



Ministério da Saúde  
Assessoria Especial de Assuntos Parlamentares e Federativos

OFÍCIO Nº 659/2023/ASPAR/MS

Brasília, 16 de maio de 2023.

A Sua Excelência o Senhor  
**Deputado Federal Luciano Bivar**  
Primeiro-Secretário da Câmara dos Deputados

**Referência:** Requerimento nº 414/2023.

**Assunto:** Informações sobre as Políticas Públicas para o tratamento da Fibrose Cística e avaliação tecnológica do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS.

Senhor Primeiro-Secretário,

1. Cumprimentando-o cordialmente, em atenção ao Ofício 1ªSec/RI/E/nº 61/2023 (0033484858), proveniente da Primeira Secretaria da Câmara dos Deputados, referente ao **Requerimento de Informação nº 414/2023**, de autoria do Senhor Deputado Federal Diego Garcia (REPUBLICANOS/PR), por meio do qual requisita a Senhora Ministra de Estado da Saúde, Nísia Trindade Lima, informações sobre as Políticas Públicas para o tratamento da Fibrose Cística e avaliação tecnológica do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS.

2. Informo que o requerimento foi encaminhado a Secretaria de Atenção Especializada à Saúde, e a Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde para manifestação, dentro de suas respectivas competências.

3. Nesse sentido, a Secretaria de Atenção Especializada à Saúde informa que:

a) **Item 1.** Tendo em vista que a fibrose cística é uma doença que está no teste do pezinho, quantos pacientes foram diagnosticados no Brasil por ano, nos últimos 10 anos?

Até o ano de 2020, data do último registro, existiam 6.112 indivíduos em segmento no país.

b) **Item 2.** Os pacientes acometidos pela Fibrose Cística já possuem algum tipo de teste que permita identificar suas mutações genéticas e especificidades para uso consciente e adequado dos medicamentos moduladores de CFTR?

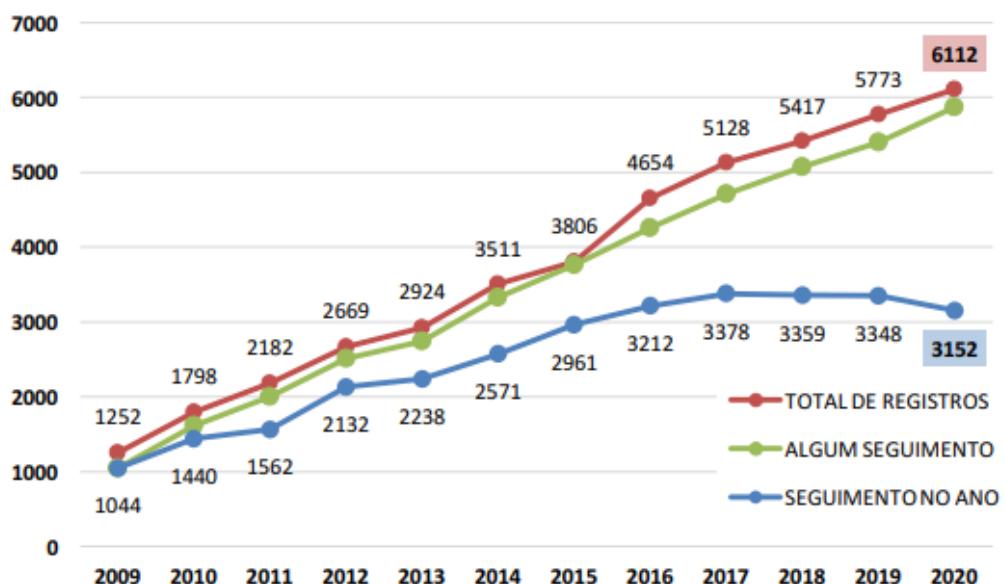
Sim.

c) **Item 3.** Quantos são os pacientes de Fibrose Cística, por

mutação, por ano, dos últimos 10 anos?

