



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2314/2022**

Rio de Janeiro, 28 de setembro de 2022.

Processo nº 0253572-10.2022.8.19.0001  
ajuizado por

neste ato representado por

O presente parecer técnico visa atender à solicitação de informações do **2º Juizado Especial Fazendário** da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **Alfagalsidase** (Replagal®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com documento e receituário médicos da Renalduc (fls. 30 e 31) emitidos em 31 de agosto de 2022 pela médica , o Autor é portador de **doença de Fabry**, com manifestações graves da doença, como dores nas extremidades de mãos e pés, comprometimento renal grave, que ocasionou insuficiência renal crônica em terapia renal substitutiva (hemodiálise) desde janeiro/2014. Consta prescrita a terapia com **Alfagalsidase** (Replagal®) – 9,3mg, endovenoso, a cada 15 dias (peso: 49,5kg). Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doença (CID-10): **E75.2 – Outros esfingolipidoses**.

**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 **Doença de Fabry** (DF) é considerada doença de depósito lisossômico. Trata-se de erro inato do metabolismo dos glicoesfingolipídeos, produzido por mutações do gene que codifica a enzima lisossômica  $\alpha$ -galactosidase A ( $\alpha$ -GAL). A redução ou ausência da atividade dessa enzima leva ao acúmulo progressivo de glicoesfingolipídeos neutros com resíduos terminais  $\alpha$ -galactosil (sobretudo sob a forma de globotriasilceramida ou GL-3) no plasma e nos lisossomos das células endoteliais de variados órgãos, principalmente pele, rins, coração, olhos e cérebro, com o resultante aparecimento da doença. A maioria dos doentes com as formas clássicas desenvolve proteinúria na adolescência tardia, e é nesse momento que o dano renal é reconhecido. Ele é progressivo e evolui habitualmente para insuficiência renal crônica (IRC)<sup>1</sup>. O acúmulo de GL-3 no endotélio vascular tem consequências de importância clínicas, tais como complicações renais, cardíacas e cerebrovasculares<sup>2</sup>.

<sup>1</sup> BOGGIO, P., et al. Doença de Fabry. Anais Brasileiros de Dermatologia, v.84, n.4, Rio de Janeiro, 2009. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0365-05962009000400008&script=sci\\_arttext](http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0365-05962009000400008&script=sci_arttext)>. Acesso em: 27 set. 2022.

<sup>2</sup> MARINHO, L.A.L., et al. Prevalência da doença de Fabry em pacientes portadores de doença renal crônica submetidos à hemodiálise em Natal – RN. Jornal Brasileiro de Nefrologia, v.29, n.4, Natal, 2007. Disponível em: <<https://www.bjnephrology.org/articte/prevalencia-da-doenca-de-fabry-em-pacientes-portadores-de-doenca-renal-cronica-submetidos-a-hemodialise-em-natal-rn/>>. Acesso em: 27 set. 2022.



## DO PLEITO

1. A **Alfagalsidase** (Replagal<sup>®</sup>) está indicado para terapia crônica de reposição enzimática em pacientes com diagnóstico confirmado de **Doença de Fabry**. Ela repõe a enzima  $\alpha$ -galactosidase A que não funciona adequadamente no seu corpo<sup>3</sup>.

## III - CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Alfagalsidase** (Replagal<sup>®</sup>) está indicado em bula para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor – **Doença de Fabry**, conforme consta em documento médico (fl. 30). Entretanto, não se encontra padronizado em nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

2. O tratamento da **doença de Fabry** é complexo e requer equipe multidisciplinar constituída por clínicos, dermatologistas, neurologistas, cardiologistas, nefrologistas e geneticistas experientes no assunto<sup>1</sup>. No entanto, não existe tratamento curativo para a doença<sup>4</sup>.

3. Atualmente, o **tratamento no SUS** foi estabelecido pelas **Diretrizes Brasileiras para o Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry** (Portaria Conjunta nº 20, de 06 de dezembro de 2021) e está focado no manejo das complicações advindas da doença, tratamento sintomático e a terapia de reabilitação<sup>5</sup>.

4. A terapia de reposição enzimática (**Alfagalsidase** e **Betagalsidase**) na **doença de Fabry** foi avaliada em 2018 pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC que emitiu recomendação inicial não favorável à incorporação de agalsidase recombinante (forma alfa ou beta) no SUS<sup>6</sup>.

5. A Comissão entendeu que ainda há bastante incerteza em relação aos benefícios trazidos pelos medicamentos na mudança da história natural da doença e aos critérios que seriam utilizados para indicar o tratamento, ou incluir indivíduos diagnosticados em tratamento para que possam usufruir do maior benefício da reposição enzimática, tais como, a melhor idade para início, o estágio da doença e as doses eficazes das enzimas (de ambas as formas) que seriam utilizadas. O plenário recomendou que fosse aberta nova demanda, com nova pergunta de pesquisa (PICO), que defina melhor os subgrupos com maior probabilidade de se beneficiar pelo tratamento de reposição enzimática<sup>6</sup>.

6. O tema foi colocado em consulta pública, contudo seus resultados não alteraram o entendimento do plenário e a recomendação inicial da CONITEC foi mantida<sup>6</sup>.

<sup>3</sup> Bula do medicamento Alfagalsidase (Replagal) por Takeda Pharma Ltda. Disponível em: < <https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351778045202096/?substancia=23552>>. Acesso em: 27 set. 2022.

<sup>4</sup> CONITEC. Relatório para Sociedade. Alfa-agalsidase e Beta-agalsidase como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry. N. 87, 05/2018. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2018/sociedade/20201231\\_resoc87\\_agalsidase\\_fabry.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2018/sociedade/20201231_resoc87_agalsidase_fabry.pdf)>. Acesso em: 27 set. 2022.

<sup>5</sup> MINISTÉRIO DA SAÚDE. Secretaria Especializada à Saúde. Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos. Portaria Conjunta nº 20, de 06 de dezembro de 2021. Diretrizes Brasileiras para o Diagnóstico e Tratamento da Doença de Fabry. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/diretrizes/20211230\\_portal-portaria-conjunta-no-20\\_diretrizes\\_doenca-de-fabry.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/protocolos/diretrizes/20211230_portal-portaria-conjunta-no-20_diretrizes_doenca-de-fabry.pdf)>. Acesso em: 27 set. 2022.

<sup>6</sup> CONITEC. Alfa-agalsidase Alfa-agalsidase e Beta-agalsidase como terapia de reposição enzimática na doença de Fabry. Relatório de Recomendação. Nº 384, dezembro/2018. Disponível em: < [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2018/relatorio\\_agalsidase\\_doencafabry.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/relatorios/2018/relatorio_agalsidase_doencafabry.pdf)>. Acesso em: 27 set. 2022.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

7. Por fim, informa-se que o medicamento pleiteado possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa).

8. Quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (fls. 21 e 22, item “VIII”, subitens “c” e “f”) referente ao fornecimento de “...outros medicamentos, produtos complementares e acessórios que 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 2º Juizado Especial Fazendário da Comarca da Capital 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

**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