

**VOTO Nº 231/2024/SEI/DIRE2/ANVISA**

Processo nº 25351.803168/2024-04

Expediente nº 1435415/24-8

Analisa pedido de excepcionalidade - Importação de Trikafta® e Kalydeco® em embalagens de destinação governamental do Ministério da Saúde

Área responsável: GGMED/DIRE 2

Relator: Meiruze Sousa Freitas

**1. Relatório**

Trata-se de solicitação de excepcionalidade realizada pela empresa Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda, para realizar importações dos medicamentos, Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor), e Kalydeco® (ivacaftor) ® por Secretarias Estaduais e Municipais de Saúde, bem como pelas fundações ("Unidades de Saúde") possam ser realizadas com a embalagem de destinação governamental do Ministério da Saúde, prevista na RDC 768/2022.

Conforme relatado pela empresa, o presente pedido de excepcionalidade decorre de dificuldades enfrentadas pelas Unidades de Saúde na aquisição de Trikafta® e Kalydeco® para cumprimento de demandas judiciais.

A Vertex também declara que não realiza a comercialização direta do Trikafta® e Kalydeco®, sendo a Multicare a empresa responsável pela comercialização e distribuição dos medicamentos no Brasil, realizando o fornecimento a entes governamentais interessados.

Nesse modelo de venda por demanda específica, a Multicare é a única parceira que atende o mercado brasileiro, responsável pela representação e controle da cadeia logística para assegurar que o Trikafta® e Kalydeco®

A empresa Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda, por meio do documento (SEI 2956109), apresentou e ponderou condizente ao destacado a seguir:

I - a empresa é a única detentora de registros sanitários do Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) e Kalydeco® (ivacaftor) perante a Anvisa;

II - a demanda judicial de Trikafta® e Kalydeco® tem caráter de imprevisibilidade e tende a diminuir/ser substituída pela demanda via SUS, dado que Kalydeco® já está disponível no SUS e Trikafta® se estimava estar disponível a partir de maio de 2024;

III - o Trikafta® e Kalydeco® para atender a essas demandas são importadas com destinação direta ao paciente;

IV - os importadores são as Secretarias, que o fazem diretamente para atendimento de demanda judicial, sem qualquer destinação comercial;

V - os pacientes que são atendidos via demanda judicial, geralmente, estão com a saúde debilitada e não podem atrasar seu tratamento; e

VI - apesar da incorporação do Trikafta® e Kalydeco® no SUS, ainda existem pacientes que se valem de ações judiciais, fato não controlado pela empresa, mas que não reduz a necessidade de acesso imediato.

A empresa também pontuou:

VII - Por se tratar de medicamentos incorporados ao SUS, as embalagens em português já existem nas plantas de fabricação, com as características específicas das embalagens destinadas ao SUS;

VIII - A embalagem do Ministério da Saúde contempla todas as informações exigidas pela regulamentação brasileira, portanto seu uso não apresenta qualquer risco sanitário ao paciente;

IX - Trata-se, da mesma forma, de medicamentos adquiridos por órgãos governamentais e fundações sem fins lucrativos, sem qualquer finalidade comercial;

X - Todas as informações estão em português, o que permite o pleno entendimento pelos pacientes;

XI - O prazo de 24 meses guarda relação com a previsão da gradual incorporação da demanda do Trikafta® e Kalydeco® via SUS, informada acima. Em outras palavras, apesar de incorporados, o processo de transição dos pacientes ao SUS que recebem medicamentos via judicialização é gradual, sendo razoável estimar que não ocorra de forma centralizada e uniforme, diante da fragmentação das demandas judiciais por estados e entre justiça estadual e federal;

XII - Trikafta® e Kalydeco® são indicados para doença grave e debilitante, sendo prejudicial aos pacientes o atraso no acesso; e

XIII - Trikafta® e Kalydeco® a serem importados serão idênticos aos registrados pela Anvisa.

Sobre os medicamentos Trikafta® e Kalydeco®, a empresa esclareceu:

Medicamentos	Registro	Incorporação SUS	Distribuição SUS	Embalagem disponível
Kalydeco® Comprimidos revestidos	03/09/2018	08/12/2020	Início em 08/06/2022	Embalagem do Ministério da Saúde, de acordo com a RDC 71/2009 e em adequação para a RDC 768/2023. Demanda advinda de mercado público.
Trikafta® Comprimidos revestidos	02/03/2022	03/08/2023	Início previsto para maio/2024	Embalagem do Ministério da Saúde de acordo com a RDC 71/2009 e em adequação para a RDC 768/2023. Demanda advinda de mercado público. Não há embalagem comercial para mercado privado devido à falta de demanda.

