



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 2612/2024.**

Rio de Janeiro, 8 de julho de 2024.

Processo nº 0840395-42.2024.8.19.0038,  
ajuizado por -----,  
representado por -----

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **6ª Vara Cível** da Comarca de Nova Iguaçu do Estado do Rio de Janeiro quanto ao medicamento **idebenona 300mg**.

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com laudo do Instituto Benjamin Constant (Num. 123503456 - Pág. 8), assinado pelo médico ----- em 3 de maio de 2024, o Autor é portador de **neuropatia óptica de Leber** e evolui para **cegueira legal bilateral (CID-10: H54.0)**. Acuidade visual: OD 20/4000 e OE 20/400.
2. Segundo documentos do Instituto de Olhos Fluminense (Num. 123503456 - Págs. 22 e 23), emitidos pelo médico ----- em março/abril de 2024, o Autor tem diagnóstico de **amaurose congênita de Leber (CID10: H47.0)** e encontra-se em tratamento com **idebenona 300mg**, 3 vezes/dia.

**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 a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.
3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente 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 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.



6. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
7. A Portaria Gabinete nº 244/2021 de 28 de dezembro de 2021, da Secretaria Municipal de Saúde da Cidade de Nova Iguaçu, dispõe sobre a instituição da Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME - Nova Iguaçu.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. A **amaurose congênita de Leber** é a designação para um grupo de distrofias retinianas de acometimento precoce, de caráter hereditário, caracterizada por deficiência visual moderada a severa, identificada nos primeiros meses de vida. A acuidade visual quando pode ser avaliada varia de 20/200 a ausência de percepção luminosa, raramente é melhor que 20/200. Na maior parte dos casos a transmissão é de modo autossômico recessivo, apesar de existirem alguns casos descritos com transmissão dominante. Atualmente estão identificados 14 genes cujas mutações se associam a este fenótipo<sup>1</sup>.
2. Durante os primeiros meses de vida os pacientes desenvolvem nistagmo, os reflexos fotomotores frequentemente encontram-se diminuídos ou abolidos, alta hipermetropia, enofthalmia, sendo comum o sinal oculodigital de Franceschetti. Posteriormente podem aparecer catarata e ceratocone<sup>1</sup>.
3. Os achados de fundo de olho nos primeiros meses de vida são normais ou alterações mínimas, dificultando o diagnóstico. O exame de ERG é a chave para estabelecer o diagnóstico<sup>2</sup>, onde se detecta pouca ou nenhuma atividade na retina, indicando baixa função visual. Com o tempo é comum o aparecimento de outras alterações na retina, como atenuação vascular, atrofia nervo óptico (principalmente após primeiro ano), alterações pigmentares tipo espículas ósseas, acometimento macular tipo granular ou colobomatoso, lesões numulares pigmentadas no polo posterior e periferia<sup>1</sup>.
4. Em alguns casos a ACL é relacionada com complicações do sistema nervoso central, tais como atraso do desenvolvimento, epilepsia e deficiência de habilidades motoras. Como a ACL é relativamente rara, a frequência das complicações do sistema nervoso central é ainda desconhecida<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. A **idebenona**, uma benzoquinona de cadeia curta, é um antioxidante considerado como tendo capacidade para transferir elétrons diretamente para o complexo III da cadeia transportadora de elétrons mitocondrial, contornando, desse modo, o complexo I e restaurando a geração de energia 6 celular (ATP) sob condições experimentais de deficiência de complexo I. Da mesma forma, na **neuropatia ótica hereditária de Leber**, a idebenona é capaz de transferir elétrons diretamente para o complexo III da cadeia transportadora de

<sup>1</sup> Araujo SA, Neumann RZ, Monticuco VG, Almeida BR, Cyrino FV. Amaurose congênita de Leber: relato de caso e revisão da literatura. eOftalmo. 2021;7(3):158-63. Disponível em: <<https://eoftalmo.org.br/details/213/pt-BR/amaurose-congenita-de-leber--relato-de-caso-e-revisao-da-literatura>>. Acesso em: 8 jul. 2024.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

eletrões, ignorando assim o complexo I afetado pelas três mutações principais do ADNmt causadoras da LHON, e restaurando a geração celular de ATP<sup>2</sup>.

2. De acordo com este modo de ação bioquímico, a idebenona pode reativar as células ganglionares da retina (CGR) viáveis mas inativas em doentes com LHON. Dependendo do tempo decorrido desde o início dos sintomas e da percentagem de CGR já afetadas, a idebenona pode promover a recuperação da visão em doentes que apresentam perda de visão.

### **III – CONCLUSÃO**

1. Destaca-se que não há medicamentos registrados no Brasil que contenham a substância **idebenona**, conforme consulta no banco de dados da Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA. Portanto, o pleito configura **medicamento importado**.

2. Ressalta-se que o registro de medicamentos é um dos meios estabelecidos pela Política Nacional de Medicamentos através do qual a autoridade sanitária avalia a relevância terapêutica do medicamento, analisa sua segurança e qualidade. Medicamentos ainda sem registro não possuem diretrizes nacionais que orientem seu uso<sup>3</sup>.

3. Está expressamente vedada uma avaliação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC) sobre o uso do medicamento **idebenona 300mg**, tendo em vista que ele não possui registro na ANVISA nem mesmo preço fixado pela CMED, condições *sine qua non* para instrução do processo de análise para incorporação de tecnologias em saúde ao SUS, conforme Decreto nº 7.646/2011, em seu art. 15, §1º, incisos I a VI.

