



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1571/2025

Rio de Janeiro, 30 de outubro de 2025.

Processo nº 5004529-83.2025.4.02.5116,
ajuizado por **P. O. N.**

Trata-se de Autor, 23 anos (DN: 07/10/2002), com diagnóstico de **fibrose cística**, gene **CFTR p.Gly85Glu**, também conhecida como **G85E**. Sendo prescrito, em uso contínuo, o medicamento **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg** - 90 comprimidos/mês (Evento 1_EXMMED4, página 3 a 5; Evento 1_EXMMED5, Página 5).

Deste modo, informa-se que o medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)** **não apresenta indicação descrita em bula**¹, para o tratamento de **fibrose cística** com **mutação G85E**, quadro clínico apresentado pelo Autor, conforme relatado em documento médico. Assim, **sua indicação, nesse caso, configura uso off-label**.

Ainda sem tradução oficial para o português, usa-se o termo **off label** para se referir ao uso diferente do aprovado em bula ou ao uso de produto não registrado no órgão regulatório de vigilância sanitária no País, que, no Brasil, é a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa). Engloba variadas situações em que o medicamento é usado em não conformidade com as orientações da bula, incluindo a administração de formulações extemporâneas ou de doses elaboradas a partir de especialidades farmacêuticas registradas; indicações e posologias não usuais; administração do medicamento por via diferente da preconizada; administração em faixas etárias para as quais o medicamento não foi testado; e indicação terapêutica diferente da aprovada para o medicamento².

Excepcionalmente a ANVISA pode autorizar o uso de um medicamento para uma indicação que não conste em bula, conforme previsto no Artigo 21 do Decreto 8.077, de 14 de agosto de 2013³. Contudo, atualmente, não há autorização excepcional pela ANVISA para o uso **off label** do medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®)** no tratamento de **fibrose cística** com **mutação G85E** (em pacientes não F508del).

¹Bula do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta®) por Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRIKAFTA>>. Acesso em: 30 out. 2025.

²Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS, Secretaria de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos, Ministério da Saúde. *Uso off label: erro ou necessidade?* Informes Técnicos Institucionais. Rev. Saúde Pública 46 (2). Abr. 2012. Disponível em: <[https://www.scielo.br/j/rsp/a/zLdN6Dfgf5B6wQvR9XNmnGR/?lang=pt#:~:text=Ainda%20sem%20tradu%C3%A7%C3%A3o%20oficial%20para,de%20Vigil%C3%A2ncia%20Sanit%C3%A1ria%20\(Anvisa\)](https://www.scielo.br/j/rsp/a/zLdN6Dfgf5B6wQvR9XNmnGR/?lang=pt#:~:text=Ainda%20sem%20tradu%C3%A7%C3%A3o%20oficial%20para,de%20Vigil%C3%A2ncia%20Sanit%C3%A1ria%20(Anvisa)>)>. Acesso em: 30 out. 2025.

³BRASIL. Decreto Nº 8.077, de 14 de agosto de 2013. Regulamenta as condições para o funcionamento de empresas sujeitas ao licenciamento sanitário, e o registro, controle e monitoramento, no âmbito da vigilância sanitária, dos produtos de que trata a Lei nº 6.360, de 23 de setembro de 1976, e dá outras providências. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2013/Decreto/D8077.htm>. Acesso em: 30 out. 2025.



Informa-se que, a Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022⁴, autoriza o uso **off-label** de medicamento em que a indicação de uso seja distinta daquela aprovada no registro na Anvisa, desde que seu uso tenha sido recomendado pela Conitec, demonstradas as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança, e esteja padronizado em protocolo estabelecido pelo Ministério da Saúde.

De acordo com literatura consultada, o **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta[®]) foi aprovado em mais de 30 países, incluindo os Estados Unidos da América (EUA), Canadá e Austrália. Está amplamente disponível na Europa. O tratamento foi aprovado pela Food and Drug Administration Agency (FDA) dos EUA em outubro de 2019 para tratar pacientes com **fibrose cística (FC)**, maiores de 12 anos e com pelo menos uma mutação DF508. A FDA expandiu o número de mutações elegíveis para Trikafta[®] em dezembro de 2020⁵. Segundo bula⁶ aprovada pela FDA do medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta[®]), dentre as mutações do gene CFTR que respondem ao (Trikafta[®]), consta a mutação G85E.

No que tange à disponibilização pelo SUS do medicamento pleiteado, insta informar que:

- **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg é disponibilizado** pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF⁷) aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Fibrose Cística, 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.
 - **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg** 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^{8,9}*.

⁴DIÁRIO OFICIAL DA UNIÃO. Lei nº 14.313, de 21 de março de 2022. Disponível em: <<https://www.in.gov.br/en/web/dou/-/lei-n-14.313-de-21-de-marco-de-2022-387356896>>. Acesso em: 30 out. 2025.

⁵SOCIEDADE BRASILEIRA DE PEDIATRIA. Aprovação do medicamento Trikafta[®] para tratamento da Fibrose Cística. Nota Técnica Nº 88, 07 de agosto de 2023. Disponível em: <https://www.sbp.com.br/fileadmin/user_upload/24202c-NT_-_Aprovacao_do_Medic_Trikafta_para_Tratam_da_Fibrose_Cistica.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.