Neste contexto, a empresa, solicita a DICOL a concessão de excepcionalidade, pelo prazo de 24 meses, para que as importações do Trikafta® e Kalydeco® pelas Unidades de Saúde, em cumprimento de demandas judiciais, sejam feitas com a embalagem de destinação governamental, na forma da RDC 768/2022.

Sendo este o relatório, siga para análise.

## 2. Análise

É importante destacar que, tanto o Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) quanto o Kalydeco® (ivacaftor) são medicamentos específicos para o tratamento da fibrose cística (FC), uma doença genética rara que afeta principalmente os pulmões e o sistema digestivo.

O Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) é indicado para o tratamento da fibrose cística em pacientes acima dos 6 anos de idade e que tenham pelo menos uma mutação F508del no gene CFTR. Esse medicamento atua como uma terapia tripla, combinando um modulador de correção (elexacaftor e tezacaftor) e um potenciador (ivacaftor), visando melhorar a função da proteína CFTR. Dessa maneira, promovendo a sua expressão e funcionalidade nas células.<sup>[1]</sup>

O Kalydeco® (ivacaftor) é indicado para tratamento de fibrose cística (FC) em pacientes acima de 6 anos de idade, pesando 25 kg ou mais e que apresentem uma das seguintes mutações de gating (classe III) no gene regulador da condutância transmembrana da fibrose cística (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R. KALYDECO® também é indicado para o tratamento de FC em pacientes acima de 18 anos de idade e que apresentem uma mutação R117H, que possui defeitos de gating e condutância. <sup>[2]</sup> e <sup>[3]</sup>

A fibrose cística, também conhecida como mucoviscidose, tem causa genética e caráter crônico. É uma doença rara que afeta principalmente os pulmões e o sistema digestivo. Ela é causada por uma mutação no gene CFTR (Cystic Fibrosis Transmembrane Conductance Regulator), responsável pela produção de uma proteína que regula o transporte de cloro e sódio nas células. Essa mutação faz com que seja produzida uma proteína defeituosa, o que leva à produção de muco muito mais espesso que o normal. Esse muco denso se acumula nas vias respiratórias, facilitando infecções e inflamações recorrentes, como pneumonia e bronquite, além de causar danos aos pulmões a longo prazo.

No sistema digestivo, o muco espesso pode bloquear o pâncreas, impedindo a liberação de enzimas digestivas necessárias para a absorção adequada de nutrientes. Isso compromete o desenvolvimento e a saúde geral da pessoa, resultando em problemas de crescimento e nutrição, especialmente na infância. A FC é uma doença que gera uma falha sistemática em vários órgãos e regiões distintas do corpo. <sup>[4]</sup>

Esse quadro torna crucial a disponibilidade de tratamentos eficazes que possam mitigar os danos causados pela doença. Especialmente, quando se trata de terapias medicamentosas, como o Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) e o Kalydeco® (ivacaftor). Esses medicamentos atuam diretamente nas causas subjacentes da fibrose cística, melhorando a função da proteína CFTR defeituosa e, consequentemente, a qualidade de vida dos pacientes.

Dado o impacto da fibrose cística e a progressão sistêmica da doença, garantir o acesso a esse tipo de medicamento é essencial, uma vez que, com o tratamento adequado, muitos pacientes podem experimentar melhorias significativas em sua qualidade de vida, além de um potencial redução na necessidade de intervenções mais invasivas, como o transplante de pulmão.

Por conseguinte, favorecer o acesso deve ser a prioridade central desta discussão, especialmente no contexto de demandas judiciais, em que o Estado tem a obrigação de assegurar que os pacientes recebam o tratamento adequado. Isso envolve não apenas o fornecimento eficiente dos medicamentos, mas, também, o cumprimento dos requisitos regulatórios, garantindo que a população receba medicamentos seguros e eficazes, essenciais para a sua sobrevivência e qualidade de vida.

A situação se torna ainda mais peculiar ao considerar que as Secretarias de Saúde farão a aquisição desses medicamentos para atendimento de demandas judiciais, sem qualquer finalidade comercial. Isso significa que os medicamentos, como Trikafta® e Kalydeco®, serão exclusivamente destinados aos pacientes que dependem dessas terapias para o controle da fibrose cística, uma doença que afeta gravemente múltiplos sistemas do corpo.

Muitos desses pacientes já podem estar em condições de saúde debilitadas e dependem da continuidade ininterrupta do tratamento. Qualquer atraso na importação ou na distribuição dos medicamentos pode agravar significativamente o quadro clínico, levando a complicações como infecções pulmonares graves, falência de órgãos e outras consequências irreversíveis.

Nesse contexto, é importante considerar que as Secretarias de Saúde são parte integrante do Sistema Único de Saúde (SUS) e possuem papel essencial na política de acesso a medicamentos. Mesmo quando a aquisição de medicamentos, como Trikafta® e Kalydeco®, ocorre em resposta a demandas judiciais, as Secretarias de Saúde têm a responsabilidade de garantir que esses tratamentos cheguem de forma eficiente aos pacientes.

