



NOTA TÉCNICA Nº 216/2022 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 25ª Vara Cível Federal de São Paulo – TRF3
- 1.3. Processo nº: 5001413-05.2022.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **08/02/2022**
- 1.5. Data da Resposta: **14/02/2022**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 25/05/1998 – 23 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística - CID E84.8

Diagnóstico aos 5 anos de idade; desde o nascimento tem sintomas da doença, com diarreia crônica e dificuldade de ganho pondero estatural; apresentou inúmeras internações e necessidades de uso de antibioticoterapia domiciliar por exarcebações pulmonares; aos 13 anos realizou gastrotomia e desde então faz suplementação alimentar pela GTM diariamente; tem colonização crônica Pseudomonas aeruginosa e Staphylococcus aureus desde os 12 anos de idade quando iniciou antibióticos inalatórios de forma contínua, tobramicina e colistimetato de sódio em meses alternados, e azitromicina três vezes na semana. Desde 2015 vem apresentando queda acentuada na função pulmonar com VEF1 36% e em 2020 VEF1 de 16%. A partir de 2019 houve aumento considerável das internações, e neste mesmo ano iniciou uso de oxigênio domiciliar com cateter nasal no período noturno. No ano de 2021 permaneceu hospitalizada em 4 ocasiões. Tem indicação de transplante pulmonar, que representa terapêutica final nesta doença.



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

O medicamento requerido é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor?

A terapia classicamente instituída é a terapia de suporte.

Há quanto tempo o medicamento passou a fazer parte da terapêutica da doença em questão e com que resultados?

Por favor, ler a seguir (item 5. Discussão e Conclusão)

Trata-se de medicamento experimental?

Não.

O medicamento tem registro na Anvisa? Houve pedido de registro não apreciado? Se sim, desde quando pende de apreciação? Houve recusa de registro pela Anvisa?

Por favor, ler a seguir.

O medicamento requerido está incorporado ao SUS? Se negativa a resposta, esclarecer se houve proposta de incorporação (não acatada) ou de não-incorporação?

Por favor, ler a seguir.

O SUS oferece alternativa de tratamento? Qual?

Não há tratamento específico disponibilizado, apenas a terapia de suporte.

Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde do autor em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do pretendido?

Não há medicamentos com eficiência semelhante.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento

TRIKAFTA (elexacaftor 100mg/tezacaftor 50mg/ivacaftor 75mg e ivacaftor 150mg)



- 4.2. Princípio Ativo: elexacafor + tezacaftor + ivacaftor
- 4.3. Registro na ANVISA: sem registro.
- 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
- 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar:
Ivacaftor (Kalydeco) -Com registro ANVISA, avaliação favorável CONITEC;
Ivacaftor + Lumicaftor (Orkambi). Com registro ANVISA, avaliação desfavorável pela CONITEC;
Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko). Com registro ANVISA, sem avaliação CONITEC;
Terapia tripla (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor = Trikafta) está aprovada pelo FDA, mas ainda não pela ANVISA. Sem avaliação CONITEC.
- 4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não há.
- 4.7: Tratamento mensal:
- 4.7.1: Dose diária recomendada: 2 comprimidos laranjas (100mg/50mg/75mg) pela manhã e um azul (150mg) à noite
- 4.8. Recomendações da CONITEC: não avaliado

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.



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

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 (1). Entretanto, trata-se de medicação ainda sem registro na ANVISA. De acordo com artigo publicado no site Unidos Pela Vida (2), a empresa Vertex Pharmaceuticals, produtora da medicação, solicitou o registro na ANVISA no dia 26/03/2021. A partir deste momento, a agência tem 90 dias para conceder o registro e a medicação poder ser comercializada no país, de acordo com a Lei nº 13.411, de 28 de dezembro de 2016 (3). O fornecimento, pelo Estado, de medicamentos sem registro na ANVISA, de acordo com o entendimento do STF (4), só pode ocorrer em casos excepcionais:

O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais.

A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial.

É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:

(i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras);

(ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e

(iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na ANVISA deverão necessariamente ser propostas em face da União.

O item 3 deste entendimento deixa claro que a concessão judicial sem registro sanitário tem como pré-requisito mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016). No caso em questão, o prazo da agência iniciou-se no fim de março e está se encerrando agora, no final de junho.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

A terapia tem como principais benefícios o ganho em qualidade de vida, melhora da função pulmonar e menor taxa de sintomas e exacerbações respiratórias (1)(5).

5.3. Parecer

() Favorável

(**X**) **Desfavorável**

5.4. Conclusão Justificada:

A terapia tem evidência de benefícios para casos como o do paciente. Entretanto, neste momento não se justifica a liberação de uma medicação sem registro sanitário, conforme exposto acima.

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**



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

5.5. Referências bibliográficas:

1. UpToDate: Cystic fibrosis: Treatment with CFTR modulators
2. <https://unidospelavida.org.br/pedidoregistroanvisatrikafta/>
3. http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2015-2018/2016/Lei/L13411.htm
4. <https://www.migalhas.com.br/quentes/302836/stf--estado-so-deve-fornecer-medicamentos-sem-registro-na-anvisa-em-casos-excepcionais>
5. Southern KW, Murphy J, Sinha IP, Nevitt SJ. Corrector therapies (with or without potentiators) for people with cystic fibrosis with class II CFTR gene variants (most commonly F508del). Cochrane Database Syst Rev. 2020 Dec 17;12:CD010966.

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

Equipe NAT-Jus/SP