Seguem dados para análise com a evolução do número de indivíduos registrados, extraídos do Registro Brasileiro de Fibrose Cística (REBRAFC), de 2020.

**Figura 1.** Evolução do número de registros e seguimentos entre 2009 e 2020.



**Tabela 1:** Distribuição dos indivíduos segundo Região de nascimento.

Região	N	%
SUDESTE	2839	46,4
SUL	1401	22,9
NORDESTE	1060	17,3
CENTRO-OESTE	404	6,6
NORTE	205	3,4
SEM INFORMAÇÃO	189	3,1
ESTRANGEIROS	14	0,2

n=número de indivíduos.

d) **Item 4.** Quantos pacientes tem acesso hoje, via Sistema Único de Saúde – SUS, ao medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta®) na forma de judicialização?

O Departamento de Gestão das Demandas em Judicialização na Saúde - DJUD/SE/MS, informa que, atualmente há 249 processos judiciais com decisões favoráveis recebendo a medicação elexacaftor + tezacaftor + ivacaftor (Trikafta®) pela União.

e) **Item 5.** Encontra-se em trâmite para avaliação da CONITEC o processo de incorporação tecnológica do medicamento modulador de CFTR elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta®) no SUS. Como está o andamento do processo? Quais as fases pendentes para avaliação desse medicamento no sistema público?

Em 2022, a Conitec analisou, a pedido do fabricante da associação medicamentosa tezacaftor + ivacaftor, a solicitação de incorporação deste medicamento para o tratamento de pacientes com FC com 12 anos de idade ou mais com mutação F508del do gene CFTR em homozigose ou com mutação F508del e uma das seguintes mutações: P67L, D110H, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G, e 3849+10kbC→T.

De acordo com o Relatório de Recomendação nº 728, de maio/2022, os

membros da Conitec, consideraram que "há fragilidade na evidência científica apresentada e elevado impacto orçamentário". O relatório técnico com a recomendação da Comissão foi encaminhado ao Secretário da SCTIE/MS, que o acatou e publicou a Portaria SCTIE/MS nº 50 de 31 de maio de 2022, que tornou pública a decisão de não incorporar o tezacaftor + ivacaftor para o tratamento proposto.

f) **Item 6.** Por tratar-se de uma doença rara, de alto impacto social e diante dos recentes avanços do Ministério da Saúde para atualização das políticas públicas de saúde para Fibrose Cística no SUS, entre elas: (a) incorporação de Colistimato Sódico, (b) ivacaftor (kalydeco©), (c) teste de elastase pancreática fecal, (d) fisioterapia com dispositivo individual de pressão expiratória positiva PEP/PAP, entre outros. Requeiro informações detalhadas sobre as premissas técnicas necessárias para avaliação e provável incorporação do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS?

Para que uma tecnologia em saúde seja fornecida pela rede pública, é necessário, via de regra: i) registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa); ii) preço regulado pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), no caso de medicamentos; iii) que ela seja analisada pela Conitec; e iv) que o Secretário de Ciência, Tecnologia, Inovação e Insumos Estratégicos em Saúde do Ministério da Saúde (SCTIE/MS) decida pela incorporação, conforme dispõem a Lei nº 8.080/1990, o Decreto nº 7.646/2011<sup>1</sup> e o Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017.

Para que a Comissão possa analisar determinada tecnologia em saúde e emitir um Relatório de Recomendação ao Ministério da Saúde, é *conditio sine qua non* o registro da mesma junto à Anvisa, a regulação de preço junto à CMED, no caso de medicamentos, e, ainda, evidência científica que demonstre que a tecnologia pautada é, no mínimo, tão eficaz e segura quanto aquelas disponíveis no SUS para determinada indicação, consoante determina o art. 15, §1º, do Decreto nº 7.646/2011.

Desde que apresentem as exigências legalmente impostas pelo Decreto nº 7.646/2011, qualquer pessoa física ou jurídica, seja paciente, profissional de saúde, sociedade de especialidade ou empresa (fabricante do medicamento ou não), pode solicitar a análise para incorporação da tecnologia em saúde à Conitec.

