

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 1446/2025**

Rio de Janeiro, 14 de abril de 2025.

Processo nº 0005321-52.2016.8.19.0001,  
ajuizado por

Em atenção ao despacho judicial, acostado aos autos à folha 3591, o Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde (NATJUS) complementa o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 3063/2024, emitido em 05 de agosto de 2024 (fls. 3518 a 3521), no qual se analisou o quadro clínico do autor, portador de **Doença de Pompe de início tardio** (CID-10: E74.0), com solicitação do medicamento **alfa-alglicosidase 50mg** (Myozyme®).

No referido parecer técnico, foram abordadas de forma detalhada as evidências científicas disponíveis, bem como o posicionamento da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), que avaliou e deliberou pela **não incorporação do medicamento alfa-alglicosidase 50mg** (Myozyme®) **para os casos de Doença de Pompe de início tardio**, justamente em razão da **fragilidade metodológica dos estudos clínicos, baixo nível de confiabilidade das evidências apresentadas e elevado custo do tratamento**, o que contraria os princípios da custo-efetividade que regem a política pública de saúde no âmbito do SUS.

Com base nessas evidências e na ausência de alternativas terapêuticas padronizadas no SUS específicas para a forma tardia da doença, o NATJUS já havia concluído que, apesar de o medicamento possuir registro ativo na ANVISA, **não se encontrava autorizado para fornecimento administrativo para esse tipo de indicação**, conforme os critérios adotados pela CONITEC e estabelecidos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas em vigor.

A Procuradoria do Estado, por sua vez, fundamenta-se na recente decisão do Supremo Tribunal Federal no julgamento do Tema 6, bem como na interpretação complementar do Tema 1234. O STF, de forma expressa, passou a exigir, como condição indispensável para o fornecimento judicial de medicamentos não incorporados às listas do SUS, a apresentação de evidências científicas de alto nível, tais como ensaios clínicos randomizados, revisões sistemáticas ou meta-análises, que demonstrem a eficácia, segurança e imprescindibilidade clínica do fármaco pleiteado.

Nesse sentido, reitera-se que o parecer técnico nº 3063/2024 encontra-se em conformidade com os critérios estabelecidos pelo Supremo Tribunal Federal. A avaliação científica da CONITEC, baseada na medicina fundamentada em evidências, não identificou respaldo clínico robusto que justificasse a incorporação do medicamento para a forma tardia da Doença de Pompe. Assim, **não há evidência de alto nível que permita concluir pela eficácia e segurança do uso do alfa-alglicosidase 50mg** (Myozyme®) **nessa indicação específica**.

**É o parecer.**

**À 1ª Vara de Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**ALINE PEREIRA DA SILVA**  
Farmacêutica  
CRF- RJ 13065  
ID. 4.391.364-4

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