O Kalydeco, que contém o princípio ativo ivacaftor, é um importante medicamento incorporado ao Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento de pacientes com fibrose cística. A incorporação desse medicamento foi formalizada por meio da Portaria SCTIE/MS nº 68, de 31 de dezembro de 2020. [5]

A inclusão do Trikafta no SUS ocorreu em setembro de 2023 e representa um passo significativo na luta contra a fibrose cística, oferecendo esperança e novas perspectivas de tratamento para os pacientes. Essa decisão não só melhora a saúde dos indivíduos afetados pela doença, mas também demonstra o compromisso do sistema de saúde brasileiro em proporcionar acesso a medicamentos que podem transformar vidas. A introdução do Trikafta tem o potencial de estabilizar a função pulmonar e, em alguns casos, permitindo a diminuição da necessidade de transplante de pulmão, que é um procedimento complexo e arriscado. [6]

Embora o Trikafta® e o Kalydeco® tenham sido incorporados ao Sistema Único de Saúde (SUS), ainda há pacientes que recorrem a ações judiciais para garantir o acesso a esses medicamentos. Esse fato decorre de diversos fatores, como a urgência do tratamento, o estado crítico de saúde dos pacientes, ou a inadequação ou demora nos canais regulares de fornecimento pelo SUS.

É importante destacar que a judicialização, apesar de ser uma ferramenta para garantir o direito à saúde, reflete algumas lacunas no sistema de distribuição e acesso. Neste contexto, a priorização desse processo, sem entraves e atrasos desnecessários, é fundamental para proteger a vida e a saúde desses pacientes, que já enfrentam um quadro de vulnerabilidade. Portanto, a discussão sobre essa excepcionalidade deve considerar o acesso ao tratamento e o cenário de urgência e a responsabilidade de atender às decisões judiciais de forma eficiente.

A Coordenação de Bula, Rotulagem, Registro Simplificado e Nome Comercial (CBRES), por meio da Nota Técnica nº 47/2024/SEI/CBRES/GGMED/DIRE2/ANVISA, fez uma avaliação sobre o pleito relacionado ao medicamento Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor). Nessa avaliação, a CBRES destacou as apresentações aprovadas do medicamento, ambas com destinação institucional, ou seja, voltadas ao uso em instituições de saúde.

As apresentações aprovadas para o Trikafta®, comprimido revestido, são:

1. (50 + 25 + 37,5) mg + 75 mg, em cartelas de blister de alumínio (AL), plastificado com PVC/PCTFE transparente, contendo:

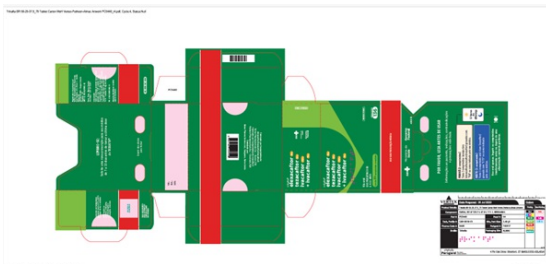
56 comprimidos + 28 comprimidos.

2. (100 + 50 + 75) mg + 150 mg, também em cartelas de blister de alumínio, plastificado com PVC/PCTFE transparente, contendo:

56 comprimidos + 28 comprimidos.

Além disso, a empresa tem uma embalagem aprovada destinada especificamente ao Ministério da Saúde, conforme os padrões estabelecidos pela RDC nº 71, de 2009, que regulamenta as normas de rotulagem e embalagem de medicamentos. Essa embalagem segue os requisitos para a entrega em programas governamentais de saúde, como o fornecimento de medicamentos via SUS, garantindo que estejam em conformidade com as normas de segurança e rastreabilidade.