O processo de incorporação de tecnologias é iniciado através de solicitação que deverá ser protocolada pelo interessado na Secretaria-Executiva (SE) da Conitec. O solicitante deve apresentar os documentos relacionados no Decreto nº 7.646/2011 e no Anexo XVI da Portaria de Consolidação GM/MS nº 1/2017. Ao receber o pedido, a SE/Conitec analisa os estudos apresentados e, se necessário, solicita estudos e pesquisas complementares para elaboração de relatório técnico a ser apresentado à Comissão.

Os Relatórios de Recomendação levam em consideração as evidências científicas sobre a eficácia, a acurácia, a efetividade e a segurança do medicamento, produto ou procedimento objeto do processo, acatadas pelo órgão competente para o registro ou a autorização de uso; a avaliação econômica comparativa dos benefícios e dos custos em relação às tecnologias já incorporadas, inclusive no que se refere aos atendimentos domiciliar, ambulatorial ou hospitalar, quando cabível; e o impacto da incorporação da tecnologia no SUS, conforme art. 18, do Decreto nº 7.646/2011.

Em seguida, o Comitê, que realiza reuniões mensais para avaliar as tecnologias em saúde, analisa o relatório e faz uma recomendação inicial que é submetida à Consulta Pública (CP) por 20 dias. Excepcionalmente, esse prazo pode ser reduzido para 10 dias em situações de urgência. Findo o prazo, o Plenário avalia as contribuições recebidas da sociedade durante a CP e emite parecer conclusivo. A decisão final é dada pelo Secretário da Secretaria de Ciência, Tecnologia, Inovação e Complexo da Saúde (SECTICS/MS) e pode ser precedida por audiência pública, se a relevância da matéria justificar o evento. Ao final, publica-se a decisão no Diário Oficial da União.

O processo administrativo de incorporação será concluído em prazo não superior a 180 dias, contado da data em que foi protocolado o pedido, admitida a sua prorrogação por 90 dias corridos, quando as circunstâncias

exigirem. As áreas técnicas têm o prazo de até 180 dias, após a portaria de incorporação, para efetivar a oferta no SUS".

**g) Item 7.** Os novos modelos para avaliação de tecnologia em saúde e risco compartilhado já são uma realidade no SUS. Ressalta-se neste contexto a recente incorporação do medicamento Zolgensma® para o tratamento da AME. Diante desta nova realidade e/ou necessidade para o tratamento das Doenças Raras, requeiro informações detalhadas sobre as atuais tratativas ou avaliações do Ministério da Saúde para aplicar novos modelos de gerenciamento de risco compartilhado para o medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta®) no SUS?

O Ministério da Saúde publicou, por meio da Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 25, de 27 de dezembro de 2021, a atualização do Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da FC.

O documento contém o conceito geral da FC, critérios de diagnóstico, critérios de inclusão e de exclusão, tratamento e mecanismos de regulação, controle e avaliação. É de caráter nacional e deve ser utilizado pelas Secretarias de Saúde dos Estados, do Distrito Federal e dos Municípios na regulação do acesso assistencial, autorização, registro e resarcimento dos procedimentos correspondentes.

O protocolo preconiza atualmente os seguintes medicamentos para tratamento da FC:

1. Alfadornase: ampolas de 2,5 mg em 2,5 mL de solução.
2. Ivacaftor: comprimidos revestidos de 150 mg.
3. Pancreatina: cápsulas com 10.000 e 25.000 UI de lipase presente na formulação.
4. Tobramicina: ampolas de 300 mg/5 mL e 300 mg/4 mL de solução para inalação.

