



## **NOTA TÉCNICA 794/2021 - NAT-JUS/SP**

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

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 2ª Vara Federal Cível/SP
- 1.3. Processo nº: 5017574-61.2020.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **15/07/2021**
- 1.5. Data da Resposta: **23/07/2021**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 26/11/1987- 33 anos
  - 2.2. Sexo: feminino
  - 2.3. Cidade/UF: Barueri/ SP
  - 2.4. Histórico da doença: **Fibrose cística (CID 10- E84.8)**
- Solicita **Symdeko**

### **3. Quesitos formulados pelo Magistrado**

### **4. Descrição da Tecnologia**

- 4.1. Tipo da tecnologia: medicamento
- SYMDEKO**
- 4.2. Princípio Ativo: IVACAFTOR; TEZACAFTOR
  - 4.3. Registro na ANVISA: 1382300030011
  - 4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
  - 4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: Ivacaftor (Kalydeco) apresenta registro na ANVISA, com avaliação favorável CONITEC; Ivacaftor + Lumicaftor (Orkambi) tem registro na ANVISA, avaliação desfavorável pelo CONITEC; Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko) tem registro na ANVISA, sem avaliação pelo CONITEC; Terapia tripla (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor =



**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

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. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: IVACAFTOR; TEZACAFTOR

4.7.2. Laboratório: VERTEX FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.

4.7.3. Marca comercial: SYMDEKO

4.7.3. Apresentação: (100 + 150) MG COM REV + 150 MG COM REV CT BL AL PLAS PVC/ACLAR TRANS X 28+28

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 70.176,40

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 119.149,48

4.8: Tratamento mensal:

4.8.1: Dose diária recomendada: 1 comp de cada 1x/ dia

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da ANVISA/CMED. Referência julho2021. Disponível em:

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>

4.10. 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. A medicação solicitada foi a Symdeko composta por Tezacaftor – Ivacaftor utilizada em pacientes com a mutação Phe508del.

Os grandes ensaios clínicos randomizados publicados na revista New England Journal of Medicine no ano de 2017 que envolveram o uso dessa medicação possuem como desfecho primário parâmetros da prova de função pulmonar, isto é, valores de um exame que refletem capacidade pulmonar. Ambos estudos foram positivos para melhora de capacidade respiratória em uso por 8 a 24 semanas. Os desfechos secundários do estudo que devem ser interpretados com muita cautela do ponto de vista metodológico sugerem benefício de qualidade de vida e redução de exacerbações infecciosas. Ambos estudos não analisaram diferença quanto à sobrevida dado breve período de seguimento.

Medicação aprovada pela ANVISA, porém ainda não avaliada pela CONITEC. Deve-se considerar que a medicação dual Lumacaftor-Ivacaftor já foi avaliada pela CONITEC e foi optado por não incorporação ao SUS, considerando resultados clínicos discretos com impacto orçamentário significativo.

**5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:**

Paciente com fibrose cística com 33 anos de idade com realização de múltiplas terapias disponíveis no SUS.

Conforme explanação em item anterior, há possibilidade de impacto em parâmetros de prova de função pulmonar e ganho de qualidade de vida, porém sem impacto demonstrado em sobrevida.

**5.3. Parecer**

( ) Favorável

( **X** ) **Desfavorável**



**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

5.4. Conclusão Justificada: medicação com impacto clínico em prova de função pulmonar e qualidade de vida, porém sem impacto demonstrado em sobrevida. Não avaliada pela CONITEC.

5.5. Referências bibliográficas:

1. Relatório de recomendação – Lumacaftor/Ivacaftor para o tratamento de pacientes com fibrose cística homozigótica para a mutação de F508del – número 579 – novembro 2020 – Conitec acessado em 19 de julho de 2021 em [http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/20201203\\_Relatorio\\_Lumacaftor\\_Ivacaftor\\_para\\_Fibrose\\_Cistica\\_579.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2020/20201203_Relatorio_Lumacaftor_Ivacaftor_para_Fibrose_Cistica_579.pdf)
2. Protocolo clínico e diretrizes terapêuticas Fibrose cística – manifestações pulmonares de 2017 acessado em 19 de julho de 2021 em <https://portalarquivos.saude.gov.br/images/pdf/2017/outubro/09/PCDT-Fibrose-Cistica-Pulmao.pdf>
3. Diretrizes brasileiras de diagnóstico e tratamento da fibrose cística – Jornal Brasileiro de Pneumologia. 2017; 43 (3); 219-245.
4. Taylor-Cousar JL, Munck A, McKone EF, van der Ent CK, Moeller A, Simard C, Wang LT, Ingenito EP, McKee C, Lu Y, Lekstrom-Himes J, Elborn JS. Tezacaftor-Ivacaftor in Patients with Cystic Fibrosis Homozygous for Phe508del. N Engl J Med. 2017 Nov 23;377(21):2013-2023. doi: 10.1056/NEJMoa1709846. Epub 2017 Nov 3. PMID: 29099344.
5. Rowe SM, Daines C, Ringshausen FC, Kerem E, Wilson J, Tullis E, Nair N, Simard C, Han L, Ingenito EP, McKee C, Lekstrom-Himes J, Davies JC. Tezacaftor-Ivacaftor in Residual-Function Heterozygotes with Cystic Fibrosis. N Engl J Med. 2017 Nov 23;377(21):2024-2035. doi: 10.1056/NEJMoa1709847. Epub 2017 Nov 3. PMID: 29099333; PMCID: PMC6472479.
6. Sala MA, Jain M. Tezacaftor for the treatment of cystic fibrosis. Expert Rev Respir Med. 2018 Sep;12(9):725-732. doi: 10.1080/17476348.2018.1507741. Epub 2018 Aug 9. PMID: 30073878.



**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

7. 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**