



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 3288/2024

Rio de Janeiro, 21 de agosto de 2024.

Processo nº 0827001-76.2024.8.19.0002,
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas do **4º Juizado Especial de Fazenda Pública** da Comarca de Niterói do Estado do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com laudo médico do serviço de neurologia do Hospital Universitário Gaffrée e Guinle ((Num. 130082210 - Pág. 12), emitido em 16 de maio de 2024 por , Autor apresenta diagnóstico de **deficiência de alfa-glicosidase**, em uso de enzima desde novembro de 2022, porém permanece com progressão dos sintomas. Foi informado ainda que o Requerente faz fisioterapia desde 2023 e indicado o uso de **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme®).
2. Em receituário da mesma unidade (Num. 130082210 - Pág. 11), não datado, a médica prescreve ao Autor: **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme®) – 1000mg (20mg/kg), via endovenosa, em semanas alternadas.

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 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).
5. 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.

6. 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.

7. No tocante ao Município de Tanguá, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME 2014.

8. 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 **doença de Pompe (DP)**, também conhecida como glicogenose tipo II ou deficiência de maltase ácida é uma doença genética rara, de acometimento neuromuscular progressivo e frequentemente fatal nas formas mais graves, causada por variantes patogênicas bialélicas no gene GAA, localizado no cromossomo 17q25.2-q25.3. Em consequência, existe atividade deficiente da alfa glicosidase ácida (sinônimo: maltase ácida), enzima lisossômica que libera glicose a partir do glicogênio, conforme a demanda de energia celular. A deficiência dessa enzima leva a um acúmulo de glicogênio dentro dos lisossomos e do citoplasma de múltiplos tecidos, incluindo a musculatura lisa, esquelética e cardíaca. Esse acúmulo acaba danificando o funcionamento celular e destruindo as células, por hipertrofia e ruptura dos lisossomos. Associa-se a esse processo fisiopatológico um acúmulo do material a ser processado pelas vias autofágicas. Como regra, a atividade enzimática correlaciona-se com a idade de início e a taxa de progressão da doença, sendo algumas variantes responsáveis por ausência de atividade enzimática e resultando na DP de início precoce, infantil ou clássica - a forma mais grave da doença¹.

DO PLEITO

1. **Alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®)** é indicado para terapia de reposição enzimática de uso prolongado, para o tratamento de pacientes com diagnóstico confirmado da doença de Pompe (deficiência da alfa-glicosidase ácida)².

III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autor com **doença de Pompe** de início tardio com solicitação de **alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®)**.

¹ BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta nº 12, de 03 de agosto de 2020. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Pompe. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/protocolo_uso/portaria-conjunta-pcdd-doena-de-pompe10-08-2020.pdf>. Acesso em: 21 ago. 2023.

² ANVISA. Bula do medicamento alfa-avalglicosidase (Nexviazyme®) por Sanofi Medley Farmacêutica Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351006101202178/?nomeProduto=Nexviazyme>>. Acesso em: 21 ago. 2023.



