



NOTA TÉCNICA Nº 1386/2021 - 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: 5028106-60.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **13/10/2021**
- 1.5. Data da Resposta: **18/10/2021**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 01/01/1969 – 52 anos
- 2.2 Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Doença de Pompe - CID E74

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

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

Trata-se de medicamento experimental? Tem registro na Anvisa?

A doença de Pompe é uma doença genética que cursa com deficiência da alfa-glicosidase ácida, uma enzima envolvida na quebra do glicogênio em glicose. Sua ausência ou redução leva ao acúmulo de glicogênio nas células, principalmente musculares, com dano tecidual. A doença tem uma forma precoce, com apresentação no primeiro ano de vida e complicações principalmente cardiovasculares; e uma forma tardia, que se apresenta de 1 a 60 anos de idade, com acometimento principalmente de fraqueza muscular e dificuldade respiratória, levando com alguma frequência a infecções secundárias. A apresentação clínica



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

é muito heterogênea, dependendo do nível do defeito enzimático. Alguns pacientes têm muitos sintomas e limitações e outros não.

A alfa-glicosidase (terapia de reposição enzimática) pode ser usada para tratar pacientes com doença de Pompe de início precoce. Já em relação aos pacientes com doença de Pompe de início tardio, o CONITEC recomendou a não incorporação da terapia ao SUS, devido aos estudos com benefício modesto e potenciais problemas metodológicos, além de alto custo orçamentário (1).

Não é um medicamento experimental e tem registro na ANVISA.

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

Ver resposta anterior e referência 1.

O SUS oferece alternativa de tratamento? Qual?

Não há alternativa medicamentosa ao tratamento de reposição enzimática. Os pacientes com a doença devem ser acompanhados e ter suporte multiprofissional, incluindo fisioterapia.

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

Não há outra medicação. O benefício da alfa-glicosidase na forma tardia da doença é questionável, como diz o relatório da CONITEC e a referência 2. Há poucos estudos mostrando benefício em desfechos clinicamente relevantes. Pode fazer sentido reservar a terapia de reposição enzimática, no caso da forma tardia da doença, para pacientes com doença mais grave, principalmente se tiverem comprometimento respiratório relevante.



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **medicamento**

Myozyme

4.2. Princípio Ativo: ALFA-ALGLICOSIDASE

4.3. Registro na ANVISA: 1832603420014

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

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

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: ALFA-ALGLICOSIDASE

4.7.2. Laboratório: SANOFI MEDLEY FARMACÊUTICA LTDA.

4.7.3. Marca comercial: MYOZYME

4.7.3. Apresentação: 50 MG PO LIOF SOL INJ IV CT FA VD TRANS

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: R\$ 2.148,51

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: R\$ 2.148,51

4.8. Tratamento mensal:

4.8.1: Dose diária recomendada: 20 mg/kg a cada 15 dias, a paciente pesa aprox. 63kg – 25 frascos a cada 15 dias

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da

ANVISA/CEMED. Referência Outubro de 2021. Disponível em:

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

4.10. Recomendações da CONITEC: O Plenário da Conitec, em sua 97ª Reunião Ordinária, realizada no dia 05 de maio de 2021, deliberou por unanimidade recomendar a não incorporação da terapia de reposição enzimática para o tratamento da Doença de Pompe de início tardio.

5. Discussão e Conclusão



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

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

e

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Ver item 3.

5.3. Parecer

() Favorável

(x) **Desfavorável**

5.4. Conclusão Justificada:

A CONITEC recomendou pela não incorporação da medicação devido a evidências pouco contundentes de benefício em desfechos clínicos relevantes. O uso off-label da medicação pode fazer sentido em pacientes com acometimento mais grave que a da autora, já que não há alternativa medicamentosa à terapia de reposição enzimática.

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

5.5. Referências bibliográficas:

1. http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2021/20210317_Relatorio_CP_14_Alfa_alglicosidase.pdf
2. UpToDate: Lysosomal acid alpha-glucosidase deficiency (Pompe disease, glycogen storage disease II, acid maltase deficiency)



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

5.6. Outras Informações:

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

Equipe NAT-Jus/SP