Cabe destacar que o PCDT está em fase de atualização após decisões de incorporação/ampliação de uso das tecnologias:

1. teste de elastase pancreática fecal para pacientes com dúvida diagnóstica de insuficiência pancreática exócrina em pacientes com FC, conforme a Portaria SCTIE/MS nº 26, de 16/03/2022;
2. colistimato sódico para pacientes com manifestações pulmonares de FC com infecção por *Pseudomonas aeruginosa*, conforme Portaria SCTIE/MS nº 29, de 31/03/2022;
3. dispositivo individual de pressão expiratória positiva do tipo máscara - PEP/pressão expiratória nas vias aéreas - EPAP para o tratamento da FP, conforme Portaria SCTIE/MS nº 28, de 31/03/2022; e
4. procedimento ventilação mecânica não invasiva domiciliar para o tratamento de pacientes com FP associada a insuficiência respiratória avançada, conforme Portaria SCTIE/MS nº 31, de 31/03/2022 (ampliação de uso).

**h) Item 8.** Caso positivo, quais são as possibilidades, cenários e desfechos aplicáveis para este mercado específico da Fibrose Cística?

A Agência canadense, CADTH (Canadian Agency for Drugs Technologies in Health ) considerou que para a primeira renovação de reembolso do tratamento o médico assistente deveria providenciar a prova de pelo menos um dos seguintes critérios após 6 meses de tratamento com a medicação:

1. melhora da função pulmonar demonstrada pelo PFEV1% em pelo menos 5% do predito ou mais relativo à linha de base do paciente, tendo em vista que a espirometria deverá ser analisada a cada 3 meses.
2. redução do número total de dias em que o paciente recebe antibioticoterapia oral ou endovenosa, comparado com o período de 6 meses antes do início do tratamento
3. redução do número de hospitalizações relacionadas à doença de base, quando comparado com os 6 meses anteriores ao início da terapia

4. nenhum declínio no índice de massa corporal depois de 6 meses de uso da medicação quando comparado aos 6 meses anteriores ao início do tratamento.
5. melhora de pelo menos 5 pontos no questionário de qualidade de vida relacionado a fibrose cística CFQ-R.

4. Sem mais para o momento, este Ministério permanece à disposição para eventuais esclarecimentos que se façam necessários.

Atenciosamente,

**NÍSIA TRINDADE LIMA**

Ministra de Estado da Saúde



Documento assinado eletronicamente por **Nísia Verônica Trindade Lima, Ministra de Estado da Saúde**, em 06/06/2023, às 17:23, conforme horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º, do art. 4º, do [Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020](#); e art. 8º, da [Portaria nº 900 de 31 de Março de 2017](#).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site [http://sei.saude.gov.br/sei/controlador\\_externo.php?acao=documento\\_conferir&id\\_orgao\\_acesso\\_externo=0](http://sei.saude.gov.br/sei/controlador_externo.php?acao=documento_conferir&id_orgao_acesso_externo=0), informando o código verificador **0033579792** e o código CRC **27B79560**.

---

**Referência:** Processo nº 25000.034605/2023-20

SEI nº 0033579792



CÂMARA DOS DEPUTADOS  
Primeira-Secretaria

Ofício 1<sup>a</sup>Sec/RI/E/nº 61

Brasília, 28 de março de 2023.

A Sua Excelência a Senhora  
**NÍSIA VERÔNICA TRINDADE LIMA**  
Ministra de Estado da Saúde

Assunto: **Requerimento de Informação**

Senhora Ministra,

Nos termos do art. 50, § 2º, da Constituição Federal, encaminho a Vossa Excelência cópia(s) do(s) seguinte(s) Requerimento(s) de Informação:

