



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS Nº 4131/2025

Rio de Janeiro, 14 de setembro de 2025.

Processo nº: 3013664-30.2025.8.19.0001,
Ajuizado por **L.S.D.S.S.J.**

Trata-se de Autor, 10 anos, com diagnóstico de **distrofia muscular de Duchenne**, confirmada por biópsia muscular e teste genético revisto em 2023 compatível com a duplicação do exón 2 de DMD, em acompanhamento com neuropediatra. (Evento 1, LAUDO6, Página 2). Foi prescrito: **colecalciferol (vitamina D) 1000UI** – 01 gota ao dia; **deflazacorte 30mg** – 01 cp uma vez ao dia, **enalapril 5mg** – 01 comp uma vez ao dia; **espironolactona 25mg** – 01 comprimido 01 vez ao dia e **carbonato de cálcio 500mg** – 01 comprimido ao dia.

Distrofias musculares são doenças geneticamente determinadas, que cursam com fraqueza muscular progressiva, degeneração e atrofia da musculatura esquelética. Sua patogenia é cada vez mais conhecida e sua classificação obedece a critérios como tipo de herança, curso e gravidade da fraqueza muscular, grupo muscular inicialmente envolvido e idade de início das manifestações clínicas. As mais frequentes representantes deste grupo de doenças são a **Distrofia Muscular do tipo Duchenne** e a Distrofia Muscular do tipo Becker¹.

A **distrofia muscular de Duchenne** é uma doença muscular recessiva ligada ao X causada por uma inabilidade para a síntese de distrofina que está envolvida em manter a integridade do sarcolema. As fibras musculares passam por um processo que apresenta degeneração e regeneração. As manifestações clínicas incluem fraqueza proximal nos primeiros anos de vida, pseudohipertrofia, cardiomiopatia, e uma incidência aumentada de prejuízo das funções mentais. A distrofia muscular de Becker é uma afecção proximamente relacionada apresentando um início tardio de doença, normalmente na adolescência, e progressão lenta¹.

Considerando que a **Distrofia Muscular de Duchenne (DMD)** é uma enfermidade de caráter genético, progressivo e sem cura definitiva, as condutas terapêuticas visam primordialmente à **prevenção e ao manejo das complicações musculares, respiratórias e cardíacas**, buscando retardar a perda funcional e a qualidade de vida do paciente. As abordagens farmacológicas devem, portanto, ser individualizadas e baseadas nas melhores evidências clínicas disponíveis². A qualidade de vida do paciente. As abordagens farmacológicas devem, portanto, ser individualizadas e baseadas nas melhores evidências clínicas disponíveis².

A Prednisona e **deflazacorte** têm um efeito benéfico significativo no retardado da progressão da doença. Seu uso na **distrofia muscular de Duchenne** pode prolongar a deambulação e a função dos membros superiores com potência semelhante. Ambos os esteroides

¹ GAVI, M. S. R. O. et al. - Distrofia muscular de Becker. Relato de caso e revisão de literatura. Acta fisiátrica 3(3): 18-23, 1996. Disponível em: <www.revistas.usp.br/actafisiatrica/article/download/102031/100457>. Acesso em: 14 out. 2025.

² CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Monitoramento do horizonte tecnológico. 03/2022. Medicamentos para tratamento da distrofia muscular de Duchenne. Brasília, abril de 2022. Disponível em: <https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/radar/2022/informemht_distrofiamuscularduchene.pdf>. Acesso em 14 out.2025.



também melhoram a função pulmonar, além de retardar a necessidade de intervenções na coluna, com perfis terapêuticos semelhantes³.

A miocardiopatia dilatada é uma das principais complicações da DMD, decorrente da degeneração progressiva do miocárdio pela ausência de distrofina. Nesse contexto, o uso de **inibidores da enzima conversora da angiotensina (ECA)**, como o **enalapril**, e de **antagonistas da aldosterona**, como a **espironolactona**, é amplamente reconhecido como medida de **cardioproteção**. Esses agentes atuam na **redução do remodelamento ventricular, melhora da função sistólica e controle da sobrecarga hemodinâmica**, prevenindo a evolução para insuficiência cardíaca. Dessa forma, a associação de enalapril e espironolactona visa à **preservação da função miocárdica, retardo da progressão da cardiomiopatia e melhor prognóstico cardiovascular**, conforme preconizado nas diretrizes de manejo da DMD^{2,4}.

O uso prolongado de corticosteroides, embora essencial no tratamento da **Distrofia Muscular de Duchenne**, pode reduzir a densidade mineral óssea e aumentar o risco de osteopenia e fraturas. Assim, a suplementação com **colecalciferol (vitamina D)** e **carbonato de cálcio** é recomendada para **prevenir a desmineralização óssea e preservar a integridade esquelética**, contribuindo para mitigar os efeitos adversos do uso crônico de corticosteroides, sobretudo em pacientes com limitação motora progressiva⁵.

Diante das evidências apresentadas, conclui-se que o esquema terapêutico composto por **deflazacorte, enalapril, espironolactona, colecalciferol e carbonato de cálcio** encontra-se indicados ao tratamento do quadro clínico do Autor atuando de forma complementar e sinérgica estabilização do quadro clínico, sendo o **deflazacorte** responsável pela **modulação inflamatória e manutenção da força muscular**, o **enalapril** e a **espironolactona** pela **proteção miocárdica e prevenção de insuficiência cardíaca**, e o **colecalciferol** e o **carbonato de cálcio** pela **preservação da saúde óssea e redução do risco de fraturas**.

