



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

RESPOSTA TÉCNICA 158/2020 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: **TRF-3**
- 1.2. Origem: TRF-3
- 1.3. Processo nº: 5002361-15.2020
- 1.4. Data da Solicitação: **28/09/2020**
- 1.5. Data da Resposta: **05/10/2020**

2. Paciente

- 2.1. Nome: [REDACTED]
- 2.2. Data de Nascimento/Idade: 25/04/2005 – 15 anos
- 2.3. Sexo: masculino
- 2.4. Cidade/UF: São Paulo - SP
- 2.5. Histórico da doença: paciente é portador de **Distrofia Muscular de Duchenne** (CID G71.0). Os pais perceberam que, diferentemente de outras crianças da mesma idade, o paciente sofria quedas constantes, apresentava fadiga aos mínimos esforços, dificuldade para se alimentar, se levantar, subir degraus, andar na ponta dos pés, correr, saltar, falar, além de dificuldade escolar. Em decorrência disso, procuraram auxílio médico e houve o diagnóstico da doença. Atualmente, o paciente apresenta fraqueza importante em seus membros inferiores e somente completa os movimentos dos membros superiores com compensações. Tem dificuldades para deambular, segurar objetos, correr, pular,



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

falar e conversar. Seu quadro clínico já é considerado avançado, com perda diária da força motora, inchaço e alterações na esfera cardíaca, além de restrições respiratórias.

Solicita Ataluren (translarna)

3. Quesitos formulados pelo Magistrado

1. O medicamento solicitado é o fármaco normalmente utilizado no tratamento da doença de que padece o autor? Há quanto tempo ele foi incorporado à terapêutica da doença do autor? Integra a lista do SUS de medicamentos fornecidos, observados os critérios de universalidade e isonomia? Juntar Relatório relativo à Incorporação desse medicamento.

Esse medicamento é o único fármaco utilizado para controle e retardo da progressão de alguns sintomas da doença.

Tem sido estudado há vários anos e desde 2014 tem documentação na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Não faz parte da Relação Nacional de Medicamentos Essenciais (RENAME)

2. O medicamento solicitado é substituível por outro ou outros fármacos fornecidos pelo SUS, com eficiência equivalente?

Não existe outro fármaco equivalente no SUS

3. 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 fármaco pretendido?

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



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

4. O medicamento solicitado possui registro na Anvisa?

Registro ANVISA nº 586020050000507 – Translarna 100 mg e nº 1577000010028 com 250 mg

Se a resposta for negativa:

4.1. Houve pedido de registro na Anvisa? Em que data? Qual o atual andamento do procedimento de registro?

4.2 Há registro do medicamento em renomadas agências regulatórias do exterior?

Na Europa, a autorização para introdução no mercado foi concedida pela *European Medicines Agency (EMA)* em 2014, com os rótulos “monitoramento adicional” e “aprovação condicional”

4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: **medicamento - Translarna®**

4.2. Princípio Ativo: **Atalureno**

4.3. Registro na ANVISA: **586020050000507 (1000 mg) e 1577000010028 (250 mg)**

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

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

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

4.7. Custo da tecnologia:

4.7.1. Denominação genérica: **Atalureno**

4.7.2. Laboratório: **PTC Farmaceutica do Brasil Ltda.**

4.7.3. Marca comercial: **Translarna®**



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

4.7.3. Apresentação: cx com 30 envelopes (1000mg e 250mg) com 4 g e 1 g, respectivamente

4.7.4. Preço máximo de venda ao Consumidor: **R\$ 205.458,72 (1000mg)**
R\$ 51.364,67 (250mg)

4.8: Tratamento mensal: **4cx com 30 sachês de 1000mg e 8 cxs com 30 sachês de 250mg**

4.8.1: Dose diária recomendada:

Manhã – 3 sachê de 250mg

Almoço – 1 sachê de 1000 mg

Noite – 1 sachês de 250mg

4.8.2. Custo mensal - preço máximo de venda ao Consumidor:

4 cx de 1000mg = R\$ 821.854,88

8 cx de 250mg = R\$ 410.917,36

Custo total = R\$ 1.232.772,24

4.9. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços da ANVISA – referência 03/08/2020. Disponível em:

http://antigo.anvisa.gov.br/documents/374947/6048620/LISTA_CONFORMIDAD E_2020_10_v1.pdf/7b88a38f-1b2f-4768-b589-f62b4beb1762