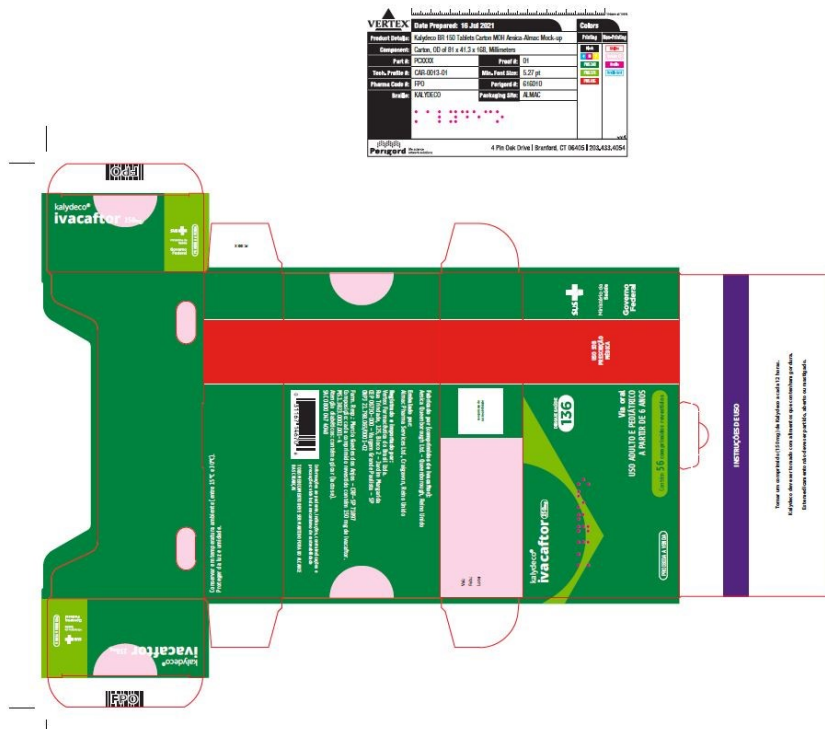
O layout da embalagem proposto pela empresa foi submetido à avaliação da CBRES e cumpriu os requisitos técnicos e regulatórios, conforme layout proposto abaixo:



O Kalydeco® 150mg, comprimido revestido, possui a seguinte apresentação aprovada, com destinação comercial:

1. 150 MG COM REV CT BL AL PLAS PVC/PCTFE TRANS X 56

A empresa também possui aprovada a embalagem destinada ao Ministério da Saúde no padrão da RDC nº 71, de 2009, com o layout proposto abaixo:



A área técnica pontuou que a RDC nº 71, de 2009 foi substituída pela RDC nº 768, de 2022, o que trouxe novas definições e ajustes para a regulamentação de rotulagem e embalagens de medicamentos. Com essa atualização, houve uma inclusão importante na definição de "destinação governamental", que agora contempla os medicamentos utilizados no Sistema Único de Saúde (SUS) de forma mais abrangente.

A nova definição para "destinação governamental", conforme a RDC nº 768, de 2022, passou a ser a seguinte:

*IV - destinação governamental: medicamentos destinados para dispensação no Sistema Único de Saúde (SUS), dedicados a ações e/ou programas do Ministério da Saúde e outros adquiridos no âmbito do SUS por estados e municípios, sendo que apenas os primeiros (aqueles adquiridos pelo Ministério da Saúde) contarão obrigatoriamente com as marcas governamentais próprias do Ministério. (grifo nosso)"*

Essa inclusão, esclarece que:

- Medicamentos adquiridos diretamente pelo Ministério da Saúde, para ações ou programas nacionais, devem seguir as normas específicas de embalagens com marcas governamentais próprias do Ministério.
- Já os medicamentos adquiridos por estados e municípios no âmbito do SUS não têm essa obrigatoriedade de seguir a marcação específica, mesmo que ainda estejam dentro do contexto de destinação governamental para uso no SUS.

Portanto, medicamentos que atendem a demandas judiciais ou são adquiridos diretamente por Secretarias de Saúde estaduais ou municipais não precisam, obrigatoriamente, seguir o padrão de rotulagem governamental aplicado aos programas do Ministério da Saúde.

A área técnica destacou que as empresas detentoras de medicamentos regularizados devem submeter pedidos de adequação de rotulagem em conformidade com os prazos de implementação estabelecidos no Art. 95 da RDC nº 768, de 2022. Esse artigo prevê um período de transição de 24 meses para que as empresas adequem suas embalagens e rotulagens às novas exigências. Esse prazo é contado a partir da vigência da Resolução, que foi publicada em 3 de julho de 2023, resultando na data final de adequação sendo 3 de julho de 2025.

Durante esse período de transição, conforme o que foi destacado pela área técnica, os medicamentos destinados ao Ministério da Saúde podem continuar utilizando embalagens padronizadas pela RDC nº 57/2014 e que cumpram os requisitos de rotulagem da RDC nº 71/2009. Isso está em total consonância com o que determina a RDC nº 768/2022, que permite a continuidade do uso dessas embalagens até o fim do prazo de implementação da nova Resolução.

Nesta direção, até 3 de julho de 2025, as empresas podem seguir utilizando as embalagens padronizadas anteriormente, o que garante uma transição mais suave e evita rupturas no fornecimento de medicamentos destinados ao SUS e outros programas governamentais, enquanto as adequações necessárias são realizadas.

A empresa está solicitando uma excepcionalidade, pelo prazo de 24 meses, para permitir que as importações dos medicamentos Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) e Kalydeco® (ivacaftor) para as Secretarias de de saúde, em cumprimento das demandas judiciais, sejam realizadas com a embalagem de destinação governamental, conforme a regulamentação estabelecida pela RDC nº 768/2022.

