



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE APOIAMENTO TÉCNICO EM AÇÕES DE SAÚDE

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NAT-FEDERAL Nº 1077/2017

Rio de Janeiro, 21 de novembro de 2017.

Processo nº 0209014-08.2017.4.02.5118
ajuizado por

neste ato representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 1ª Vara Federal de Duque de Caxias, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Idursulfase** (Elapraxe®).

I – RELATÓRIO

1. De acordo com o documento médico (fls. 20 e 21) do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira - UFRJ, emitido em 05 de junho de 2017 pela médica o Autor apresenta diagnóstico de **Mucopolissacaridose tipo II (Síndrome de Hunter)**. Em consulta de rotina, aos 4 anos e 7 meses, foram observadas mãos em garra. Na história pregressa foram evidenciadas asma, duas internações (uma por pneumonia e outra por varicela), cirurgia para hérnia inguinal, dificuldade para respirar durante a noite, agressividade, hipoacusia e dor nas mãos (por provável síndrome do túnel do carpo). Ao exame físico apresenta face grosseira (infiltrada), hipertrofia gengival, limitação da movimentação articular, mãos em garra, deformidades ósseas (disostose multiplex) e hepatoesplenomegalia. Apresenta deficiência intelectual e importante atraso na linguagem. O diagnóstico de **Mucopolissacaridose tipo II** foi confirmado em abril de 2017. De acordo com a médica assistente, o Autor tem indicação para iniciar o tratamento de terapia de reposição enzimática com o medicamento **Idursulfase** (Elapraxe®) por via intravenosa, semanalmente. O tratamento deverá se estender por toda a vida do Autor, uma vez que não há condições do organismo voltar a sintetizar a enzima. Sem a terapia de reposição enzimática, a evolução é progressiva chegando ao óbito na primeira ou segunda década de vida. Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **E76.1 – Mucopolissacaridose do tipo II**.

2. Acostado à fl. 22 encontra-se o receituário médico emitido em impresso, data e por profissional supramencionados, indicando o seguinte medicamento ao Autor:

- **Idursulfase** (Elapraxe®) – 01 frasco = 3mL = 6mg de **Idursulfase**.

Administrar 02 frascos de **Idursulfase** (5,2mL) em 100mL de soro fisiológico 0,9% em infusão contínua, intravenosa, de 03 horas de duração, de acordo com o esquema médico. A programação prevista é de 106 frascos para 53 semanas, 53 frascos para seis meses, 26 frascos para três meses. A quantidade de frascos pode mudar com o peso do Autor.



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE APOSSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

II – ANÁLISE

DA LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre as normas para o financiamento da assistência farmacêutica, promovendo a sua organização em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado.
3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, considera, inclusive, as normas de financiamento e de execução dos Componentes Básico e Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
5. A Deliberação CIB-RJ nº 2.661, de 26 de dezembro de 2013 dispõe sobre as normas de financiamento e de execução do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 3º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
6. No tocante ao Município de Belford Roxo, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME 2014 – Belford Roxo.

DA PATOLOGIA

1. As **Mucopolissacaridoses (MPS)** são doenças genéticas raras causadas pela deficiência de enzimas lisossômicas específicas que afetam o catabolismo de glicosaminoglicanos (GAG). O acúmulo de GAG em vários órgãos e tecidos nos pacientes afetados pelas MPS resulta em uma série de sinais e sintomas, integrantes de um quadro clínico multissistêmico. As manifestações mais frequentes das MPS incluem principalmente fácies característica, opacificação da córnea e/ou outros problemas oculares, macroglossia, perda auditiva, hidrocefalia, cardiopatia, problemas respiratórios, hepatoesplenomegalia, hérnia inguinal e umbilical, disostose múltipla, limitação da mobilidade articular e dano cognitivo (em parte dos casos). Devido ao comprometimento de vários órgãos e tecidos, os pacientes com MPS frequentemente necessitam de intervenções cirúrgicas que podem levar a um alto índice de complicações¹.
2. Quanto à classificação, existem seis tipos de MPS. Em particular a **MPS II**, também chamada de **Síndrome de Hunter**, apresenta alteração no cromossomo Xq27-q28, que resulta da deficiência da enzima iduronato-2-sulfatase. Por esta razão, ocorre o aumento na concentração urinária dos glicosaminoglicanos, dermatan sulfato e heparan sulfato. Em relação ao tratamento para MPS, atualmente a maioria dos indivíduos são tratados de forma paliativa, em relação às alterações decorrentes da evolução da doença com atuação de uma equipe interdisciplinar. Todavia, o tratamento eficaz para MPS II é a

¹ Rev Assoc Med Bras 2010; 56(3): 257-77-terapia de reposição enzimática para Mucopolissacaridoses I,II e VI: Recomendações de um grupo de especialistas brasileiros. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?pid=S0104-42302010000300009&script=sci_arttext>. Acesso em: 21 nov. 2017.



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE APOIAMENTO TÉCNICO EM AÇÕES DE SAÚDE

reposição enzimática que substitui a proteína humana para os pacientes graves, aumentando a perspectiva de vida².