4. Dessa forma, esse medicamento **não integra** uma lista oficial de medicamentos (Componente Básico, Estratégico e Especializado), **não cabendo** seu fornecimento a nenhuma das esferas de gestão do SUS.

5. Considerando que o pleito não está disponível no mercado nacional, devendo ser importado, informa-se que a importação de bens e produtos, incluindo os não registrados no Brasil, é autorizada por meio da RDC nº 208, de 05 de janeiro de 2018<sup>4</sup>. Contudo, a autorização e entrega ao consumo se restringe aos produtos sob vigilância sanitária, que atendam às exigências sanitárias dispostas na referida portaria e legislação sanitária pertinente. Sendo assim, cabe esclarecer que a aquisição de bens e produtos importados sem registro na ANVISA passa por um processo complexo que exige um determinado tempo, devido aos trâmites legais e sanitários exigidos.

6. Salienta-se que, até o momento, não há diretrizes publicadas pelo Ministério da Saúde que orientem sobre o diagnóstico e tratamento da neuropatia óptica hereditária de Leber (LHON). Além disso, não existem medicamentos aprovados no Brasil para o tratamento da LHON.

7. Verifica-se que **idebenona**, na dose de 150mg, encontra-se registrada como medicamento pela *European Medicines Agency* (EMA), sob o nome de Raxone. De acordo

<sup>2</sup> European Medicines Agency. Informações do medicamento idebenona (Raxone) por Santhera Pharmaceuticals. Disponível em: <<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/raxone>>. Acesso em: 8 jul. 2024.

<sup>3</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Política Nacional de Medicamentos, 2001. Disponível em: <[http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica\\_medicamentos.pdf](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/politica_medicamentos.pdf)>. Acesso em: 8 jul. 2024.

<sup>4</sup>BRASIL. Imprensa Nacional. Diário Oficial da União. Resolução RDC Nº 208, de 05 janeiro de 2018. Disponível em: <[https://www.in.gov.br/materia/-/asset\\_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/doi/-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075](https://www.in.gov.br/materia/-/asset_publisher/Kujrw0TZC2Mb/content/id/1652079/doi/-2018-01-08-resolucao-rdc-n-208-de-5-de-janeiro-de-2018-1652075)>. Acesso em: 8 jul. 2024.



com bula, tal medicamento foi aprovado pela agência para o tratamento da deficiência visual em doentes adolescentes e adultos que sofrem de **neuropatia ótica hereditária de Leber** (LHON) – dose recomendada de 900mg/dia (300mg, 3 vezes/dia)<sup>2</sup>.

7. Em 2011, o “Estudo Ambulatorial de Resgate de Doença Óptica Hereditária” (RHODOS) randomizou prospectivamente 85 pacientes com LHON com <5 anos de perda visual para um grupo que recebeu **idebenona 900 mg/dia** ou um placebo, na modalidade duplo-cego. O tratamento durou 24 semanas; foi considerado seguro e bem tolerado. O desfecho primário foi a melhor recuperação da acuidade visual, contudo o estudo não conseguiu demonstrar quaisquer diferenças significativas a este respeito entre o medicamento ativo e o placebo. No entanto, notou-se uma tendência a favor da idebenona quando os autores analisaram alterações na melhor acuidade visual e excluíram pacientes com a mutação 14488, conhecida por uma maior taxa de recuperação espontânea. Dois anos depois, a mesma equipe relatou persistência do efeito do tratamento em 60 dos 85 pacientes incluídos no primeiro estudo. A falta de significância do RHODOS pode estar ligada aos critérios de inclusão. Foram incluídos pacientes com início da doença a partir dos 5 anos. Para alguns deles, a atrofia óptica já havia atingido o seu pico. A probabilidade de uma resposta positiva foi maior entre pacientes com início mais recente da doença<sup>5</sup>.

8. Quanto à solicitação da Defensoria Pública do Estado do Rio de Janeiro (Num. 123503455 - Págs. 21 e 22, item “*DOS PEDIDOS*”, subitem “c”) referente ao provimento de “[...]medicamentos e produtos complementares e acessórios que, no curso da demanda, se façam necessários ao tratamento da moléstia do autor [...]”, cumpre esclarecer que não é recomendado o provimento de novos itens sem laudo que justifique a necessidade dos mesmos, tendo em vista que o uso irracional e indiscriminado de medicamentos e tecnologias pode implicar em risco à saúde.

**É o parecer.**

**À 6ª Vara Cível da Comarca de Nova Iguaçu do Estado do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO**

Farmacêutico  
CRF-RJ 15023  
ID: 50032216

**MILENA BARCELOS DA SILVA**

Farmacêutica  
CRF- RJ 9714  
ID. 4391185-4

**FLÁVIO AFONSO BADARÓ**

Assessor-chefe  
CRF-RJ 10.277  
ID. 436.475-02

<sup>5</sup> HAGE, R. & VIGNAL-CLERMONT, C. Leber Hereditary Optic Neuropathy: Review of Treatment and Management. Front. Neurol., 25 May 2021. Sec. Neuro-Ophthalmology. Volume 12 – 2021. Disponível em: <<https://www.frontiersin.org/journals/neurology/articles/10.3389/fneur.2021.651639/full>>. Acesso em: 8 jul. 2024.