

## **NOTA TÉCNICA Nº 5097/2026 - NAT-JUS/SP**

### **1. Identificação do solicitante**

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5004701-75.2024.4.03.6104
- 1.3. Data da Solicitação: 24/06/2026
- 1.4. Data da Resposta: 01/07/2026
- 1.5. Requerida: **SAÚDE PÚBLICA**

### **2. Paciente**

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 21/08/2012 – 13 anos
- 2.2. Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: Guarujá/SP
- 2.4. Histórico da doença: Cistinose nefropática – CID E72.0

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

Considerando que o NatJus se destina exclusivamente à análise da relação entre doença, medicamento, procedimento ou produto sob a perspectiva da Medicina Baseada em Evidências, deixamos de apreciar os quesitos que versem sobre circunstâncias particulares do caso concreto e passamos à emissão do parecer técnico, restrito aos limites de atuação deste núcleo, com base nas evidências científicas disponíveis.



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO

| Medicamento                                                                               | Princípio Ativo | Registro na ANVISA | Disponível no SUS? | Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento | Existe Genérico ou Similar? |
|-------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------|--------------------|--------------------|---------------------------------------------------------------|-----------------------------|
| CYSTADROPS gel 0,55% - 3,8 ml - aplicar 1 gota em cada olho a cada 4x/dia (4 frascos/mês) | Mercaptamina    | IMPORTADO          | NÃO                | -                                                             | (1)                         |

| Medicamento                                          | Marca Comercial | Laboratório                             | Apresentação                         | PMVG | Dose                                                      | Custo Anual* |
|------------------------------------------------------|-----------------|-----------------------------------------|--------------------------------------|------|-----------------------------------------------------------|--------------|
| CYSTADROPS                                           | Cystadrops      | Orphan Europe SARL Immeuble “Le Wilson” | Gel oftálmico 0,55% frasco de 3,8 mL | (1)  | aplicar 1 gota em cada olho a cada 4x/dia (4 frascos/mês) | (1)          |
| CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO |                 |                                         |                                      | -    |                                                           |              |

\* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

(1) - O medicamento CYSTADROPS não possui incorporação ao SUS e não foi localizada precificação na CMED. Também, não foi identificado registro sanitário ativo para comercialização regular no Brasil, sendo observadas autorizações excepcionais de importação em situações específicas. Portanto, não foi possível calcular o custo do tratamento com base em parâmetros oficiais nacionais.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência Junho/2026

4.3. Recomendações da CONITEC: ( ) RECOMENDADO ( ) NÃO RECOMENDADO ( x ) NÃO AVALIADO

## **5. Discussão**

### **5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia**

A cistinose é uma doença de depósito lisossômico caracterizada pelo acúmulo intracelular de cistina em diferentes órgãos e tecidos, levando a disfunção orgânica potencialmente grave.

A administração de cisteamina trata diretamente a doença reduzindo o conteúdo intracelular de cistina. A cisteamina entra na célula e se concentra nos lisossomos, onde reage com a cistina para formar cisteína e um complexo cisteína-cisteamina que é capaz de deixar os lisossomos (Nesterova, 2015).

Em um estudo com 76 crianças (idade média de 8,3 anos) do Instituto Nacional de Saúde (NIH) (Markello, 1993), os pacientes que foram tratados precocemente (antes dos dois anos de idade) e tiveram uma depuração de creatinina média mais alta do que aqueles que nunca receberam cisteamina (56 versus 8 mL/min por 1,73 m<sup>2</sup>). Nenhum dos 17 pacientes tratados recebeu terapia de substituição renal, enquanto todos os 16 pacientes acompanhados no NIH que não receberam cisteamina receberam em uma idade média de 8,3 anos.

Em um estudo de 86 adultos (idade média de 26,7 anos), o tratamento com cisteamina iniciado antes dos 5 anos de idade diminuiu a incidência e atrasou o início da doença renal crônica, e atrasou o início do hipotireoidismo, diabetes e distúrbios neuromusculares (Brodin-Sartorius, 2012). Neste estudo, a média de idade para início da doença renal crônica terminal foi de 13,4 x 9,6 anos, e 9,5 anos para pacientes que receberam terapia com cisteamina antes dos 5 anos de idade (n = 40), após os 5 anos de idade (n = 8) ou nunca receberam cisteamina (n = 38) respectivamente. A cisteamina melhorou a expectativa de vida com taxas de sobrevivência de 95, 57, 36% no final do acompanhamento para pacientes que receberam terapia com cisteamina antes dos 5 anos de idade, após os 5 anos de idade ou nunca receberam cisteamina, respectivamente.

