

NOTA TÉCNICA Nº 1348/2021 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Origem: 25ª Vara Cível Federal de São Paulo – TRF 3
- 1.3. Processo nº: 5026806-63.2021.4.03.6100
- 1.4. Data da Solicitação: 06/10/2021
- 1.5. Data da Resposta: 14/10/2021

2. Paciente

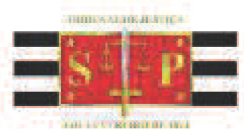
- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 22/04/2009 – 12 anos
- 2.2 Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: São Paulo/SP
- 2.4. Histórico da doença: Síndrome de Dravet - CID G40.4

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

O medicamento requerido é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor?

A síndrome de Dravet, antigamente conhecida como epilepsia mioclônica grave infantil, representa síndrome genética rara que cursa com epilepsia e atraso de desenvolvimento neuropsicomotor. Destaca-se que frequentemente a doença é associada à mutação do gene SCN1A - canal de sódio voltagem dependente alfa-

1. A doença pode levar a óbito por status epilético ou por morte súbita relacionada à epilepsia. O stiripentol (Dracomit) é um modulador alostérico do receptor gama-aminobutírico A e deve ser usado como antiepiléptico em associação a outras medicações. No caso da paciente, está associado a clobazam, valproato e topiramato. A medicação é adequada para o tratamento da doença.



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

Há quanto tempo o medicamento passou a fazer parte da terapêutica da doença em questão e com que resultados?

A medicação é estudada desde o início do século XXI, no entanto sua aprovação pelo órgão de vigilância estadunidense chamado Food and Drug Administration aconteceu somente em 2018.

Trata-se de medicamento órfão para doença rara?

Medicamento registrado como órfão nos Estados Unidos da América.

Trata-se de medicamento experimental?

Medicação já aprovada para uso em outros países com uma série de publicações que acompanham seu uso em nível populacional, portanto a medicação não pode ser caracterizada como experimental.

O medicamento tem registro na Anvisa?

Medicamento não identificado em plataforma da Anvisa.

Houve pedido de registro não apreciado? Se sim, desde quando pende de apreciação?

Não identificado em plataforma da Anvisa pedido de registro.

Houve expressa recusa de registro pela Anvisa?

Novamente, não identificado em plataforma da Anvisa pedido de registro.

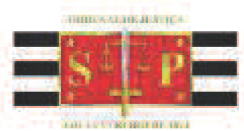
O medicamento requerido está incorporado ao SUS? Se negativa a resposta, esclarecer se houve proposta de incorporação (não acatada) ou de não-incorporação?

Medicamento ainda não avaliado pela ANVISA ou pela Comissão Nacional de Incorporação de tecnologias ao SUS (CONITEC).

O SUS oferece alternativa de tratamento? Qual?

O SUS oferece uma série de anticonvulsivantes como:

- topiramato
- clobazam
- valproato



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

Paciente usa estas três medicações, no entanto, somente com elas mantinha crises refratárias. O estiripentol (Diacomit) foi utilizado como terapia adicional para controle de crises.

Havendo outros medicamentos fornecidos pelo SUS com eficácia 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 alternativa para adição neste caso.

A infusão do medicamento demanda a internação do paciente ou necessita ser realizada em ambiente hospitalar?

Medicamento utilizado por via oral, isto é, tomada por boca sem necessidade de ambiente hospitalar.

4. Descrição da Tecnologia

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

4.2. Princípio Ativo: Estiripentol

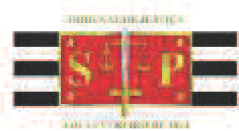
4.3. Registro na ANVISA: não

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 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



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

- 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:

Vide item 3.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

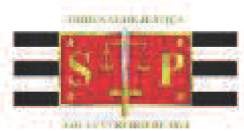
Vide item 3.

5.3. Conclusão Justificada:

O paciente tem uma doença que cursa com crises convulsivas graves, que ameaçam sua vida. 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);



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

(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?

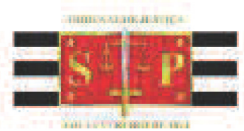
☒ (X) SIM, com potencial risco de vida

☐ () SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função

☐ () NÃO

5.4. Referências bibliográficas:

1. Brigo F, Igwe SC, Bragazzi NL. Antiepileptic drugs for the treatment of infants with severe myoclonic epilepsy. Cochrane Database Syst Rev. 2017 May 18;5(5):CD010483. doi: 10.1002/14651858.CD010483.pub4. PMID: 28521067; PMCID: PMC6481545.
2. 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.
3. Frampton JE. Stiripentol: A Review in Dravet Syndrome. Drugs. 2019 Nov;79(16):1785-1796. doi: 10.1007/s40265-019-01204-y. PMID: 31617141.
4. 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.



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. https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2018/206709s000,207223s000lbl.pdf acessado em outubro de 2021 - aprovação Food and Drug Administration
6. 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
7. http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2017/Recomendacao/Relatorio_PC_DT_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

5.5. Outras Informações:

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

Equipe NAT-Jus/SP