



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2165/2022

Rio de Janeiro, 13 de setembro de 2022.

Processo nº 0822730-35.2022.8.19.0021,
ajuizado por .

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **5ª Vara Cível** da Comarca de Duque de Caxias do Estado do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Eculizumabe 300mg**.

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração deste parecer técnico, foram considerados os documentos do Hospital Federal dos Servidores do Estado (Num. 27997043 - Págs. 5 a 6) e o laudo médico padrão para pleito judicial de medicamentos (Num. 27997044 - Págs. 1 a 3), os 2 primeiros não datados e o último datado de 17 de agosto de 2022, todos emitidos pelo médico .

2. Em síntese, trata-se de Autora portadora de aplasia da medula e **hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)**. Fez uso prévio dos medicamentos Ciclosporina e Timoglobulina. Tendo sido prescrito tratamento contínuo com o medicamento **Eculizumabe 300mg** na posologia de **600mg** na primeira semana, seguido de **900mg** de 15 em dias. Foi participado pelo médico assistente que a demora no fornecimento do tratamento proposto acarreta o risco de morte, lesão irreversível e trombose venosa ou arterial em sítios nobres. A seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID10) foi citada: **D59.5 – hemoglobinúria paroxística noturna (Marchiafava-Micheli)**.

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. No tocante ao Município de Duque de Caxias, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME - Duque de Caxias, publicada no Portal da Prefeitura de Duque de Caxias, <<http://www.duquedecaxias.rj.gov.br/portal>>.
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 **hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)** é uma doença rara, com incidência anual estimada de 1,3 novos casos por um milhão de indivíduos. Há pouca informação epidemiológica sobre esta doença, não apenas por sua raridade, mas também pela dificuldade de seu diagnóstico. Tal patologia é causada por um defeito genético adquirido no gene da fosfatidilinositolglicana classe-A (PIG-A), localizado no braço curto do cromossomo X das células-tronco hematopoéticas. Essas mutações são responsáveis pelo bloqueio precoce da síntese do fosfolípido glicosilfosfatidilinositol (GPI), responsável pela ancoragem de proteínas à membrana plasmática. Na sua diminuição ou ausência, múltiplas proteínas não se expressam na superfície celular, entre essas se encontram as proteínas reguladoras do Sistema de Complemento (SC)¹.
2. A deficiência de GPI e da expressão de proteínas ancoradas à membrana plasmática determina a fisiopatologia e as manifestações clínicas da **HPN**. Em pacientes com clones maiores de HPN, há indícios de que a hemólise contribua para os episódios tromboembólicos, devido a uma correlação temporal entre os surtos hemolíticos e a maior

¹ Ministério da Saúde. Portaria conjunta nº 18, de 20 de novembro de 2019. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Disponível em: < https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt_hpnm.pdf>. Acesso em: 13 set. 2022.



incidência de tromboembolismo. Embora o mecanismo não esteja completamente elucidado, a hemólise pode estar envolvida na ativação e agregação plaquetária¹.

DO PLEITO

1. O **Eculizumabe** é um anticorpo IgG2/4κ monoclonal humanizado recombinante, que se liga à proteína humana C5 do complemento e inibe a ativação do complemento terminal. É indicado em adultos e crianças para o tratamento de pacientes com **hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)** e síndrome hemolítico urêmica atípica (SHUa)².

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Eculizumabe** **apresenta indicação**² para o tratamento da **hemoglobinúria paroxística noturna (HPN)**, quadro clínico descrito para a Autora.

2. Quanto à disponibilização, informa-se que o medicamento **Eculizumabe** foi **incorporado ao SUS** para o tratamento da **hemoglobinúria paroxística noturna**. Por conseguinte, foi publicada a Portaria Conjunta SAES/SCTIE nº 18 de 20 de novembro de 2019 que aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Hemoglobinúria Paroxística Noturna, o qual padroniza o uso do medicamento **Eculizumabe**, cujo **acesso se dará por meio de critérios de inclusão descritos no Protocolo**.

3. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011³, **há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS**. Contudo, findado o prazo de 180 para a efetivação da oferta do medicamento no SUS, após consulta ao Sistema de Gerenciamento da Tabela de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP⁴, na competência de **09/2022**, constatou-se que o medicamento **Eculizumabe** **ainda não está disponível** para o tratamento de pacientes com HPN no SUS, no âmbito do município de Duque de Caxias e do estado do Rio de Janeiro.

4. O **Eculizumabe** apresenta registro ativo junto à Agência Nacional de Vigilância sanitária (ANVISA).

5. Cumpre informar que o tratamento curativo da HPN ainda é o transplante de células-tronco hematopoéticas alogênico TCTH-AL. Fora o transplante, o tratamento da HPN é principalmente sintomático, com o uso de medidas medicamentosas e não medicamentosas. Essas intervenções objetivam, principalmente, reduzir a hemólise intravascular e prevenir e tratar episódios tromboembólicos e outras complicações associadas. O **tratamento é instituído de acordo com as manifestações clínicas da doença, e há várias alternativas terapêuticas da HPN, que não curativas, mas que podem reduzir as suas complicações: corticoides, androgênios,**

² Bula do medicamento Eculizumabe (Soliris®) por Alexion Farmacêutica Brasil Importação e Distribuição de Produtos e Serviços de Administração de Vendas Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=198110001>>. Acesso em: 13 set. 2022.

³ Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no sistema único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde – SUS, e dá outras providências. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm>. Acesso em: 13 set. 2022.

⁴ SISTEMA DE GERENCIAMENTO DA TABELA DE PROCEDIMENTOS, MEDICAMENTOS E OPM DO SUS – SIGTAP. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/inicio.jsp>>. Acesso em: 13 set. 2022.



transusão sanguínea, imunossupressores (globulina antilinfocitária e ciclosporina), anticoagulantes e eculizumabe. O eculizumabe é eficaz no tratamento paliativo de pacientes com HPN clássica, com a redução da hemólise intravascular e com a redução ou eliminação da necessidade das transfusões sanguíneas na maioria dos pacientes, repercutindo na sobrevida do paciente, na sua qualidade de vida, no risco de trombose e nas complicações relacionadas à doença, tais como hipertensão pulmonar, insuficiência cardíaca e insuficiência renal⁵.

6. Salienta-se que a Autora já fez tratamento com os imunossupressores Ciclosporina e Timoglobulina.

7. Acrescenta-se que na lista oficial de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do município de Duque de Caxias e do estado do Rio de Janeiro, não constam opções terapêuticas, que possam representar substitutos farmacológicos ao pleiteado **Eculizumabe**.

É o parecer.

À 5ª Vara Cível da Comarca de Duque de Caxias 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

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

⁵ Portaria Conjunta SAES/SCTIE nº 18 de 20 de novembro de 2019 que aprovou o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Hemoglobinúria Paroxística Noturna. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/pcdt__hpn.pdf> Acesso em: 13 set. 2022.