



NOTA TÉCNICA 1127/2021 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 23ª Vara Cível Federal de São Paulo – TRF3
- 1.3. Processo nº: 5016211-05.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: **03/09/2021**
- 1.5. Data da Resposta: **10/09/2021**

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 19/07/1996 – 25 anos
- 2.2 Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Fibrose Cística - CID E84.8
- Solicita TRIKAFTA de 100mg/50mg/75mg e 150mg

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

O(s) medicamento(s) requerido(s) é(são) o(s) fármaco(s) normalmente utilizado(s) no tratamento da doença de que padece o(a) autor(a)? Há quanto tempo o medicamento foi incorporado à terapêutica da doença de que padece o(a) autor(a) e com que resultados?

Favor vide item 5.1

O(s) medicamento(s) pleiteado(s) é(são) fornecido(s) pelo SUS? Houve estudo de sua inclusão nas listas do SUS? Ele(s) é(são) substituível(is) por outro(s) fornecido(s) pelo SUS, com eficiência equivalente?

Não, não está disponível. E não existe outro medicamento com eficácia equivalente no SUS.

Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficiência semelhante, quais as eventuais consequências negativas à saúde da



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

autora em razão do uso do medicamento intercambiável, que poderiam ser evitadas pelo uso do fármaco pretendido?

Vide pergunta anterior.

Referido medicamento é considerado experimental? Possui registro na Anvisa?

Não, não possui registro na ANVISA.

Se negativa a resposta, há pedido de registro em andamento na Anvisa?

Sim, no final de março de 2021.

Há registro do medicamento em renomadas agências estrangeiras? Quais?
FDA.

O(s) fármaco(s) pleiteado(s) é(são) considerado(s) medicamento(s) órfão(s) para tratamento de doenças raras ou ultrarraras? Explicar

Sim, os medicamentos órfãos são produtos médicos destinados à prevenção, diagnóstico ou tratamento de doenças muito graves ou que constituem um risco para a vida e que são raras. Estes medicamentos são denominados “órfãos” porque, em condições normais de mercado, a indústria farmacêutica tem pouco interesse em desenvolver e comercializar medicamentos destinados apenas a um pequeno número de doentes.

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento

TRIKAFTA de 100mg/50mg/75mg e 150mg

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 + Lumicaftor (Orkambi). Com registro ANVISA, avaliação desfavorável pela CONITEC; Ivacaftor + Tezacaftor (Symdeko). Com registro ANVISA, sem



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

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.

4.7: Tratamento mensal:

4.7.1: Dose diária recomendada: 2 comprimidos laranjas (100mg/50mg/75mg) pela manhã e um azul (150mg) à noite

4.8. 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 rara que resulta na formação de muco espesso que se acumula nos pulmões, no trato digestivo e em outras partes do organismo. Isso leva a graves problemas respiratórios e digestivos, bem como a outras complicações como infecções e diabetes. A fibrose cística é causada por uma proteína defeituosa que resulta de mutações no gene CFTR. Embora existam cerca de 2.000 mutações conhecidas do gene CFTR, a mais comum é a mutação Delta F508.

Trikafta é uma combinação de três drogas que tem como alvo a proteína CFTR defeituosa. Ele ajuda a proteína produzida pela mutação do gene CFTR a funcionar de maneira mais efetiva. As terapias disponíveis atualmente que têm como alvo a proteína defeituosa são opções de tratamento para alguns pacientes com fibrose cística, mas muitos pacientes têm mutações não elegíveis para tratamento. Trikafta é o primeiro tratamento aprovado que é efetivo para pacientes com fibrose cística com 12 anos de idade ou mais com pelo menos uma mutação Delta F508, que afeta 90% da população com fibrose cística ou cerca de 27.000 pessoas nos Estados Unidos.

A eficácia de Trikafta em pacientes com fibrose cística com idades de 12 anos ou mais foi demonstrada em dois estudos. O primeiro foi um estudo de 24



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

semanas, randomizado, duplo-cego, controlado por placebo em 403 pacientes que tinham uma mutação F508del e uma mutação no segundo alelo, o que resulta na ausência da proteína CFTR ou em uma proteína CFTR que não responde a ivacaftor ou tezacaftor/ivacaftor isolados. O segundo foi um estudo de quatro semanas, randomizado, duplo-cego, de controle ativo em 107 pacientes que tinham duas mutações F508del idênticas.

Trikafta está aprovado para pacientes com fibrose cística com 12 anos ou mais que tenham pelo menos uma mutação Delta F508 no gene regulador da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR) que, segundo estimativas, representa cerca de 90% da população com fibrose cística. Contudo, para o Brasil, ele ainda precisa ser aprovado pela ANVISA – Agência Nacional de Vigilância Sanitária, para então poder ser submetido à apreciação da Comissão Nacional de Incorporação de Novas Tecnologias no SUS (CONITEC), e então, se incorporado, estar disponível no SUS.

O fornecimento pelo estado, de medicamentos sem registro na ANVISA de acordo com entendimento da STF, só pode ocorrer em casos excepcionais:

- O estado não pode ser obrigado a fornecer medicamentos experimentais.
- A ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento por decisão judicial.
- É possível, excepcionalmente, a concessão judicial de medicamentos sem registro sanitário, em caso de mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido (prazo superior ao previsto na Lei 13.411/2016) quando preenchidos três requisitos:
 - A existência de pedido de registro do medicamento no Brasil (salvo no caso de medicamentos órfãos para doenças raras e ultrarraras),
 - A existência de registro do medicamento em renomadas agências de regulação exterior, e
 - A inexistência de substituto terapêutico com registro no Brasil.



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

De acordo com o artigo publicado no site Unidos pela vida, a empresa Vertex Pharmaceuticals, produtora de medicação, solicitou o registro na ANVISA no dia 26/03/2021. A partir desse momento, a agência tem 90 dias para conceder o registro e a medicação pode ser comercializada no país, de acordo com a Lei nº 13.411, 28 de dezembro de 2016.

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.

5.3. Parecer

☒ **Favorável**

☐ Desfavorável

5.4. Conclusão Justificada:

A terapia em questão tem evidência na literatura de benefícios para casos como o do paciente. No item 5.1 deste entendimento lembramos que a concessão judicial para drogas sem registro na ANVISA teria como pré-requisito a mora irrazoável da ANVISA em apreciar o pedido, (prazo superior ao previsto por Lei nº 13.411/2016). No caso em questão, o prazo da agência já concluiu (Iniciado no final de março de 2021), e a concessão por via judicial seria possível.

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

☒ NÃO

5.5. Referências bibliográficas:



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

1. A Therapy for Most with Cystic Fibrosis, Cell. 2020 Jan 23;180(2):211. doi: 10.1016/j.cell.2019.12.032.
2. Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Trikafta) for cystic fibrosis, Med Lett Drugs Ther. 2020 Jan 13;62(1589):5-7.
3. http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2015-2018/2016/Lei/L13411.htm
4. <https://unidospelavida.org.br/pedidoregistroanvisatrikafta/>
5. <https://www.migalhas.com.br/quentes/347331/stf-define-regras-para-fornecimento-de-remedio-sem-registro-na-anvisa>

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

Equipe NAT-Jus/SP