PROPOSIÇÃO	AUTOR
Requerimento de Informação nº 354/2023	Deputado Duarte
Requerimento de Informação nº 358/2023	Deputado Zé Vitor
Requerimento de Informação nº 360/2023	Deputado Tadeu Veneri
Requerimento de Informação nº 362/2023	Deputada Julia Zanatta e outros
Requerimento de Informação nº 368/2023	Deputado Pastor Henrique Vieira e outros
Requerimento de Informação nº 378/2023	Deputado Nikolas Ferreira
Requerimento de Informação nº 382/2023	Deputado Nikolas Ferreira
Requerimento de Informação nº 398/2023	Deputado Junio Amaral
Requerimento de Informação nº 410/2023	Deputado Capitão Alberto Neto
Requerimento de Informação nº 413/2023	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 414/2023	Deputado Diego Garcia
Requerimento de Informação nº 439/2023	Deputado Jefferson Campos
Requerimento de Informação nº 449/2023	Deputado Dr. Jaziel
Requerimento de Informação nº 451/2023	Deputada Chris Tonietto

Por oportuno, solicito, na eventualidade de a informação requerida ser de natureza sigilosa, seja enviada também cópia da decisão de classificação proferida pela autoridade competente, ou termo equivalente, contendo todos os elementos elencados no art. 28 da Lei nº 12.527/2011 (Lei de Acesso à Informação), ou, caso se trate de outras hipóteses legais de sigilo, seja mencionado expressamente o dispositivo legal que fundamenta o sigilo. Em qualquer caso, solicito ainda que os documentos sigilosos estejam

**- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.**

/DFO





CÂMARA DOS DEPUTADOS  
Primeira-Secretaria

Ofício 1<sup>a</sup>Sec/RI/E/nº 61

Brasília, 28 de março de 2023.

acondicionados em invólucro lacrado e rubricado, com indicação ostensiva do grau ou espécie de sigilo.

Atenciosamente,

**Deputado LUCIANO BIVAR**  
Primeiro-Secretário

**- NOTA: os Requerimentos de Informação, quando de autorias diferentes, devem ser respondidos separadamente.**

/DFO



Documento assinado por: Dep. LUCIANO BIVAR

Selo digital de segurança: 2023-EPFX-GYYM-CNEU-YGVQ

Ofício 1sec-RI-E-61 (0033484858)

SEI 25000.034605/2023-20 / pg. 7

**REQUERIMENTO DE INFORMAÇÃO N° , DE 2023  
(Do Sr. DIEGO GARCIA)**

Solicita à Excelentíssima Sra. Ministra da Saúde, informações a respeito das Políticas Públicas para o tratamento da Fibrose Cística e avaliação tecnológica do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS

Senhor Presidente:

Requeiro à Vossa Excelência, nos termos do art. 50, §2º da Constituição Federal, e dos arts. 115 e 116 do Regimento Interno da Câmara dos Deputados, que seja encaminhado à Excelentíssima Sra. Ministra de Estado da Saúde sobre a atualização das políticas públicas de saúde e outras informações a respeito de fibrose cística no SUS:

1. Tendo em vista que a fibrose cística é uma doença que está no teste do pezinho, quantos pacientes foram diagnosticados no Brasil por ano, nos últimos 10 anos?
2. Os pacientes acometidos pela Fibrose Cística já possuem algum tipo de teste que permita identificar suas mutações genéticas e especificidades para uso consciente e adequado dos medicamentos moduladores de CFTR?
3. Quantos são os pacientes de Fibrose Cística, por mutação, por ano, dos últimos 10 anos?
4. Quantos pacientes tem acesso hoje, via Sistema Único de Saúde – SUS, ao medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) na forma de judicialização?
5. Encontra-se em trâmite para avaliação da CONITEC o processo de incorporação tecnológica do medicamento modulador de CFTR elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS. Como está o andamento



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Diego Garcia

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD235851719100>

Requerimento de Informação 414/2023 - Câmara dos Deputados (0032398118)