No entanto, o tratamento com cisteamina não corrige a disfunção tubular proximal e não tem efeito sobre as perdas de fluidos e eletrólitos, mesmo quando iniciado após o nascimento em crianças diagnosticadas no pré-natal. No entanto, crianças tratadas precocemente e adequadamente (conforme avaliado pela depleção de cistina dos leucócitos), apresentam melhor crescimento e manutenção da TFG e são menos propensas a desenvolver hipotireoidismo (Kimonis, 1995; Smolin, 1988). Pacientes com baixa adesão e aqueles tratados em uma idade mais avançada não apresentam um benefício tão grande (Brodin-Sartorius, 2012).

Os sintomas oculares da cistinose resultam do depósito de cristais de cisteína na córnea e na conjuntiva que, em ficando mais densos, podem levar a fotofobia e progressivamente afetar a acuidade visual. O tratamento sistêmico da cistinose não impede o depósito dos cristais em olhos, necessitando de tratamento tópico para tal.

A mercaptamina (ou cisteamina) ocular é um medicamento tópico, em forma de colírio, para tratamento dos depósitos de cistina na córnea. A cisteamina reage com a cistina acumulada na córnea, formando outro aminoácido e um sal, passíveis de serem eliminados mais facilmente das células pelo próprio organismo. O tratamento deve ser contínuo, para evitar que os cristais voltem a se acumular na córnea. A administração oral da mercaptamina não previne o acúmulo ocular, justificando a necessidade do uso do colírio.

## 5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

A ausência de registro na Anvisa impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial

## 6. Conclusão

### 6.1. Parecer

( ) Favorável

**( x ) Desfavorável**

### 6.2. Conclusão Justificada

A cistinose nefropática é uma doença considerada ultrarrara, o que torna limitada a produção de ensaios clínicos randomizados e outros tipos de estudo de alta qualidade metodológica. A medicação foi estudada para o tratamento da doença, com evidências de benefício. Entretanto, não é registrada na ANVISA e há recomendação de não fornecimento dado que existe entendimento técnico que tratamento de suporte é disponibilizado no SUS, embora não haja outro tratamento específico para a doença.

Segundo o site da PGE do MS, acessado na seguinte página  
<https://www.pge.ms.gov.br/stf-publica-acordao-que-desobriga-estado-de-fornecer-medicamento-sem-registro-na-anvisa/>

“Neste mês, o Supremo Tribunal Federal (STF) publicou o Acórdão do julgamento do Recurso Extraordinário (RE) 657718 que possibilita o pedido de recurso caso alguma das partes envolvidas no processo tenha interesse em recorrer.

O julgamento em questão trata da sentença tomada em maio de 2019, onde o Plenário do STF decidiu que o Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamento experimental ou sem registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa), salvo em casos excepcionais.

A decisão foi tomada, por maioria de votos, apreciando o Tema 500 da repercussão geral reconhecida e de relatoria do ministro Marco Aurélio.

Após análise, a Suprema Corte decidiu que:

1. O Estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais;

2. A ausência de registro na Anvisa impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial;
3. 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;
  - III – a inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.
4. As ações que demandem fornecimento de medicamentos sem registro na Anvisa deverão necessariamente ser propostas em face da União.

**Com a decisão, necessariamente, quando houver alguma ação que se enquadre nos tópicos acima, a União deverá ser incluída no processo. O que acaba demonstrando que o Estado não tem como assumir as custas sozinho; ou seja, ele não se nega a cumprir uma ordem judicial, mas em muitas das vezes, não há orçamento para cumprimento da mesma.”**

**Assim, frente a essa decisão do STF, apesar da possível utilidade do medicamento, não é possível deferir ou indeferir o pedido.**

Existe um parecer emitido pela própria Anvisa, datado de 26/09/2022, no qual este órgão emite parecer favorável a importação desta medicação para tratamento de quadro de cistinose nefropática. Disponível em:

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/composicao/diretoriacolegiada/reunioes-da-diretoria/votos-dos-circuitos-deliberativos1/2022/cd-967-2022-voto.pdf>

Esses pareceres se referem à medicação em sua via de administração sistêmica.

