

NOTA TÉCNICA Nº 6560/2024 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº: 5003473-90.2024.4.03.6128
- 1.3. Data da Solicitação: 08/10/2024
- 1.4. Data da Resposta: 29/10/2024

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 12/05/2010 - 14 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Jundiaí/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística – CID10 E84.0E84.1

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO - **TRIKAFTA**
TRIKAFTA (ELEXACAFOR 50MG + TEZACAFOR 25MG + IVACAFOTR 37,5MG E 75MG CO-EMBALADOS)
 - 4.2. Princípio Ativo: TEZACAFOR, ELEXACAFOR, IVACAFOR
 - 4.3. Registro na ANVISA: 1382300050029
 - 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: NÃO
 - 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar:
 - Ivacaftor (Kalydeco): registro na ANVISA e avaliação favorável CONITEC;
 - Ivacaftor + Lumacaftor (Orkambi): registro na ANVISA e avaliação desfavorável pela CONITEC;
 - Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko): registro na ANVISA e avaliação desfavorável pela CONITEC;
 - Terapia tripla (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor = Trikafta) Com registro ANVISA. Sem avaliação CONITEC.
- De acordo como Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (Portaria Conjunta nº 25, de 27 de dezembro de 2021) são previstos para tratamento: alfadornase, tobramicina, pancreatina, ivacaftor e transplante.
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: NÃO
 - 4.7. Denominação genérica: TEZACAFOR, ELEXACAFOR, IVACAFOR
 - 4.8. Laboratório: VERTEX FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA

4.9. Recomendações da CONITEC: Trikafta foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec) e recebeu recomendação favorável à incorporação no SUS por trazer benefícios clínicos importantes, como a melhora da função pulmonar, do estado nutricional do paciente, com consequente redução das internações hospitalares, retirada do paciente da fila de transplante pulmonar e melhora da qualidade e expectativa de vida em agosto de 2023.

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A fibrose cística é uma doença causada por mutações genéticas que levam à produção, por alguns órgãos, de secreções mais espessas do que deveriam ser. O principal órgão acometido é o pulmão. A produção de muco espesso aumenta o risco de infecções bacterianas de repetição e destruição do parênquima pulmonar.

O tratamento da doença é baseado no uso de terapias inalatórias que objetivam fluidificar o muco, além de tratamento das infecções pulmonares. O acometimento de outros órgãos, como o pâncreas, pode levar a outras terapias, como reposição de enzimas pancreáticas.

Na última década, houve o surgimento de medicações novas, chamadas de moduladoras da proteína CFTR (envolvida no mecanismo básico da doença). Existem quatro destas medicações até o momento: Kalydeco, Symdeko, Orkambi e Trikafta. Cada uma delas tem uma indicação específica, guiada principalmente pela mutação genética carregada pela pessoa doente.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O medicamento elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor foi incluído na atualização do PCDT de fibrose cística em maio de 2024. O medicamento foi incluído para o tratamento da fibrose cística, em pacientes com 6 ou mais anos de idade que apresentem pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística (CFTR). Ganhos pulmonares.

5.3. Parecer

() Favorável

(x) Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O medicamento elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor foi incluído na atualização do PCDT de fibrose cística em maio de 2024. O medicamento foi incluído para o tratamento da fibrose cística, em pacientes com 6 ou mais anos de idade que apresentem pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condução transmembrana de fibrose cística (CFTR).

Equipes assistenciais devem preencher os documentos apropriados e fornecer as orientações corretas para que pacientes adquiram o medicamento.

Não foi observada demanda que indique a necessidade de discutir algum aspecto não abordado pelo PCDT.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

() SIM, com potencial risco de vida

() SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

(x) NÃO

5.5. Referências bibliográficas:

https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf

5.6. Outras Informações – conceitos:

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

<https://www.conass.org.br/wp-content/uploads/2022/01/RENAME-2022.pdf>

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três

entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

Considerações NAT-Jus/SP: A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

Equipe NAT-Jus/SP