



## **NOTA TÉCNICA Nº 1361/2021 - 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: 5027948-05.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 07/10/2021
- 1.5. Data da Resposta: 14/10/2021

### **2. Paciente**

Artur Miguel Silva Santos

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 09/10/2010 – 10 anos
- 2.2 Sexo: Masculino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Paralisia cerebral, Síndrome de Dravet, Transtorno do Espectro Autista e Retardo Mental Leve - CID 10 – G80, G40.5, F84 e F70

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

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

**Trata-se de medicamento experimental?**

Síndrome de Dravet é uma doença genética rara caracterizada sindromicamente por epilepsia refratária com crises que se iniciam antes do primeiro ano de idade, além de baixo desenvolvimento neuropsicomotor.

O estiripentol é sim usado para a doença. Foi aprovado pelo FDA em 2018. Não é comercializado no Brasil. É uma medicação com ensaios clínicos mostrando eficácia em pacientes crianças com epilepsia refratária.



**O medicamento tem registro na Anvisa? Houve pedido de registro não apreciado? Se sim, desde quando pende de apreciação? Houve recusa de registro pela Anvisa?**

Não há registro na ANVISA. Não tenho acesso a um sistema que forneça as demais respostas.

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

Não está incorporado ao SUS. Não há nenhuma proposta de incorporação apreciado pelo CONITEC.

**O SUS oferece alternativa de tratamento? Qual?**

Existem medicamentos no SUS disponíveis para tratamento de epilepsia. Entretanto, são menos específicos para a síndrome do paciente. Além disso, o paciente já fez uso das medicações disponíveis no SUS.

**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?**

Não há alternativas no SUS para este caso em particular.

#### **4. Descrição da Tecnologia**

4.1. Tipo da tecnologia: medicamento - Diacomit 250mg - Estiripentol/Stiripentol

4.2. Princípio Ativo: Estiripentol

4.3. Registro na ANVISA: não

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

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

De acordo com a Portaria Conjunta nº 17 (Epilepsia), de 21 de junho de 2018, os medicamentos fornecidos pelo Componente Especializado da Assistência



**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

Farmacêutica da Coordenadoria de Assistência Farmacêutica, da Secretaria de Estado de Saúde de São Paulo, são:

- Clobazam 10 mg e 20 mg – comprimido
- Etossuximida 50 mg/mL xarope – frasco de 120 mL
- Gabapentina 300 mg e 400 mg – cápsula
- Lamotrigina 25 mg, 50 mg e 100 mg – comprimido
- Levetiracetam 250 mg e 750 mg por comprimido, 100 mg/mL solução oral – frasco de 100mL e 100 mg/mL solução oral – frasco de 150mg
- Primidona 100 mg e 250 mg – comprimido
- Topiramato 25 mg, 50 mg e 100 mg – comprimido

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: Estiripentol

4.7.2. Laboratório: Biocodex

4.7.3. Marca comercial: Diacomit

4.7.3. Apresentação: Cápsula 500mg, Pó para suspensão oral 500mg, Pó para suspensão oral 250mg, cápsula 250mg

4.7.4. Preço máximo de venda ao Governo: não adquirido

4.7.5. Preço máximo de venda ao Consumidor: apenas por importação

4.8. Recomendações da CONITEC: não avaliado

## **5. Discussão e Conclusão**

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia:

Ver item 3.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Melhora das crises convulsivas.



**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

5.3. Conclusão Justificada:

O paciente tem uma doença que cursa com crises convulsivas graves, que ameaçam sua vida. Já recebe há alguns anos a medicação específica para sua doença, com melhora. Há evidência suficiente para uso da medicação em pacientes com síndrome de Dravet. Entretanto, a ausência de registro na ANVISA impede, como regra geral, o fornecimento de medicamento por decisão judicial. 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.

Assim, é opinião do parecerista que a medicação está indicada do ponto de vista técnico-científico, cabendo ao magistrado decidir pela liberação ou não em função dos trâmites e impedimentos burocráticos e legislativos.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

- ( ) SIM, com potencial risco de vida
- ( X ) SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função
- ( ) NÃO



**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

**5.5. Referências bibliográficas:**

Chiron C, Marchand MC, Tran A, Rey E, d'Athis P, Vincent J, Dulac O, Pons G. Stiripentol in severe myoclonic epilepsy in infancy: a randomised placebo-controlled syndrome-dedicated trial. STICLO study group. Lancet. 2000 Nov 11;356(9242):1638-42.

UpToDate: Dravet syndrome: Management and prognosis

Frampton JE. Stiripentol: A Review in Dravet Syndrome. Drugs. 2019 Nov;79(16):1785-1796. doi: 10.1007/s40265-019-01204-y. PMID: 31617141.

Yamada M, Suzuki K, Matsui D, Inoue Y, Ohtsuka Y. Long-term safety and effectiveness of stiripentol in patients with Dravet syndrome: Interim report of a post-marketing surveillance study in Japan. Epilepsy Res. 2021 Feb;170:106535. doi: 10.1016/j.epilepsyres.2020.106535. Epub 2020 Dec 31. PMID: 33388609.

[https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda\\_docs/label/2018/206709s000,207223s000lbl.pdf](https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2018/206709s000,207223s000lbl.pdf) acessado em outubro de 2021 - aprovação Food and Drug Administration

[https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Drugs\\_Search.php?lng=EN&data\\_id=131909&search=Drugs\\_Search\\_Simple&data\\_type=Status&Typ=Med](https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Drugs_Search.php?lng=EN&data_id=131909&search=Drugs_Search_Simple&data_type=Status&Typ=Med) acessado em 11 de outubro de 2021 - registro de medicamento órfão

[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2017/Recomendacao/Relatorio\\_PCDT\\_Epilepsia\\_Portaria05-12-17\\_CP\\_65\\_2017.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2017/Recomendacao/Relatorio_PCDT_Epilepsia_Portaria05-12-17_CP_65_2017.pdf) acessado em 11 de outubro de 2021 - Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas Epilepsia - novembro de 2017 - CONITEC

**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**