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

( ) SIM, com potencial risco de vida

( ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

(x) NÃO

## **7. Referências bibliográficas**

ADVOCACIA-GERAL DA UNIÃO CONSULTORIA-GERAL DA UNIÃO CONSULTORIA JURÍDICA JUNTO AO MINISTÉRIO DA SAÚDE CODEJUR - ADVOGADOS DA UNIÃO. PARECER REFERENCIAL SOBRE O MEDICAMENTO PROCYSBI® (CISTEAMINA). Brasil, 2017. Disponível em <https://www.gov.br/saude/pt-br/composicao/conjur/demandas-judiciais/banco-de-pareceres-referenciais/pareceres-referenciais/2017/000019-2017-procysbi-cisteamina.pdf/view> [consultado em 29/08/2023]

ANVISA. Análise do pleito do Laboratório Farmacêutico da Marinha (LFM), do qual consta solicitação de autorização, em caráter excepcional, para importação de 44 frascos (100 cápsulas por frasco) do medicamento Cystagon, na concentração 150mg, sem registro na Anvisa, referente a LI 22/2437343-2 de 31/08/2022, nos termos da Resolução de Diretoria Colegiada - RDC nº 488, de 7 de abril de 2021. Disponível em <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/composicao/diretoria-colegiada/reunioes-da-diretoria/votos-dos-circuitos-deliberativos-1/2022/cd-967-2022-voto.pdf> [consultado em 29/08/2023]

Brasil, Ministério da Saúde. Mercaptamina para cistinose nefropática. Revisão rápida. Brasília, 2020. Disponível em <https://brasil.fiocruz.br/aagts/wp-content/uploads/sites/4/2020/07/Mercaptamina-para-cistinose-nefropatica.pdf> [consultado em 29/08/2023]

Brodin-Sartorius A, Tête MJ, Niaudet P, Antignac C, Guest G, Ottolenghi C, Charbit M, Moyse D, Legendre C, Lesavre P, Cochat P, Servais A. Cysteamine therapy delays the progression of nephropathic cystinosis in late adolescents and adults. *Kidney Int.* 2012 Jan;81(2):179-89.

Emma F, Nesterova G, Langman C, Labbé A, Cherqui S, Goodyer P, Janssen MC, Greco M, Topaloglu R, Elenberg E, Dohil R, Trauner D, Antignac C, Cochat P, Kaskel F, Servais A, Wühl E, Niaudet P, Van't Hoff W, Gahl W, Levtschenko E. Nephropathic cystinosis: an international consensus document. *Nephrol Dial Transplant.* 2014 Sep;29 Suppl 4(Suppl 4):iv87-94

Kimonis VE, Troendle J, Rose SR, Yang ML, Markello TC, Gahl WA. Effects of early cysteamine therapy on thyroid function and growth in nephropathic cystinosis. *J Clin Endocrinol Metab.* 1995 Nov;80(11):3257-61

Markello TC, Bernardini IM, Gahl WA. Improved renal function in children with cystinosis treated with cysteamine. *N Engl J Med.* 1993 Apr 22;328(16):1157-62

Nesterova G, Williams C, Bernardini I, Gahl WA. Cystinosis: renal glomerular and renal tubular function in relation to compliance with cystine-depleting therapy. *Pediatr Nephrol.* 2015 Jun;30(6):945-51.

Smolin LA, Clark KF, Thoene JG, Gahl WA, Schneider JA. A comparison of the effectiveness of cysteamine and phosphocysteamine in elevating plasma cysteamine concentration and

decreasing leukocyte free cystine in nephropathic cystinosis. *Pediatr Res.* 1988 Jun;23(6):616-20

## **8. Outras Informações – conceitos**

### **ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar**

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

### **ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária**

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

### **CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.**

A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

### **RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais**

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

[https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao\\_nacional\\_medicamentos\\_2024.pdf](https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf)

### **REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais**

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteadas pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

**PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT)** - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o

tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

**FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA** é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a

medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

**A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.**