



## PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2109/2022

Rio de Janeiro, 06 de setembro de 2022.

Processo nº 0213520-69.2022.8.19.0001,  
ajuizado por [REDACTED],  
neste ato representado [REDACTED]  
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **3º Juizado Especial Fazendário** da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg (Trikafta®)**.

### I – RELATÓRIO

1. Por ser suficiente para elaboração deste parecer técnico, foi considerado o documento do Instituto Nacional Fernandes Figueira (fls. 51 a 60), emitido em 30 de maio de 2022 pela médica [REDACTED].
2. Em síntese, trata-se de Autor com **fibrose cística** com mutação dos **genes F508d e G54x**, diagnosticado após internação por íleo meconial no período neonatal, com acompanhamento pela pneumologia desde os dois meses de vida. O segmento do Autor vem sendo realizado segundo a colonização da via aérea (erradicação de pseudomonas). Seu monitoramento tem sido realizado por meio da avaliação clínica e laboratorial. Nutricionalmente, necessita de reposição enzimática com panceratina e reposição de vitaminas. Necessita de fisioterapia respiratória regular, e atualmente faz uso, para doença pulmonar, dos medicamentos alfadornase, salina hipertônica; salbutamol e beclometasona por via inalatória. Como o Requerente apresenta **fibrose cística** com mutação do **gene F508del**, há indicação de uso do medicamento **Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5 mg (Trikafta®)** – 02 cápsulas pela manhã, próximo à refeição. Tal medicamento traz benefícios cumulativos, como aumento dos parâmetros da prova de função pulmonar, do índice de massa corporal, redução do número de exacerbações e hospitalizações, com aumento da qualidade de vida. Assim, o atraso no acesso do citado fármaco pode trazer impacto negativo no comprometimento pulmonar e na sobrevivência do Autor.

### II – ANÁLISE DA LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.



3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.
5. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
6. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
7. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
8. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

## **DO QUADRO CLÍNICO**

1. A **fibrose cística (FC)** é uma doença genética com acometimento multissistêmico e impacto significativo na qualidade e na expectativa de vida dos pacientes. Sua fisiopatologia decorre de variantes patogênicas em ambos os alelos do gene CFTR, codificador da proteína CFTR, um canal de cloreto e bicarbonato presente na superfície apical das células epiteliais do organismo e que bombeia substratos de forma ativa através das membranas. Defeitos na sua síntese ou função resultam em manifestações clínicas variáveis, incluindo insuficiência pancreática exócrina e má absorção de nutrientes, doença pulmonar crônica progressiva, risco aumentado de desidratação e distúrbios metabólicos. Existem mais de 2.000 mutações identificadas no gene CFTR, registradas na base de dados *Cystic Fibrosis Mutation Database*. Essas mutações são classificadas conforme o tipo de defeito que causam na proteína CFTR (maior ou menor expressão ou alteração de sua função nas células epiteliais). As mutações do gene CFTR são categorizadas em seis classes distintas: Classe I (produção); Classe II (processamento) – síntese de uma proteína imatura, com pouca ou nenhuma



proteína na membrana apical. Nesta classe, a mutação mais frequente é a Phe508del; Classe III (regulação); Classe IV (condução); Classe V (síntese reduzida); e Classe VI (degradação acelerada)<sup>1</sup>.

## **DO PLEITO**

1. **Ellexacftor** e **Tezacftor** atuam como corretores de CFTR e **Ivacaftor** é um potencializador de CFTR. O efeito combinado de **Ellexacftor**, **Tezacftor** e **Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) é o aumento da quantidade e da função do CFTR na superfície celular, resultando em aumento na atividade de CFTR medida pelo transporte de cloreto mediado por CFTR. Está indicado para o tratamento da fibrose cística (FC) em pacientes com 6 anos de idade ou mais que tenham pelo menos uma mutação F508del no gene regulador de condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR)<sup>2</sup>.

