

## **NOTA TÉCNICA Nº 1598/2021 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 25ª Vara Federal de São Paulo – TRF3
- 1.3. Processo nº: 5007477-65.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **12/11/2021**
- 1.5. Data da Resposta: **29/11/2021**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 09/06/2000 - 21 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística - CID E84.8

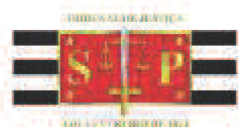
### **3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)**

**O medicamento requerido é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor? Há quanto tempo o medicamento passou a fazer parte da terapêutica da doença em questão e com que resultados?**

Não, apenas mais recentemente o medicamento passou a ser considerado para a doença em questão.

#### **Trata-se de medicamento experimental?**

É um medicamento ainda com poucas evidências científicas, mas não é uma droga experimental.



**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?**

Detalhes 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?**

Detalhes a seguir.

**O SUS oferece alternativa de tratamento? Qual?**

Terapias de suporte de acordo com os órgãos afetados pela doença.

**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.

#### **4. Descrição da Tecnologia**

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento

TRIKAFTA

4.2. Princípio Ativo: Elexacaftor, Ivacaftor, Tezacaftor

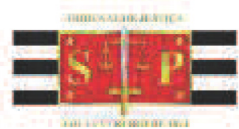
4.3. Registro na ANVISA: sem registro.

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 + Lumacaftor (Orkambi). Com registro ANVISA, avaliação desfavorável pela CONITEC;



Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko). Com registro ANVISA, em 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

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

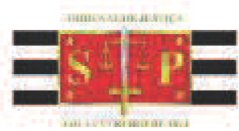
## **5. Discussão e Conclusão**

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.

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



**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

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.

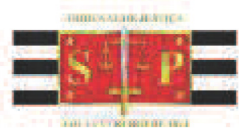
É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:

- (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.

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.





**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

5.2. 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 da 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?

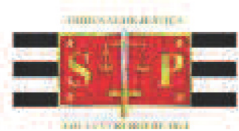
( ) SIM, com potencial risco de vida

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

( **X** ) **NÃO**

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](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.



**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

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

**Equipe NAT-Jus/SP**