Essa solicitação de excepcionalidade, visa garantir que os medicamentos possam ser fornecidos de forma adequada e contínua aos pacientes que necessitam. Especialmente considerando que muitos deles podem estar enfrentando condições de saúde debilitadas e não podem esperar por atrasos no tratamento. A autorização para usar a embalagem de destinação governamental durante esse período de transição permitirá o atendimento às demandas judiciais de maneira mais eficiente.

A RDC nº 768/2022, embora exija adequações na rotulagem e embalagens, também reconhece a necessidade de continuidade no fornecimento de medicamentos essenciais, especialmente, em situações críticas como as demandas judiciais. Assim, a excepcionalidade solicitada pode facilitar o acesso aos tratamentos de que os pacientes necessitam, sem comprometer as exigências regulamentares estabelecidas pela nova resolução.

A CBRES se manifestou sem oposição à concessão da excepcionalidade solicitada pela empresa, desde que as embalagens utilizadas para os medicamentos Trikafta® (eleacaftor/tezacaftor/ivacaftor) e Kalydeco® (ivacaftor) estejam adequadas à RDC nº 768/2022, especificamente ao que é disposto no art. 95.

É importante notar que a CBRES ressalta que ainda não houve um pedido formal de alteração de rotulagem para atender à RDC nº 768/2022 para nenhum dos medicamentos até o momento. O prazo para essa adequação se encerra em 3 de julho de 2025, o que significa que as empresas ainda têm tempo para realizar as modificações necessárias. No entanto, a CBRES não recomenda que se prolongue a utilização do modelo institucional padronizado pelo Manual de Identificação Visual para as embalagens de medicamentos, que atualmente está aprovado para ambos os medicamentos.

Essa recomendação se baseia na preocupação com o risco de erro de medicação, um fator crítico que levou à revogação do modelo anterior. Isso reflete a necessidade de priorizar a segurança dos pacientes, garantindo que as embalagens e rotulagens dos medicamentos estejam em conformidade com as normas que visam reduzir possíveis erros e garantir a correta identificação e utilização dos medicamentos.

Em resumo, enquanto a concessão da excepcionalidade pode facilitar o acesso aos medicamentos durante esse período de transição, é crucial que as empresas sigam as orientações da CBRES para assegurar que as embalagens atendam às exigências da nova regulamentação e não coloquem em risco a segurança dos pacientes.

O Ministério da Saúde havia estabelecido um padrão visual específico para as embalagens dos medicamentos que são distribuídos no Sistema Único de Saúde. Essa embalagem governamental desempenha um papel fundamental na identificação e controle dos medicamentos fornecidos pelo Ministério, pois reforça a proibição de venda desses medicamentos em suas embalagens padrão. Tal padronização assegura que os pacientes e os profissionais de saúde reconheçam que os produtos são fornecidos pelo SUS, garantindo assim a transparência no processo de distribuição.

Ao proibir a venda dos medicamentos nas embalagens governamentais, evita-se a comercialização irregular e garante que os medicamentos cheguem aos pacientes de forma controlada e segura. A padronização das embalagens também ajuda a manter um controle de qualidade sobre os medicamentos disponibilizados no SUS, assegurando que os produtos atendam aos requisitos técnicos e regulamentares necessários para garantir a saúde pública.

A adoção desse padrão visual e a utilização de embalagens adequadas estão em conformidade com as regulamentações estabelecidas, como a RDC nº 768/2022, que orienta a rotulagem e a apresentação dos medicamentos no Brasil.

A frase "Venda proibida ao comércio" para medicamentos com destinação governamental é uma diretriz mantida na RDC nº 768/2022. Neste ponto, a regulamentação tem como objetivo garantir que os medicamentos distribuídos pelo Ministério da Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) sejam utilizados exclusivamente para fins de saúde pública, sem a possibilidade de comercialização no setor privado.

Assim, a manutenção dessa diretriz na RDC nº 768/2022 reforça a importância de conformidade com as regulamentações de saúde pública e a necessidade de garantir que os medicamentos sejam utilizados de maneira adequada e controlada.

Em casos de demandas judiciais, a utilização de embalagens que reforçam a proibição de venda garante que os medicamentos fornecidos para tratamento sejam claramente identificados como parte do sistema de saúde pública, ajudando a prevenir qualquer mal-entendido sobre a sua distribuição.

Importante salientar, que mesmo em situações de demanda judicial, a empresa detentora do registro tem a responsabilidade inalienável de zelar pela segurança do paciente e garantir o uso racional do medicamento. Essa responsabilidade não deve ser comprometida, independentemente das circunstâncias que exigem a disponibilização do medicamento.

