



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

NOTA TÉCNICA 837/2021 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 25ª Vara Cível Federal do Estado de São Paulo
- 1.3. Processo nº: 5008689-58.2020.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **22/07/2021**
- 1.5. Data da Resposta: **26/07/2021**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 25/10/1994 – 26 anos
- 2.2 Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: **Distrofia Muscular de Duchenne** (CID 10 G71.0)
Solicita Translarna (ataluren)

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

1. O medicamento solicitado, Translarna (Ataluren), é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor?

Esse medicamento tem sido estudado e utilizado em pacientes com distrofia muscular de Duchenne.

2. Há quanto tempo ele foi incorporado à terapêutica da doença do autor?

Tem sido estudado há vários anos , embora não seja medicação incorporada ao tratamento em geral, somente em alguns pacientes.

3. Integra a lista do SUS de medicamentos fornecidos, observados os critérios de universalidade e isonomia? Juntar Relatório relativo à Incorporação desse medicamento. Caso não esteja incorporado, já houve recomendação da CONITEC para incorporar ou para não incorporar. Comentar a decisão.

Não foi incorporado ao SUS, existe avaliação de evidências em 2017, mas não há estudos posteriores.



4. O medicamento solicitado é substituível por outro ou outros fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?

Não há substituição equivalente, vide resposta do quesito SUS, abaixo.

5. 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?

Vide comentário da decisão justificada.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento

Translarna

4.2. Princípio Ativo: ATALURENO

4.3. Registro na ANVISA: 1577000010028

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

4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: corticosteroides (prednisona e fosfato sódico de prednisolona), com a finalidade de retardar a progressão da perda de força e função da musculatura esquelética; os inibidores da enzima de conversão da angiotensina (captopril, maleato de enalapril), os betabloqueadores (succinato e tartarato de metoprolol, atenolol, cloridrato de dobutamina e cloridrato de propranolol), os diuréticos (acetazolamida, espironolactona e furosemida) e os anticoagulantes (heparina sódica e varfarina sódica), para auxiliar na função cardiovascular, e o antagonista dos receptores histamínicos H2 (cloridrato de ranitidina), para os pacientes com refluxo gastroesofágico, por meio do Componente Básico da Assistência Farmacêutica. O tratamento padrão envolve o uso de corticóides, com benefícios comprovados. Estudos demonstram eficácia moderada com o tratamento com prednisona, com ganhos funcionais motor e pulmonar, além de redução no início e evolução da escoliose e cardiopatia.



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

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: Atalureno

4.7.2. Laboratório: PTC FARMACEUTICA DO BRASIL LTDA.

4.7.3. Marca comercial: TRANSLARNA

4.7.3. Apresentação: 250 MG GRAN SUS OR CT 30 ENV AL

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 32.306,81

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 54.852,33

4.8: Tratamento mensal:

4.8.1: Dose diária recomendada: 250 mg manhã, 250 mg almoço, 500 mg noite.

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da ANVISA/CMED. Referência julho de 2021. Disponível em:

<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>

4.10. Recomendações da CONITEC: Não há recomendação do CONITEC, apenas monitoramento do horizonte tecnológico do Ataluren para doença de Duchenne, de dezembro de 2018, com evidências de melhora de alguns sintomas da doença.

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A distrofia muscular de Duchenne não tem cura e o seu tratamento se baseia na terapia sintomática. O ataluren é recomendado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne em pessoas com idade igual ou superior a cinco anos, que conservam a capacidade da marcha

Estudos evidenciam alguma melhora e retardo de progressão da distrofia muscular em uso do ataluren, porém não são resultados muito satisfatórios e demonstram principalmente melhora da marcha dos pacientes.

O ataluren demonstrou ser bem tolerado no ensaio clínico, apresentando eventos adversos leves ou moderado, em sua maioria. O NICE (*The National Institute for Health and Care Excellence*) recomenda o ataluren para o tratamento da distrofia



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

muscular de Duchenne, mas reforça a necessidade de se buscar uma relação custo/benefício favorável para o seu financiamento, considerando a incerteza dos benefícios clínicos relevantes na prática clínica.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O ataluren demonstrou ser bem tolerado, apresentando eventos adversos leves ou moderado, em sua maioria; apesar de ter benefício incerto.