⁶Bula do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta[®]) por Vertex Pharmaceuticals Incorporated. Disponível em: <https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2021/212273s004lbl.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.

⁷GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO. Relação de Medicamentos do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica – CEAF disponibilizados pela SES/RJ. Disponível em:

<https://www.rj.gov.br/saude/sites/default/files/arquivo_pagina_basica/Relacao-de-Medicamentos-do%20CEAF-RJ-por-CID-atualizada-em-26.09.2025.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.

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

⁹Ministério da Saúde. Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME 2024). Disponível em: <https://bvsmms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Destaca-se que a mutação do Demandante a saber: mutação G85E, não está dentre as contempladas para a retirada do medicamento pela via do CEAF, impossibilitando a obtenção do Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg pela via administrativa.

O medicamento **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta[®]) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Contudo até o momento não foi analisado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)¹⁰ para o tratamento de da **fibrose cística** com mutação G85E (em pacientes não F508del).

Para o tratamento **Fibrose Cística** no SUS, o Ministério da Saúde publicou a Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 5, de 30 de abril de 2024, a qual dispõe sobre o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT¹¹) da **Fibrose Cística** no qual foi preconizado os seguintes fármacos: Alfadornase 1mg/mL, Colistimetato de sódio 80mg e 160mg, Ivacaftor 150mg, Pancreatina 10.000UI e 25.000UI, Tobramicina 300mg e Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor.

Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS) verificou-se que o Autor está cadastrado no CEAF para recebimento dos medicamentos: Alfadornase 2,5 mg e Pancreatina 25.000UI, tendo efetuado a última retirada em 03 de outubro de 2025.

Verificou-se também que o Autor solicitou cadastro no CEAF para recebimento do medicamento **Elexacaftor 100mg + Tezacaftor 50mg + Ivacaftor 75mg** em 04 de junho 2025, no entanto, em 05 de junho de 2025, teve sua solicitação não autorizada. No campo observação consta: Paciente com genética G85E e N1303K.

Ao Autor foi prescrito a combinação dos fármacos **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta[®]). A título de informação, acrescenta-se que de acordo com o PCDT ministerial, o Ivacaftor (não associado) foi incorporado somente para pacientes acima de 6 anos, que apresentem uma das seguintes mutações de *gating* (classe III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. A mutação do Autor G85E não está prevista nesta incorporação.

Dessa forma, o Autor não preenche os critérios estabelecidos pelo Ministério da Saúde para acesso pela via administrativa do fármaco isolado Ivacaftor, bem como, observa-se que dos medicamentos padronizados, alguns já são utilizados pelo Autor.

Acrescenta-se ainda que a **fibrose cística (FC)** é uma doença rara grave que afeta crianças causando redução significativa da qualidade de vida¹². 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

¹⁰BRASIL. 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: 30 out. 2025.

¹¹BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta SAES/SECTICS Nº 5, de 30 de abril de 2024. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Fibrose Cística. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.

¹²Brasil. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística com 6 anos de idade ou mais com ao menos uma mutação f508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística. Relatório de Recomendação Nº 844, agosto/2023. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2023/20230906Relatorio844elexacaftor_tezacaftor_ivacaftor.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras¹³ 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 raras¹⁴. Tal PCDT foi descrito a cima no presente parecer.

Ademais, o **Elexacftor + Tezacftor + Ivacftor (Trikafta®)** foi registrado pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) em 02 de março de 2022. Por ser um medicamento novo e embora a pesquisa tenha mostrado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo quando corretamente indicado e usado, eventos adversos imprevisíveis e desconhecidos podem acontecer¹. Nesse sentido, é importante que o Autor seja reavaliado pelo médico assistente periodicamente, a fim de comprovar a efetividade do tratamento.

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)¹⁵.

De acordo com publicação da CMED¹⁶, 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, **Elexacftor 100mg + Tezacftor 50mg + Ivacftor 75mg (Trikafta®)** com 84 comprimidos revestidos possui preço de venda ao governo correspondente a R\$ 86.636,44, para a alíquota ICMS 0%¹⁷.

Quanto ao valor anual do medicamento com base no *Preço Máximo de Venda do Governo (PMVG)*, de acordo com o documento médico (Evento 1_EXMMED5, Página 5), está prescrito ao Autor, “o medicamento **Elexacftor 100mg + Tezacftor 50mg + Ivacftor 75mg** - 90 comprimidos/mês, *uso contínuo*”.

¹³BRASIL. 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: 30 out. 2025.

¹⁴CONITEC. 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: 30 out. 2025.

¹⁵BRASIL 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: 30 out. 2025.

¹⁶BRASIL 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/arquivos/pdf_conformidade_gov_20250107_175641971.pdf>. Acesso em: 30 out. 2025.

¹⁷BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Consulta de Preço Máximo ao Governo. Disponível em:

<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIiwidCI6ImI2N2FmMjNmLWZjMjMtNGQzNS04MGM3LW13MDg1ZjVlZGQ4MjM5J9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 30 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- Assim, mensalmente, seria utilizado: 1 x 86.636,44. **Para 12 meses de tratamento, seria: 12 x 86.636,44 = 1.039.637,28.** Desse modo, **o valor anual do tratamento seria de R\$ 1.039.637,28**, com base no preço de venda ao governo, alíquota ICMS 0%⁵.

É o parecer.

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

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.