A empresa é responsável não apenas por cumprir a legislação vigente, mas também por atuar eticamente, priorizando a saúde e o bem-estar dos pacientes. Isso inclui assegurar que os medicamentos sejam utilizados dentro dos parâmetros de segurança estabelecidos.

A manutenção de padrões elevados de qualidade e segurança deve ser uma prioridade contínua para a empresa, para garantir que todos os produtos atendam às especificações regulatórias e de segurança.

Desta maneira, baseados nos argumentos apresentados, considero que permitir a importação dos medicamentos registrados com a embalagem governamental do Ministério da Saúde é uma medida razoável, sem risco sanitário e alinhada às necessidades do Sistema Único de Saúde. Abaixo, destaco os principais pontos que sustentam a medida excepcional, as quais são:

- Apesar de ser uma doença rara, a fibrose cística é uma das doenças raras mais comuns no Brasil, afetando aproximadamente 1 a cada 10 mil nascidos vivos no país. Em Goiás, a prevalência é de cerca de 1 a cada 18 mil nascidos vivos. Com o avanço da ciência e a melhoria da assistência prestada aos pacientes, a sobrevida tem aumentado a cada ano, o que reforça a importância de garantir o acesso a tratamentos medicamentosos, que desempenham um papel crucial na melhora da qualidade de vida desses pacientes; [L71](#)
- As embalagens propostas para os medicamentos têm os dizeres de rotulagem e layout aprovados pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária, o que garante que atendem aos padrões regulatórios exigidos para produtos de saúde. Essa conformidade apoia a qualidade e a segurança dos medicamentos

- Ao fornecer os medicamentos às Secretarias de Saúde por meio de importações, atende-se diretamente a uma necessidade crítica de pacientes que recorrem à judicialização para obter tratamento. Esse acesso é essencial, especialmente para aqueles que estão com a saúde debilitada e não podem arcar com atrasos na obtenção dos medicamentos;
- É importante ressaltar que a embalagem governamental reitera que a venda ao comércio é proibida. Isso é crucial para evitar a comercialização indevida dos medicamentos, garantindo que eles sejam utilizados exclusivamente no contexto do SUS, onde são destinados a atender à população que necessita de tratamento;
- A utilização das embalagens com os devidos avisos de "Venda proibida ao comércio" e o padrão visual estabelecido pelo Ministério da Saúde garantem que a distribuição dos medicamentos ocorra de maneira segura e controlada, minimizando os riscos de desvio ou uso inadequado;
- A distribuição de medicamentos com embalagem governamental, sem fins comerciais, reforça o compromisso com a saúde pública. Essa abordagem assegura que os medicamentos sejam usados de maneira adequada e eficaz, contribuindo para a melhoria da saúde da população;
- A utilização de embalagens aprovadas e a possibilidade de entrega direta às Secretarias de Saúde garantem uma resposta mais ágil e eficaz às necessidades de saúde, permitindo que os medicamentos cheguem rapidamente aos pacientes que deles precisam;
- Os medicamentos Trikafta® e o Kalydeco® são registrados na Anvisa. Isso significa que o já passaram por um rigoroso processo de avaliação de segurança, qualidade e eficácia pela agência reguladora, o que confere uma base sólida para qualquer decisão envolvendo sua importação, distribuição e uso; e
- O Trikafta e Kalydeco estão incorporados no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde. A inclusão desses medicamentos no PCDT valida a sua importância e eficácia no tratamento da fibrose cística, reconhecendo-os como opções terapêuticas adequadas e necessárias para os pacientes que precisam.

Em resumo, a autorização para a importação de medicamentos com a embalagem governamental do Ministério da Saúde é uma medida razoável, que assegura o cumprimento das normas regulatórias, atende às demandas judiciais, protege a saúde pública e reitera a proibição de comercialização desses produtos. Essa abordagem fortalece o sistema de saúde e garante que os pacientes recebam o tratamento de que precisam, sem atrasos ou complicações.

Por outro lado, se não concedermos essa excepcionalidade, há o risco de a empresa detentora do registro não conseguir disponibilizar os medicamentos de forma rápida, o que poderia levar à importação por terceiros, situação que traz uma série de riscos sanitários. Entre esses riscos estão a não garantia da adequada procedência dos medicamentos, bem como o de embalagens com rotulagem em outro idioma e com informações divergentes das aprovadas pela Anvisa, dificultando o uso seguro pelos profissionais de saúde e pacientes, trazendo novamente o tema para considerações da Anvisa.

Assim, o benefício de conceder essa liberação excepcional é claramente superior aos outros riscos envolvidos, principalmente quando consideramos que o objetivo principal é garantir o acesso rápido e seguro aos medicamentos para os pacientes, que não podem ter seu tratamento atrasado.