2. Diante o exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme[®]) apresenta registro válido na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) e **possui indicação** prevista em bula² para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor.
3. Tal medicamento **não integra** uma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, **não cabendo** seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.
4. Elucida-se que o medicamento pleiteado **alfa-avalglicosidase** (Nexviazyme[®]), até o momento, **não foi submetido** à análise da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC)³ para o tratamento da **Doença de Pompe**.
5. O Ministério da Saúde publicou o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Doença de Pompe**¹, por meio da Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 12, de 03 de agosto de 2020, no qual foi preconizada a terapia de reposição enzimática com o medicamento **alfa-avglicosidase 50mg**.
6. Em consulta realizada ao Sistema Nacional de Gestão de Assistência Farmacêutica (HÓRUS), verificou-se que o Autor **possui cadastrado** no Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF) para recebimento do medicamento padronizado alfa-avglicosidade.
7. Entretanto, segundo informações médicas, o Autor **mantém progressão dos sintomas apesar da terapia de reposição enzimática com o medicamento disponibilizado no SUS**.
8. No momento, conforme demonstrado acima, a única opção de tratamento farmacológico disponibilizada no SUS é a terapia de reposição enzimática com **alfa-avglicosidase**. E a resposta a esse medicamento pode variar entre as pessoas.
9. Para doença de Pompe de início tardio (DPIT), o início dos sintomas ocorre após 12 meses e pode ocorrer a qualquer momento até o final da idade adulta. A DPIT normalmente afeta múltiplos sistemas e é caracterizada por fraqueza muscular progressiva e envolvimento respiratório. À medida que a doença progride, as pessoas com DPIT podem necessitar de utilizar uma cadeira de rodas e de ventilação não invasiva ou invasiva, sendo a insuficiência respiratória a principal causa de morte. Há uma heterogeneidade significativa entre as pessoas com DPIT, incluindo o tempo de início dos sintomas, o momento do diagnóstico, a gravidade dos sintomas, a taxa de declínio da doença e a expectativa de vida⁵.
10. Os dados clínicos são limitados na doença de Pompe. A principal evidência clínica vem do estudo COMET e do NEO1/NEO-EXT. Neles fica evidenciado que **alfa-avalglicosidase** é tão bom quanto **alfa-avglicosidase** (ou seja, não inferior) e que não há provas suficientes que sugerissem uma vantagem de **alfa-avalglicosidase** sobre **alfa-avglicosidase**⁴.
11. Verifica-se que outras agências internacionais de avaliação de tecnologia recomendaram o uso do medicamento **alfa-avalglicosidase** para o tratamento da doença em questão:

³Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/avaliacao-de-tecnologias-em-saude/tecnologias-demandadas>>. Acesso em: 23 fev. 2023.

⁴ CADTH. Avalglucosidase Alfa (Nexviazyme). Disponível em: <<https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2022/SR0703%20Nexviazyme%20-%20CADTH%20Final%20Rec-meta.pdf>>. Acesso em: 21 ago. 2024.



- O NICE, do Reino Unido, recomendou o uso do medicamento como uma opção de tratamento da doença de Pompe em bebês, crianças, jovens e adultos apenas se a empresa o fornecer conforme acordo comercial⁵.
- O CADTH, do Canadá, recomendou o uso do medicamento pacientes com diagnóstico confirmado de DPIT, que são capazes de andar e nunca receberam alfa-*alglicosidase* antes ou foram incapazes de tolerá-la durante o primeiro ano de tratamento. **Alfa-*avalglicosidase*** não foi coberto para tratar pacientes que apresentam aumento do músculo cardíaco específico de Pompe, apresentam doença, ou são incapazes de realizar repetidas capacidades vitais forçadas (porcentagem de CVF prevista) medições entre 30% e 85%⁴.

12. Dessa forma, conclui-se diante dos estudos que não há evidência robusta que sugira uma vantagem da **alfa-*avalglicosidase*** em relação ao medicamento fornecido no SUS: alfa-*alglicosidase*.

13. Por fim, destaca-se que além do tratamento medicamentoso com alfa-*alglicosidase*, o SUS também fornece o tratamento de suporte com equipe multidisciplinar.

14. Por fim, quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 130082209 - Págs. 17 e 18, item “VP”, subitens “b” e “e”) referente ao provimento de “...*medicamentos, produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia do Autor...*”, vale ressaltar que não é recomendado o fornecimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade dos mesmos, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de medicamentos e tecnologias pode implicar em risco à saúde.

É o parecer.

Ao 4º Juizado Especial de Fazenda Pública da Comarca de Niterói do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO

Farmacêutico
CRF-RJ 15023
ID.5003221-6

JACQUELINE ZAMBONI MEDEIROS

Farmacêutica
CRF- RJ 6485
ID: 501.339-77

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

⁵ NICE. Avalglucosidase alfa for treating Pompe disease. Disponível em: < <https://www.nice.org.uk/guidance/ta821/chapter/1-Recommendations> >. Acesso em: 21 ago. 2024.