



NOTA TÉCNICA 288/2021 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
1.2. Origem: 2ª Vara Federal de São Carlos
1.3. Processo nº: 5000712-33.2021.4.03.6115
1.4. Data da Solicitação: **26/03/2021**
1.5. Data da Resposta: **30/03/2021**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 03/07/1980 – 40 anos
2.2. Sexo: feminino
2.3. Cidade/UF: São Carlos - SP
2.4. Histórico da doença: paciente afetada pela doença **Fibrose Cística** (CID 10-E84.8) com cloro no suor > 80mmol/L desde a infância, e posteriormente identificada por meio de pesquisa genética a presença de duas variantes patogênicas em heterozigose F508del / c.1680-1G>A.

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

4. Descrição da Tecnologia

- 4.1. Tipo da tecnologia: **medicamento**
TRIKAFTA - elexacaftor + trezacaftor + ivacaftor
4.2. Princípio Ativo: Elexacaftor, Ivacaftor, Tezacaftor
4.3. Registro na ANVISA: sem registro.
4.4. O produto/procedimento/medicamento está disponível no SUS: não
4.5. Descrever as opções disponíveis no SUS/Saúde Suplementar: Ivacaftor (Kalydeco) -Com registro ANVISA, avaliação favorável CONITEC; Ivacaftor + Lumacaftor (Orkambi). Com registro ANVISA, avaliação desfavorável pleo



CONITEC; Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko). Com registro ANVISA, sem avaliação CONITEC; Terapia tripla (Elexacaftor + Tezacaftor + Ivacaftor = Trikafta) está aprovada pelo FDA, mas ainda não pela ANVISA. Sem avaliação CONITEC.

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

4.10. Recomendações da CONITEC: não avaliado

5. Discussão e Conclusão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

A fibrose cística é uma doença causada por mutações genéticas que levam à produção, por alguns órgãos, de secreções mais espessas do que deveriam ser. O principal órgão acometido é o pulmão. A produção de muco espesso aumenta o risco de infecções bacterianas de repetição e destruição do parênquima pulmonar.

O tratamento da doença é baseado no uso de terapias inalatórias que objetivam fluidificar o muco, além de tratamento das infecções pulmonares. O acometimento de outros órgãos, como o pâncreas, pode levar a outras terapias, como reposição de enzimas pancreáticas.

Na última década, houve o surgimento de medicações novas, chamadas de moduladoras da proteína CFTR (canal regulador que atravessa a membrana) (envolvida no mecanismo básico da doença). Existem quatro destas medicações até o momento: Kalydeco, Symdeko, Orkambi e Trikafta. Cada uma delas tem uma indicação específica, guiada principalmente pela mutação genética carregada pela pessoa doente. No caso da paciente em questão, que é heterozigota para a mutação F508del, a indicação seria do Trikafta (1). Entretanto, trata-se de medicação ainda sem registro na ANVISA. De acordo com artigo publicado no site Unidos Pela Vida (2), a empresa *Vertex Pharmaceuticals*, produtora da medicação, solicitou o registro na ANVISA no dia 26/03/2021. A partir deste momento, a agência tem 90 dias para conceder o registro e a medicação



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

poder ser comercializada no país, de acordo com a Lei nº 13.411, de 28 de dezembro de 2016 (3). O fornecimento, pelo Estado, de medicamentos sem registro na ANVISA, de acordo com o entendimento do STF (4), só pode ocorrer em casos excepcionais:

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; e
 - (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.

O item 3 deste entendimento deixa claro que a concessão judicial sem registro sanitário tem como pré-requisito mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei nº 13.411/2016). No caso em questão, o prazo da agência iniciou-se agora, no final do mês de março de 2021.



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

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

A terapia tem como principais benefícios o ganho em qualidade de vida, melhora da função pulmonar e menor taxa de sintomas e exacerbações respiratórias (1)(5).

5.3. Parecer

() Favorável

(x) **Desfavorável**

5.4. Conclusão Justificada:

A terapia tem evidência de benefícios para casos como o da paciente. Entretanto, neste momento não se justifica a liberação de uma medicação sem registro sanitário, conforme exposto acima.

5.5. Referências bibliográficas:

1. UpToDate: Cystic fibrosis: Treatment with CFTR modulators
2. <https://unidospelavida.org.br/pedidoregistroanvisatrikafta/>
3. http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2015-2018/2016/Lei/L13411.htm
4. <https://www.migalhas.com.br/quentes/302836/stf--estado-so-deve-fornecer-medicamentos-sem-registro-na-anvisa-em-casos-excepcionais>
5. Southern KW, Murphy J, Sinha IP, Nevitt SJ. Corrector therapies (with or without potentiators) for people with cystic fibrosis with class II CFTR gene variants (most commonly F508del). Cochrane Database Syst Rev. 2020 Dec 17;12:CD010966.

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



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

Equipe NAT-Jus/SP