Caso ocorra a aprovação desta excepcionalidade pela Anvisa, a empresa deverá se comunicar formalmente com o Ministério da Saúde, informando sobre a aprovação e esclarecendo as condições específicas da importação e o uso da embalagem governamental. Orientamos a empresa, se possível, incluir no comunicado ao Ministério da Saúde:

- Informações detalhadas sobre o volume de medicamentos a serem importados: Quantidade das unidades de Trikafta® e Kalydeco® a serem destinadas às Secretarias de Saúde.
- Prazos estimados para entrega: Projeção dos tempos de logística para garantir a continuidade do tratamento dos pacientes.
- Esclarecimento das condições de uso da embalagem governamental: Informar que os medicamentos serão entregues com a embalagem governamental aprovada, garantindo o cumprimento dos padrões de rotulagem vigentes e reforçando que a venda é proibida ao comércio.

Se o Ministério da Saúde não concordar com uso da embalagem governamental, a empresa precisará seguir as orientações que lhe forem fornecidas neste voto. Nessa situação, a empresa deve utilizar outros modelos de layout e rotulagem nas embalagens, assegurando que elas estejam em conformidade com as exigências regulatórias e atendam às normas estabelecidas pela Anvisa.

A empresa deve garantir que a adequação da embalagem não comprometa a disponibilidade dos medicamentos para os pacientes que obtiveram êxito nas demandas judiciais. É vital que haja um plano de contingência para assegurar que os medicamentos sejam disponibilizados sem interrupções, mesmo durante o processo de adequação.

Adicionalmente, pondero que nas demandas judiciais, os medicamentos são frequentemente adquiridos e distribuídos diretamente pelas Secretarias de Saúde para atender pacientes específicos, sem seguir, em todos os casos, os padrões comerciais ou institucionais estabelecidos para os grandes programas de distribuição. As demandas judiciais são casos individuais e excepcionais, onde a prioridade é garantir o acesso rápido ao medicamento, e o formato ou embalagem pode não ser o foco principal, desde que os requisitos mínimos de segurança e eficácia sejam atendidos.

As embalagens aprovadas e reguladas para o Ministério da Saúde, como no caso da apresentação do Trikafta® (elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor) e Kalydeco® (ivacaftor), têm como objetivo atender aos programas de distribuição

institucional em larga escala e não se correlacionam diretamente com as necessidades emergenciais e personalizadas dos pacientes que recebem medicamentos por meio de decisões judiciais.

No contexto do pedido de excepcionalidade, caso seja aprovado, a empresa estaria disponibilizando o medicamento com embalagem governamental, seguindo o padrão estabelecido pelo Ministério da Saúde, diretamente para as Secretarias de Saúde. É importante destacar que essas secretarias são órgãos dos governos estaduais ou municipais que integram o Sistema Único de Saúde (SUS).

A utilização da embalagem governamental para medicamentos que não serão comercializados, mas sim entregues diretamente para atender às demandas judiciais, é uma abordagem que, segundo a análise apresentada, não apresenta risco sanitário. Isso se deve ao fato de que a entrega é feita de forma controlada e direcionada a pacientes que necessitam do tratamento de forma urgente e que, muitas vezes, já se encontram em estado de saúde debilitado.

Novamente saliento que no caso da fibrose cística, a continuidade e rapidez no tratamento são fundamentais, e qualquer atraso pode agravar o quadro clínico, comprometendo a função pulmonar, digestiva e outros sistemas do corpo. A demanda judicial muitas vezes é uma via de emergência para garantir que os pacientes recebam os medicamentos necessários no tempo adequado, sem interrupções que possam colocar suas vidas em risco.

A responsabilidade de garantir esse acesso, nestes contextos de demandas judiciais, recai sobre as Secretarias de Saúde, que precisam organizar a compra e distribuição dos medicamentos de acordo com as decisões judiciais, conforme os princípios estabelecidos pelo SUS. Isso inclui a colaboração com órgãos regulatórios e com as diretrizes estabelecidas, como a RDC Nº 768/2022, para assegurar que a entrega seja eficiente e dentro dos padrões de segurança e qualidade exigidos.

Por fim, o foco principal deve ser sempre garantir que o paciente receba o tratamento necessário o mais rápido possível, independentemente da via de acesso, seja ela por incorporação regular no SUS ou por meio de decisões judiciais. Essa prioridade é fundamental, especialmente em casos de doenças que exigem intervenções rápidas e eficazes, como as que os medicamentos Trikafta® e Kalydeco® tratam. Portanto, aprovar essa medida excepcional demonstra um compromisso com o cuidado centrado no paciente e assegura que as políticas de saúde pública estejam alinhadas com as necessidades reais dos indivíduos.