DO PLEITO

1. O **Idursulfase** (Elapraxe[®]) é uma forma purificada da iduronato-2-sulfatase, enzima lisossômica que é responsável pela degradação dos glicosaminoglicanos que, na ausência desta enzima, se acumulam progressivamente em vários tipos de células. Este acúmulo resulta em ingurgitamento celular, aumento de alguns órgãos, destruição tecidual e disfunção de alguns órgãos. Está indicado para o tratamento de pacientes portadores da **síndrome de Hunter** (ou **Mucopolissacaridose II / MPS II**) e tem demonstrado melhorar a capacidade de caminhar destes pacientes³.

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Idursulfase** (Elapraxe[®]) **possui indicação clínica, que consta em bula**³ para o tratamento do quadro clínico que acomete ao Autor – **Mucopolissacaridose tipo II (Síndrome de Hunter)**, conforme consta em documento médico (fls. 20 e 21). Entretanto, não se encontra padronizado em nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Belford Roxo e do Estado do Rio de Janeiro.

2. Destaca-se que o medicamento pleiteado **Idursulfase** (Elapraxe[®]) **não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS - CONITEC**⁴ para o tratamento de **Mucopolissacaridose tipo II (Síndrome de Hunter)**, quadro clínico apresentado pelo Autor.

3. Cumpre ressaltar que não existe tratamento curativo para as Mucopolissacaridoses (MPS)⁵. A terapia de reposição enzimática com Idursulfase é uma abordagem para o tratamento da Mucopolissacaridose tipo II (Síndrome de Hunter) e tem ocasionado resultados positivos importantes, com melhora significativa no quadro clínico^{3,5}. Especialistas entendem que o tratamento da **MPS tipo II** com a reposição enzimática deve ser iniciado o mais breve possível; seu uso deve ser considerado para todos os pacientes sintomáticos, de característica heterozigótica, que podem ser beneficiados com a utilização. Estudos mostraram que, em pacientes portadores de **MPS tipo II** tratados com o medicamento supracitado, após oito meses de administração semanal foi observada redução nos níveis de glicosaminoglicanos (GAGs) na urina e redução dos tamanhos do fígado e baço⁶.

4. Nesse sentido o Ministério da Saúde publicou a Portaria GM/MS nº 199 de 30 de janeiro de 2014, que instituiu a **Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas**

² Rev Soc Bras Fonoaudiol. 2011;16(2):221-5 - Estudo prospectivo da deglutição na Mucopolissacaridose II (síndrome de Hunter) antes e após tratamento enzimático Ferreira ACRG, Guedes ZCF. Disponível em: <<http://www.scielo.br/pdf/rsbf/v16n2/18.pdf>>. Acesso em: 21 nov. 2017.

³ Bula do medicamento Idursulfase (Elapraxe[®]) por Shire Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<http://www.anvisa.gov.br/datavisa/visualizar/visualizarBula.asp?pNuTransacao=28133292016&pIdAnexo=4227533>>. Acesso em: 21 nov. 2017.

⁴ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/>>. Acesso em: 21 nov. 2017.

⁵ BOY, R.; SCHWART, I. V. D. As doenças lisossômicas e tratamento das mucopolissacaridoses. Revista Hospital Universitário Pedro Ernesto, v. 10, supl. 2. 2011. Disponível em: <http://revista.hupe.uerj.br/detalhe_artigo.asp?id=107>. Acesso em: 21 nov. 2017.

⁶ GIUGLIANI, R., et al. Guidelines for diagnosis and treatment of Hunter Syndrome for clinicians in Latin America. Genetics and Molecular Biology, v. 37, n. 2, p. 315-329, 2014. Disponível em: <<http://www.scielo.br/pdf/gmb/v37n2/a03v37n2.pdf>>. Acesso em: 21 nov. 2017.



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE APOIAMENTO TÉCNICO EM AÇÕES DE SAÚDE

com **Doenças Raras**, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio. A referida política tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos⁷.

5. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras. Cabe destacar que estão sendo elaborados protocolos (PCDT) para enfermidades como a Doença de Fabry, a **Mucopolissacaridose**, a Doença de Pompe e a Homocistinúria⁸.

6. Em relação à duração do tratamento elucida-se que a **Mucopolissacaridose tipo II (Síndrome de Hunter)** é doença crônica que exige tratamento por tempo indeterminado. Entretanto, **é necessário realizar avaliações médicas periodicamente visando atualizar o quadro clínico e a terapêutica realizada, uma vez que o plano terapêutico pode sofrer alterações.**

7. Ressalta-se que foram observadas reações anafiláticas com risco à vida em alguns pacientes durante a infusão de **Idursulfase 2mg/mL** (Elapraxe[®]). Desta forma, deve haver suporte médico adequado prontamente disponível durante a administração do medicamento, e alguns pacientes podem requerer observação prolongada³.

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Duque de Caxias, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

GABRIELA CARRARA
Farmacêutica
CRF-RJ 21047

JULIANA PEREIRA DE CASTRO
Farmacêutica
CRF- RJ 22.383

**FLAVIA CRUZ VON GLEHN
HERKENHOFF**
Médica
CRM: 5275218-5

MARCELA MACHADO DURAO
Farmacêutica
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ
Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02

⁷ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Gabinete do Ministro. Portaria nº 199 de 30 de janeiro de 2014. Institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprova as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e institui incentivos financeiros de custeio. Disponível em: <http://bvsm.s.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 21 nov. 2017.

⁸ CONITEC. Ministério prioriza novos protocolos clínicos. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/ultimas-noticias-3/16654-conitec-prioriza-novos-protocolos-clinicos>>. Acesso em: 21 nov. 2017.