure uma opção terapêutica ao fármaco prescrito – **Givosirana Sódica 189mg/mL** (Givlaari®).

Considerando que **não há** lista oficial de medicamentos estabelecida para essa condição, não é possível afirmar que todas as opções terapêuticas tenham sido efetivamente esgotadas.

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

³ BRASIL. Ministério da Saúde. Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC – Relatório Nº 639. Junho/2021. Givosirana para o tratamento pacientes adultos com porfirias hepáticas agudas. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2021/20210712_relatorio_639_givosirana_porfiriahepatica_p38.pdf>. Acesso em: 10 set. 2025.

⁴ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/protocolos-clinicos-e-diretrizes-terapeuticas>>. Acesso em: 10 set. 2025.

⁵ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 10 set. 2025.

⁶ CONITEC. 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: 10 set. 2025.

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/pcdt-em-elaboracao-1>>. Acesso em: 10 set. 2025.

⁸ Ministério da Saúde. Gabinete do Ministro. Portaria nº 1554, de 30 de julho de 2013. Disponível em: <https://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2013/prt1554_30_07_2013.html>. Acesso em: 10 set. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)⁹.

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED, o **Givosirana Sódica 189mg/mL** (Givlaari[®]) solução injetável, possui preço máximo de venda ao governo R\$ 220.186,82, para a alíquota ICMS 0%¹⁰.

É o parecer.

À 15ª 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.

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe

CRF-RJ 10.277

ID. 436.475-02

⁹ BRASIL 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: 10 set. 2025.

¹⁰ BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em: <<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 10 set. 2025.