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:

A Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença genética que afeta crianças e adolescentes, de caráter progressivo e que leva à morte. O Ataluren é um medicamento específico para essa doença, e as evidências científicas mostram que pode haver um benefício de ganho de marcha em um estudo controlado por



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

placebo. Esses ganhos, apesar de mostrarem significância estatística, **não parecem ser muito consistentes**. Por essas e outras razões a sua aprovação na Europa é condicional, e não foi aprovado pelo *Food and Drug Administration* (FDA) norte-americano. Por se tratar de doença rara, evidências científicas sólidas podem demorar a aparecer.

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia:

Por se tratar de doença **incurável**, qualquer forma de tratamento que traga alguma vantagem deve ser considerada. Ao mesmo tempo, obrigar o Estado a pagar por um **tratamento tão controverso** pode não ser o ideal. Nessas situações a melhor solução talvez seja incluir o paciente em estudos clínicos que estejam recrutando pacientes. Há um site norte-americano (<https://clinicaltrials.gov/>) que mostra estudos em andamento e que estão recrutando voluntários.

5.3. Conclusão Justificada:

Com tão poucas evidências científicas de sua utilidade, **não se justifica o fornecimento de tal medicação**.

5.4. Referências bibliográficas:

Paulo Victor Sgobbi de Souza; Fernando George Monteiro Naylor; Wladimir Bocca Vieira de Rezende Pinto; Acary Souza Bulle Oliveira. Distrofia muscular de Duchenne: propostas terapêuticas clássicas e novas e perspectivas futuras. Arq. Neuro-Psiquiatr. vol.75 no.8 São Paulo Aug. 2017

PAOLA D'AMBROSIO,¹ CHIARA ORSINI,¹ VINCENZO NIGRO,² and LUISA POLITANO¹³. Therapeutic approach with Ataluren in Duchenne symptomatic



PODER JUDICIÁRIO
TRIBUNAL DE JUSTIÇA DO ESTADO DE SÃO PAULO
Secretaria de Gestão de Pessoas – SGP
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

carriers with nonsense mutations in dystrophin gene. Results of a 9-month follow-up in a case report. *Acta Myol.* 2018 Dec 1;37(4):272-274. eCollection 2018 Dec

Mah JK. Current and emerging treatment strategies for Duchenne muscular dystrophy. *Neuropsychiatr Dis Treat.* 2016;12:1795-807.

Araujo APQC, Carvalo AAS, Cavalcanti EBU, Saute JAm, Carvalho E, França Junior MC et al. Brazilian consensus on Duchenne muscular dystrophy – Part 1: diagnosis, steroid therapy and perspectives. *Arq Neuropsiquiatr.* 2017;75(8):589-98. <https://doi.org/10.1590/0004-282X20170112>

Craig M McDonald, Craig Campbell, Ricardo Erazo Torricelli, Richard S Finkel, Kevin M Flanigan, Nathalie Goemans, Peter Heydemann, Anna Kaminska, Janbernd Kirschner, Francesco Muntoni, Andrés Nascimento Osorio, Ulrike Schara, Thomas Sejersen, Perry B Shieh, H Lee Sweeney, Haluk Topaloglu, Már Tulinius, Juan J Vilchez, Thomas Voit, Brenda Wong, Gary Elfring, Hans Kroger, Xiaohui Luo, Joseph McIntosh, Tuyen Ong, Peter Riebling, Marcio Souza Robert J Spiegel, Stuart W Peltz, Eugenio Mercuri · Clinical Evaluator Training Group; ACT DMD Study Group. Ataluren in patients with nonsense mutation Duchenne muscular dystrophy (ACT DMD): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet* 2017 Sep 23;390(10101):1489-1498. doi: 10.1016/S0140-6736(17)31611-2. Epub 2017 Jul 17

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
Diretoria de Assistência e Promoção à Saúde – SGP 4
Coordenadoria de Assistência à Saúde – SGP 4.2
Rua Bela Cintra, nº 151 – 10º Andar – Sala 182 - Consolação – São Paulo – Capital
CEP 01415-001
Fones: 3258-9084 / 3259-0142

Equipe NAT-Jus/SP