## **III – CONCLUSÃO**

1. Inicialmente, informa-se que o medicamento pleiteado **Ellexacftor 50mg + Tezacftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg** (Trikafta<sup>®</sup>), que apresenta registro recente (02 de março de 2022) na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), **possui indicação**, que consta em bula<sup>2</sup> para tratamento da patologia do Autor (11 anos de idade) - **fibrose cística (FC) com mutação F508del**, conforme relatos médicos (fl. 56).

2. Quanto à disponibilização pelo SUS, cabe elucidar que o **Ellexacftor 50mg + Tezacftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg** (Trikafta<sup>®</sup>) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos para dispensação ambulatorial pelo SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

3. Elucida-se que o medicamento pleiteado **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (Conitec)<sup>3</sup> para o tratamento da **fibrose cística (FC)**. Nesse sentido, é importante mencionar que a Conitec avaliou a associação Tezacftor + Ivacaftor para **FC**, mas não avaliou a associação **Ellexacftor + Tezacftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>), pois, na época em que o relatório de recomendação da Conitec foi emitido, fevereiro de 2022, o **Ellexacftor + Tezacftor + Ivacaftor** (Trikafta<sup>®</sup>) ainda não apresentava registro na Anvisa, concedido, conforme mencionado, em 02 de março de 2022.

4. Destaca-se que há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da fibrose cística – FC (Portaria Conjunta N° 25, de 27 de dezembro de 2021)<sup>1</sup>. Tal PCDT preconiza os seguintes fármacos para tratamento da FC: Alfadornase; Ivacaftor; Pancreatina e Tobramicina.

5. Em consulta realizada no Sistema Nacional da Assistência Farmacêutica - Hórus, verificou-se que o Autor **está cadastrado** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para o recebimento do medicamentos Alfadornase 2,5mg (ampola) e Pancreatina 10.000UI (cápsula).

<sup>1</sup> BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta N° 25, de 27 de dezembro de 2021. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230\\_portal-portaria-conjunta-no-25\\_pcdt\\_fibrose-cistica.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/20211230_portal-portaria-conjunta-no-25_pcdt_fibrose-cistica.pdf)>. Acesso em: 06 set. 2022.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Ellexacftor + Tezacftor + Ivacaftor (Trikafta<sup>®</sup>) por Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=138230005>>. Acesso em: 06 set. 2022.

<sup>3</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <[https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220315\\_relatorio\\_cp05\\_tezacftor\\_ivacaftor\\_fc.pdf/@download/file/20220315\\_Relatorio\\_CP05\\_tezacftor\\_ivacaftor\\_FC.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2022/20220315_relatorio_cp05_tezacftor_ivacaftor_fc.pdf/@download/file/20220315_Relatorio_CP05_tezacftor_ivacaftor_FC.pdf)>. Acesso em: 06 set. 2022.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

6. Assim, verifica-se que o Autor está usando os medicamentos ofertados pelos SUS Alfadornase 2,5mg (ampola) e Pancreatina 10.000UI (cápsula). Não pode ter acesso ao outro medicamento ofertado pelo SUS, Ivacaftor, pois a mutação do seu gene - **F508del**, não está dentre as contempladas no PCDT para recebimento do Ivacaftor. Já a Tobramicina, outro fármaco ofertado pelo SUS, é um antimicrobiano usado na FC para erradicação em caso de isolamento inicial e intermitente de *Pseudomonas aeruginosa*, uma complicação da FC. Assim, **verifica-se que o Autor faz uso dos medicamentos ofertados pelo SUS, porém permanece com a doença, necessitando, conforme documento médico, do medicamento Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg (Trikafta®).**

**É o parecer.**

**Ao 3º Juizado Especial Fazendário da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**HELENA TURRINI**

Farmacêutica  
CRF-RJ 12.112  
Matrícula: 72.991

**ALINE PEREIRA DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 13065  
ID. 4.391.364-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02