SEI 25000.034605/2023-20 / pg. 8

- do processo? Quais as fases pendentes para avaliação desse medicamento no sistema público?
6. Por tratar-se de uma doença rara, de alto impacto social e diante dos recentes avanços do Ministério da Saúde para atualização das políticas públicas de saúde para Fibrose Cística no SUS, entre elas: (a) incorporação de Colistimetato Sódico, (b) ivacaftor (kalydeco©), (c) teste de elastase pancreática fecal, (d) fisioterapia com dispositivo individual de pressão expiratória positiva PEP/PAP, entre outros. Requeiro informações detalhadas sobre as premissas técnicas necessárias para avaliação e provável incorporação do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS?
  7. Os novos modelos para avaliação de tecnologia em saúde e risco compartilhado já são uma realidade no SUS. Ressalta-se neste contexto a recente incorporação do medicamento Zolgensma© para o tratamento da AME. Diante desta nova realidade e/ou necessidade para o tratamento das Doenças Raras, requeiro informações detalhadas sobre as atuais tratativas ou avaliações do Ministério da Saúde para aplicar novos modelos de gerenciamento de risco compartilhado para o medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©) no SUS?
  8. Caso positivo, quais são as possibilidades, cenários e desfechos aplicáveis para este mercado específico da Fibrose Cística?

## JUSTIFICATIVA

A fibrose cística é uma doença genética rara que afeta principalmente as vias respiratórias, o pâncreas e o sistema digestivo. Até recentemente, a expectativa de vida de uma pessoa com fibrose cística no Brasil era bastante reduzida, devido à falta de tratamentos eficazes. No entanto, nas últimas décadas, houve avanços significativos no tratamento da fibrose cística, o que tem melhorado muito a qualidade de vida e a sobrevida dos pacientes.

Entre os avanços terapêuticos mais importantes para a fibrose cística no Brasil, destacam-se:



1 – Terapias modificadoras da doença: são medicamentos que agem diretamente na causa da fibrose cística, corrigindo o defeito genético responsável pela produção de muco espesso e viscoso nas vias respiratórias, chamados de moduladores de CFTR. Alguns exemplos de terapias modificadoras da doença incluem: (a) ivacaftor (Kalydeco©), incorporado em 2021 no SUS, (b) lumacaftor/ivacaftor (Orkambi©) (c) tezacaftor/ivacaftor (Symdeko©), ambos negados acesso no SUS e (d) elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©), em trâmite para avaliação na CONITEC.

2 - Fisioterapia respiratória: é uma técnica que ajuda a desobstruir as vias respiratórias e a melhorar a função pulmonar dos pacientes com fibrose cística. A fisioterapia respiratória pode ser feita com o uso de dispositivos como o flutter, o acapella e o pep.

3 - Transplante de órgãos: em casos mais avançados de fibrose cística, pode ser necessário realizar transplantes de pulmão, fígado ou pâncreas. O transplante de pulmão é especialmente importante para pacientes com fibrose cística que apresentam insuficiência respiratória grave.

4 - Nutrição adequada: pacientes com fibrose cística têm maior dificuldade para absorver nutrientes e podem ter deficiências nutricionais importantes. Uma dieta adequada e suplementos nutricionais são fundamentais para garantir o crescimento e desenvolvimento adequados dos pacientes.

Em resumo, embora a fibrose cística seja uma doença rara e grave, os avanços terapêuticos recentes têm melhorado muito a qualidade de vida e a sobrevida dos pacientes no Brasil. É importante que os pacientes com fibrose cística recebam um tratamento multidisciplinar, com acompanhamento médico, fisioterapia respiratória, nutrição adequada e, se necessário, transplante de órgãos, assim a incorporação do medicamento elexacaftor+tezacaftor+ivacaftor (Trikafta©), representará um significativo avanço e redução do impacto social causado pela fibrose cística no SUS.



Sala das Sessões, em de de 2023.

Deputado DIEGO GARCIA



\* C D 2 3 5 8 5 1 7 1 9 1 0 0 \*



Assinado eletronicamente pelo(a) Dep. Diego Garcia

Para verificar a assinatura, acesse <https://infoleg-autenticidade-assinatura.camara.leg.br/CD235851719100>

Requerimento de informação 414/2023 - Câmara dos Deputados (0032398118)

SEI 25000.034605/2023-20 / pg. 11