



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2232/2022

Rio de Janeiro, 20 de setembro de 2022.

Processo nº 0154089-07.2022.8.19.0001,
ajuizado por _____,
neste ato representado _____.

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **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. Para elaboração deste parecer técnico, foram considerados os documentos do Instituto Nacional Fernandes Figueira (fls. 21 a 30), emitidos em 06 de junho de 2022 pela médica _____.

2. Em síntese, trata-se de Autor com **fibrose cística** cujo diagnóstico foi feito a partir de sintomas respiratórios persistentes e teste genético evidenciando duas mutações patogênicas: **F508d** e **F508d**. O seguimento do Autor vem sendo realizado segundo a colonização da via aérea, que atualmente encontra-se no grupo de negativos. Seu monitoramento tem sido realizado por meio da avaliação clínica e laboratorial. Nutricionalmente, necessita de reposição enzimática com pancreatina, reposição de vitaminas e suplementos nutricionais. Necessita de fisioterapia respiratória regular, e atualmente faz uso, para doença pulmonar, dos medicamentos alfadornase, salina hipertônica; salbutamol e salmeterol + fluticasona por via inalatória. Como o Requerente apresenta **fibrose cística** com mutação do **gene F508del + F508del**, há indicação de uso do medicamento **Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5 mg** (Trikafta®) – 2 cápsulas pela manhã, próximo à refeição e 1 cápsula à noite. 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 sobrevida 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)¹.

DO PLEITO

1. **Elexacaftor** e **Tezacaftor** atuam como corretores de CFTR e **Ivacaftor** é um potencializador de CFTR. O efeito combinado de **Elexacaftor**, **Tezacaftor** e **Ivacaftor** (Trikafta[®]) 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)².

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente, informa-se que o medicamento pleiteado **Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg** (Trikafta[®]), que apresenta registro recente (02 de março de 2022) na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), **possui indicação**, que consta em bula² para tratamento da patologia do Autor (7 anos de idade) - **fibrose cística (FC) com mutação **F508del****, conforme relatos médicos (fls. 21 a 30).

2. Quanto à disponibilização pelo SUS, cabe elucidar que o **Elexacaftor 50mg + Tezacaftor 25mg + Ivacaftor 37,5mg** (Trikafta[®]) **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)³ para o tratamento da **fibrose cística (FC)**. Nesse sentido, é importante mencionar que a Conitec avaliou a associação Tezacaftor + Ivacaftor para **FC**, mas não avaliou a associação **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta[®]), pois, na época em que o relatório de recomendação da Conitec foi emitido, fevereiro de 2022, o **Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor** (Trikafta[®]) 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 SAES/SCTIE/MS nº 25, de 27 de dezembro de 2021)¹. 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 Salmeterol 25mcg + Fluticasona 125mcg (aerossol), Alfadornase 2,5mg (ampola), Pancreatina 10.000UI (cápsula) e Colistimetato de Sódio 1.000.000UI (solução injetável).

¹ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 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>. Acesso em: 20 set. 2022.

² Bula do medicamento Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor (Trikafta[®]) por Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRIKAFTA>>. Acesso em: 20 set. 2022.

³ 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_tezacaftor_ivacaftor_fc.pdf/@/download/file/20220315_Relatorio_CP05_tezacaftor_ivacaftor_FC.pdf>. Acesso em: 20 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 Salmeterol 25mcg + Fluticasona 125mcg (aerossol), Alfadornase 2,5mg (ampola), Pancreatina 10.000UI (cápsula) e Colistimetato de Sódio 1.000.000UI (solução injetável). 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 e já utilizado pelo Requerente de 24/11/2021 a 31/01/2022, é um antimicrobiano usado na FC para erradicação em caso de isolamento inicial e intermitente de *Pseudomonas aeruginosa*, uma complicação da FC. Desta forma, 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.

ALINE ROCHA S. SILVA

Farmacêutica
CRF-RJ 14.429
ID: 4357788-1

VANESSA DA SILVA GOMES

Farmacêutica
CRF- RJ 11538
Mat.4.918.044-1

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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