



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 NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 25ª Vara Cível Federal de São Paulo
- 1.3. Processo nº: 0014905-62.2016.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **18/08/2021**
- 1.5. Data da Resposta:**20/08/2021**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 24/05/1993 – 28 anos
- 2.2. Sexo: masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo - SP
- 2.4. Histórico da doença: **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** (CID10-G71) e está em tratamento com corticoterapia e cardioproteção. Paciente é cadeirante e faz uso de Bipap noturno; apresenta estabilidade de tronco e não apresenta comprometimento cardíaco.

Solicita Atalureno

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

- 1. O medicamento pleiteado é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece a parte autora? Há quanto tempo o medicamento foi incorporado à terapêutica da doença de que padece a parte autora e com que resultados?**

Foi desenvolvido para melhora da força muscular em pacientes com DMD e lançado em 2014

- 2. O medicamento requerido encontra-se incorporado ao SUS? Se negativa a resposta, é substituível por outro ou outros fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?**



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

Não há medicamento para essa doença no SUS. É uma moléstia progressiva que leva a insuficiência respiratória e cardíaca.

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

Não há substituto no SUS.

4 Referido medicamento é considerado experimental? Possui registro na ANVISA? Se negativa a resposta, houve pedido de registro negado pela Anvisa? Há pedido de registro na Anvisa em andamento?

Não. Possui registro na Anvisa.

5. O medicamento demandado conta com registro em renomadas agências reguladoras internacionais?

Na Europa, a autorização para introdução no mercado foi concedida pela EMA em 2014, com os rótulos “monitoramento adicional” e “aproviação condicional”.

6. Outros esclarecimentos considerados úteis e pertinentes

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento

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;



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

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.

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: Ataluren

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: 500 mg manhã, 500 mg almoço, 1000 mg noite.

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços de medicamentos da ANVISA/CMED. Referência agosto 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:

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 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.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

O ataluren demonstrou ser bem tolerado, apresentando eventos adversos leves ou moderado, em sua maioria.

5.3. Parecer

(x) Favorável

() Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada

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.

O ataluren demonstrou ser bem tolerado em ensaio clínico, apresentando eventos adversos leves ou moderados, 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.



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

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. Recuperou capacidade de se manter sentado e estabilidade das funções pulmonar e cardíaca.

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

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:

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

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.



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). 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_-_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



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

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