

NOTA TÉCNICA Nº 1361/2021 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 25ª Vara Cível Federal de São Paulo – TRF3
- 1.3. Processo nº: 5027948-05.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 07/10/2021
- 1.5. Data da Resposta: 14/10/2021

2. Paciente

[REDACTED]

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 09/10/2010 – 10 anos
- 2.2 Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Paralisia cerebral, Síndrome de Dravet, Transtorno do Espectro Autista e Retardo Mental Leve - CID 10 – G80, G40.5, F84 e F70

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

O medicamento requerido é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor? Há quanto tempo o medicamento passou a fazer parte da terapêutica da doença em questão e com que resultados?

Trata-se de medicamento experimental?

Síndrome de Dravet é uma doença genética rara caracterizada clinicamente por epilepsia refratária com crises que se iniciam antes do primeiro ano de idade, além de baixo desenvolvimento neuropsicomotor.

O estiripentol é sim usado para a doença. Foi aprovado pelo FDA em 2018. Não é comercializado no Brasil. É uma medicação com ensaios clínicos mostrando eficácia em pacientes crianças com epilepsia refratária.



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

O medicamento tem registro na Anvisa? Houve pedido de registro não apreciado? Se sim, desde quando pende de apreciação? Houve recusa de registro pela Anvisa?

Não há registro na ANVISA. Não tenho acesso a um sistema que forneça as demais respostas.

O medicamento requerido está incorporado ao SUS? Se negativa a resposta, esclarecer se houve proposta de incorporação (não acatada) ou de não-incorporação?

Não está incorporado ao SUS. Não há nenhuma proposta de incorporação apreciado pelo CONITEC.

O SUS oferece alternativa de tratamento? Qual?

Existem medicamentos no SUS disponíveis para tratamento de epilepsia. Entretanto, são menos específicos para a síndrome do paciente. Além disso, o paciente já fez uso das medicações disponíveis no SUS.

Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde do autor em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do pretendido?

Não há alternativas no SUS para este caso em particular.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento - Diacomit 250mg - Estiripentol/Stiripentol

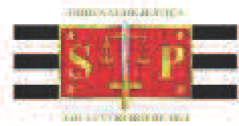
4.2. Princípio Ativo: Estiripentol

4.3. Registro na ANVISA: não

4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não

4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar:

De acordo com a Portaria Conjunta nº 17 (Epilepsia), de 21 de junho de 2018, os medicamentos fornecidos pelo Componente Especializado da Assistência



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

Farmacêutica da Coordenadoria de Assistência Farmacêutica, da Secretaria de Estado de Saúde de São Paulo, são:

- Clobazam 10 mg e 20 mg – comprimido
- Etossuximida 50 mg/mL xarope – frasco de 120 mL
- Gabapentina 300 mg e 400 mg – cápsula
- Lamotrigina 25 mg, 50 mg e 100 mg – comprimido
- Levetiracetam 250 mg e 750 mg por comprimido, 100 mg/mL solução oral – frasco de 100mL e 100 mg/mL solução oral – frasco de 150mg
- Primidona 100 mg e 250 mg – comprimido
- Topiramato 25 mg, 50 mg e 100 mg – comprimido

4.6. Em caso de medicamento, descrever se existe Genérico ou Similar: não

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: Estiripentol

4.7.2. Laboratório: Biocodex

4.7.3. Marca comercial: Diacomit

4.7.3. Apresentação: Cápsula 500mg, Pó para suspensão oral 500mg, Pó para suspensão oral 250mg, cápsula 250mg

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: não adquirido

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: apenas por importação

4.8. Recomendações da CONITEC: não avaliado

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Ver item 3.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Melhora das crises convulsivas.



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

5.3. Conclusão Justificada:

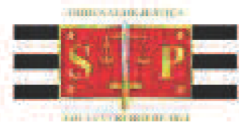
O paciente tem uma doença que cursa com crises convulsivas graves, que ameaçam sua vida. Já recebe há alguns anos a medicação específica para sua doença, com melhora. Há evidência suficiente para uso da medicação em pacientes com síndrome de Dravet. Entretanto, a ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial. É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamento sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016), quando preenchidos três requisitos:

- (i) a existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras);
- (ii) a existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação no exterior; e
- (iii) a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.

Assim, é opinião do parecerista que a medicação está indicada do ponto de vista técnico-científico, cabendo ao magistrado decidir pela liberação ou não em função dos trâmites e impedimentos burocráticos e legislativos.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

- () SIM, com potencial risco de vida
- (X) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função
- () NÃO



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
SECRETARIA DE GESTÃO DE PESSOAS – SGP
SUPERVISÃO DE SERVIÇO MÉDICO – 5.5.1
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001 - Fones: 3256-3394 / 3258-9084

5.5. Referências bibliográficas:

Chiron C, Marchand MC, Tran A, Rey E, d'Athis P, Vincent J, Dulac O, Pons G. Stiripentol in severe myoclonic epilepsy in infancy: a randomised placebo-controlled syndrome-dedicated trial. STICLO study group. Lancet. 2000 Nov 11;356(9242):1638-42.

UpToDate: Dravet syndrome: Management and prognosis

Frampton JE. Stiripentol: A Review in Dravet Syndrome. Drugs. 2019 Nov;79(16):1785-1796. doi: 10.1007/s40265-019-01204-y. PMID: 31617141.

Yamada M, Suzuki K, Matsui D, Inoue Y, Ohtsuka Y. Long-term safety and effectiveness of stiripentol in patients with Dravet syndrome: Interim report of a post-marketing surveillance study in Japan. Epilepsy Res. 2021 Feb;170:106535. doi: 10.1016/j.epilepsyres.2020.106535. Epub 2020 Dec 31. PMID: 33388609.

https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2018/206709s000,207223s000lbl.pdf acessado em outubro de 2021 - aprovação Food and Drug Administration

https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Drugs_Search.php?lng=EN&data_id=131909&search=Drugs_Search_Simple&data_type=Status&Typ=Med acessado em 11 de outubro de 2021 - registro de medicamento órfão

http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2017/Recomendacao/Relatorio_PCDT_Epilepsia_Portaria05-12-17_CP_65_2017.pdf acessado em 11 de outubro de 2021 - Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Epilepsia - novembro de 2017 - CONITEC

5.6. Outras Informações:

Considerações NAT-Jus/SP: A autoria do presente documento não é divulgada por motivo de preservação do sigilo.

Equipe NAT-Jus/SP