Quanto a disponibilização no âmbito do SUS:

- **enalapril 5mg, espironolactona 25mg e carbonato de cálcio 500mg** são estão descritos na Relação Municipal de Medicamentos Essenciais do município do Rio de Janeiro, sendo disponibilizado no âmbito da Atenção Básica. Para ter acesso, a Representante legal do Autor deverá comparecer a uma unidade básica de saúde mais próxima de sua residência, portando receituário atualizado, a fim de obter esclarecimentos acerca da disponibilização destes medicamentos.
- **colecalciferol (vitamina D) 1000UI e deflazacorte 30mg** não integram nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

³ Balaban. B. et al. Tratamento com corticosteroides e melhora funcional na distrofia muscular de Duchenne: efeito a longo prazo. *Am J Phys Med Reabilitação*. Novembro de 2005;84(11):843-50. Disponível em: <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/16244521/>

⁴ Dittrich. S. et al. Efeito e segurança do tratamento com inibidor da ECA enalapril e β-bloqueador metoprolol no início da disfunção ventricular esquerda na distrofia muscular de Duchenne - um ensaio randomizado, duplo-cego e controlado por placebo. *Revista Orphanet de Doenças Raras* volume 14 , Número do artigo: 105 (2019). Disponível em: <https://rdcu.be/eK07D> Acesso em 14 out. 2025

⁵Sousa.J.T.S.D.S and Sousa W.J. Efeitos da corticoterapia em longo prazo nas estruturas ósseas e articulações: revisão integrativa. *Brazilian Journal of Health Review* ISSN: 2525-8761. Disponível em:

<https://ojs.brazilianjournals.com.br/index.php/BJHR/article/download/24956/19899> Acesso em 14 out. 2025.

Sociedade Brasileira de Reumatologia Associação Brasileira de Medicina Física e Reabilitação - Osteoporose Induzida por Glicocorticoide: Prevenção e Tratamento. Disponível em:
https://amb.org.br/files/_BibliotecaAntiga/osteoporose_induzida_por_glicocorticoide.pdf Acesso 14 out.2025.

Acrescenta-se ainda que a **distrofia muscular de Duchenne** (DMD) é uma doença rara. Segundo pesquisas a incidência de **DMD** é de aproximadamente um indivíduo para cada 3.500 meninos nascidos vivos⁶. Assim, cumpre salientar que o Ministério da Saúde instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁷ 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 paliativos.

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 raras⁸. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, as **distrofias musculares constam** dentre as anomalias congênitas. Contudo, reitera-se que não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)⁴ publicado para o manejo da **distrofia muscular de Duchenne**.

Reitera-se que não há cura para a **distrofia muscular de Duchenne**, e as intervenções são baseadas na prevenção e tratamento das complicações. Atualmente, a terapia padrão geralmente é baseada em corticosteroides². A maioria das abordagens terapêuticas atuais trata os sintomas da doença. Os tratamentos incluem medicamentos corticosteroides para retardar a progressão da fraqueza muscular, programas de alongamento e exercícios físicos e o uso de equipamentos, como órteses ou cadeira de rodas, à medida que caminhar se torna mais difícil.

Os medicamentos aqui pleiteados possuem registro ativo na ANVISA.

No que concerne ao valor, no Brasil, para um medicamento ser comercializado é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)⁹.

De acordo com publicação da CMED, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

⁶MORAES, R.M. et al. Intervenções fisioterapêuticas na distrofia muscular de duchenne: revisão de literatura. *Brazilian Journal of Health Review*, Curitiba, v.4, n.2, p. 5182-5194 mar./apr2021. Disponível em: <<https://www.brazilianjournals.com/index.php/BJHR/article/view/26169/20797>>. Acesso em: 14 out. 2025.

⁷BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 14 out. 2025.

⁸CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em:

<https://www.gov.br/conitec/pt-br/mídias/relatórios/2015/relatório_pcdt_doenças_raras_cp_final_142_2015.pdf>. Acesso em: 14 out. 2025

⁹BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos>>. Acesso em: 14 out. 2025.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta à Tabela de Preços CMED¹⁰, para o ICMS 0%, o preço máximo de venda ao governo dos medicamentos pleiteados:

- **Deflazacorte 30mg** com 10 comprimidos – R\$ 71,71
- **enalapril 5mg** com 30 comprimidos – R\$ 12,82
- **espironolactona 25mg** com 30 comprimidos – R\$ 13,94
- **carbonato de cálcio 500mg** com 60 comprimidos – R\$ 54,07

Por fim, conforme prescrição médica acostada aos autos (Evento 1, LAUDO6, Página 1), o custo anual estimado do esquema terapêutico prescrito à parte Autora corresponde à R\$ 2.581,56, segundo a Tabela de Preços CMED⁷, para o ICMS 0%.

É o Parecer

À 7ª Vara da Fazenda Pública da Comarca da Capital do Estado do Rio de Janeiro, o processo supracitado em retorno para ciência.

Elaborado pela equipe técnica do NATJUS-RJ.

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

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

¹⁰ Painel de consulta de preços de medicamentos. Disponível em:<<https://app.powerbi.com/view?r=eyJrIjoiYjZkZjEyM2YtNzNjYS00ZmQyLTliYTEtNDE2MDc4ZmE1NDEyIwidCI6ImI2N2FmMjNmLWMzZjMtNGQzNS04MGM3LWI3MDg1ZjVlZGQ4MSJ9&pageName=ReportSection20c576fb69cd2edaea29>>. Acesso em: 14 out. 2025.