### 3. Voto

Diante de todos os pontos abordados, adicionalmente, considerando os princípios que regem a ética e a prática em saúde pública, a aprovação dessa medida pode contribuir significativamente para a melhoria de suas condições de saúde e qualidade de vida. É essencial que todos os envolvidos, incluindo a Anvisa e as empresas farmacêuticas, colaborem para que essa meta seja alcançada de maneira eficaz e responsável, portanto, **VOTO PELA APROVAÇÃO** do pleito de solicitação de excepcionalidade pela Vertex Farmacêutica do Brasil Ltda que solicita Importação de Trikafta® e Kalydeco® em embalagens de destinação governamental do Ministério da Saúde, por 24 meses.

Determino que a empresa comunique formalmente com o Ministério da Saúde e realize, se necessário, as adequações, conforme descritas neste voto. A comunicação será essencial para garantir a transparência no processo de importação e distribuição, além de alinhar as expectativas do uso das embalagens do Ministério da Saúde quanto ao fornecimento dos medicamentos às Secretarias de Saúde e, consequentemente, aos pacientes que aguardam tratamento via demandas judiciais.

Adicionalmente, destaco que essa relatoria dará conhecimento ao Departamento de Assistência Farmacêutica e Insumos Estratégicos (DARF/MS) da decisão da Anvisa, uma vez que, manter o DARF/MS informado sobre a decisão da Anvisa promove transparência no processo e assegura que todas as partes interessadas estejam cientes das regulamentações e permissões relacionadas aos medicamentos.

Sendo este o voto que submeto a apreciação pela Douta Diretoria Colegiada.

Por fim, solicito a inclusão em Circuito Deliberativo.

[1] <https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/trikafta-r-elexacftor-tezacftor-ivacaftor-novo-registro>

[2] <https://antigo.anvisa.gov.br/informacoes-tecnicas13?>

p\_p\_id=101\_INSTANCE\_R6VaZWsQDDzS&p\_p\_col\_id=column-1&p\_p\_col\_pos=1&p\_p\_col\_count=2&\_101\_INSTANCE\_R6VaZWsQDDzS\_groupId=219201&\_101\_INSTANCE\_R6VaZWsQDDzS\_urlTitle=kalydeco-ivacaftor-novo-

registro&\_101\_INSTANCE\_R6VaZWsQDDzS\_struts\_action=%2Fasset\_publisher%2Fview\_content&\_101\_INSTANCE\_R6VaZWsQDDzS\_assetEntryId=5640667&\_101\_INSTANCE\_R6VaZWsQDDzS\_type=content

[3] [https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2020/relatorio\\_ivacaftor\\_fibrosescistica\\_cp38\\_2020.pdf](https://www.gov.br/conitec/pt-br/midias/consultas/relatorios/2020/relatorio_ivacaftor_fibrosescistica_cp38_2020.pdf)

[4] <https://bvsmms.saude.gov.br/fibrose-cistica-e-genetica-e-mais-comum-na-infancia/>

[5]

[https://bvsmms.saude.gov.br/bvsmms/saudelegis/sctie/2020/prt0068\\_31\\_12\\_2020.html#:~:text=Torna%20p%C3%ABblica%20a%20decis%C3%A3o%20de,disponibiliza%C3%A7%C3%A3o%20da%20tecnologia%20pelo%20SUS](https://bvsmms.saude.gov.br/bvsmms/saudelegis/sctie/2020/prt0068_31_12_2020.html#:~:text=Torna%20p%C3%ABblica%20a%20decis%C3%A3o%20de,disponibiliza%C3%A7%C3%A3o%20da%20tecnologia%20pelo%20SUS)

[6] <https://www.gov.br/conitec/pt-br/assuntos/noticias/2023/setembro/ministerio-da-saude-incorpora-novo-medicamento-para-fibrose-cistica-no-sus#:~:text=O%20medicamento%20Trikafta%20foi%20incorporado,com%20fibrose%20c%C3%ADstica%20no%20pa%C3%ADs.>

[7] <https://www.gov.br/ebserh/pt-br/comunicacao/noticias/fibrose-cistica-atinge-1-a-cada-10-mil-nascidos-vivos-no-brasil#:~:text=Apesar%20de%20rara%2C%20no%20Brasil,vem%20aumentando%20a%20cada%20ano>

brasil#:~:text=Apesar%20de%20rara%2C%20no%20Brasil,vem%20aumentando%20a%20cada%20ano

Documento assinado eletronicamente por **Meiruze Sousa**

**Freitas, Diretora**, em 21/10/2024, às 15:05, conforme

horário oficial de Brasília, com fundamento no § 3º do art. 4º

do Decreto nº 10.543, de 13 de novembro de 2020

[http://www.planalto.gov.br/ccivil\\_03/\\_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm](http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_ato2019-2022/2020/decreto/D10543.htm).



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **3239613** e o código CRC **963A3A87**.