5.3. Parecer

(x) Favorável

() Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

O ataluren é recomendado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne em pessoas com idade igual ou superior a cinco anos, que **conservam a capacidade da marcha**.

O ataluren demonstrou ser bem tolerado no ensaio clínico, apresentando eventos adversos leves ou moderado, em sua maioria. O NICE recomenda o ataluren para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, mas reforça a necessidade de se buscar uma relação custo/benefício favorável para o seu financiamento, considerando a incerteza dos benefícios clínicos relevantes na prática clínica.

Os **benefícios clínicos do ataluren são incertos**, mas o relatório médico enviado relata que o paciente, apesar de já ter perdido a capacidade de marcha, mostrou melhora de força e mobilidade de outros grupos musculares com o uso do ataluren.

Em vista da melhora clínica desse paciente, consideramos favoravelmente à solicitação da medicação.

5.5. Referências bibliográficas:

www.conitec.gov: Síntese de evidências 2017 : Ataluren, distrofia muscular de Duchenne.



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

National Center for Advancing Translational Sciences (NIH). Genetic and Rare Diseases Information Center (GARD). Learning About Duchenne Muscular Dystrophy. National Human Genome Research Institute (NHGRI). April 18, 2013. Disponível em: <<https://www.genome.gov/19518854>>. Acesso em: 04 abr. 2017.

Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, Case LE, Clemens PR, Cripe L, Kaul A, Kinnett K, McDonald C, Pandya S, Poysky J, Shapiro F, Tomezsko J, Constantin C; DMD Care Considerations Working Group.. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and pharmacological and psychosocial management. Lancet Neurol. 2010 Jan;9(1):77-93. doi:10.1016/S1474-4422(09)70271-6.

National Center for Advancing Translational Sciences (NIH). Duchenne and Becker muscular dystrophy. Genetics Home Reference (GHR). February 2012. Disponível em: <<https://ghr.nlm.nih.gov/condition/duchenne-and-becker-muscular-dystrophy#statistics>>. Acesso em: 04 abr. 2017.

Haldeman-Englert C. Duchenne muscular dystrophy. MedlinePlus. February 3, 2014; April 18, 2013. Disponível em: <<https://medlineplus.gov/ency/article/000705.htm>>. Acesso em: 04 abr. 2017.

Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, Case LE, Clemens PR, Cripe L, Kaul A, Kinnett K, McDonald C, Pandya S, Poysky J, Shapiro F, Tomezsko J, Constantin C; DMD Care Considerations Working Group.. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 2: implementation of multidisciplinary care. Lancet Neurol. 2010 Feb;9(2):177-89. doi: 10.1016/S1474-4422(09)70272-8.

Almac Pharma Services. TranslarnaTM. EPAR: Product Information. Annex I. Summary of product characteristics. 08 Mar. 2017. Disponível em: <http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-



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

_Product_Information/human/002720/WC500171813.pdf>. Acesso em: 03 abr. 2017.

National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Ataluren for treating Duchenne muscular dystrophy with a nonsense mutation in the dystrophin gene. Published: 20 July 2016. Disponível em: <<https://www.nice.org.uk/guidance/hst3/resources/ataluren-for-treating-duchenne-muscular-dystrophy-with-a-nonsense-mutation-in-the-dystrophin-gene-1394899207621>>. Acesso em: 03 abr. 2017.

Bushby K, Finkel R, Wong B, Barohn R, Campbell C, Comi GP, Connolly AM, Day JW, Flanigan KM, Goemans N, Jones KJ, Mercuri E, Quinlivan R, Renfroe JB, Russman B, Ryan MM, Tulinius M, Voit T, Moore SA, Lee Sweeney H, Abresch RT, Coleman KL, Eagle M, Florence J, Gappmaier E, Glanzman AM, Henricson E, Barth J, Elfring GL, Reha A, Spiegel RJ, O'donnell MW, Peltz SW, McDonald CM; PTC124-GD-007-DMD STUDY GROUP. Ataluren treatment of patients with nonsense mutation dystrophinopathy. Muscle Nerve. 2014 Oct;50(4):477-87. doi: 10.1002/mus.24332.

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

Equipe NAT-Jus/SP