

## **VOTO Nº 244/2024/SEI/DIRE2/ANVISA**

Processo nº 25351.822601/2024-01

Expediente nº 1645007/24-3

Analisa solicitação de excepcionalidade para utilização de material de rotulagem do país de origem (em inglês).

Área responsável: GGMed e GGFIS

Relator: Meiruze Sousa Freitas

### **1. Relatório**

Trata-se de pedido de empresa Chiesi Farmacêutica Ltda, do qual consta solicitação de autorização, em caráter excepcional, para utilização do material de rotulagem do país de origem com informações em inglês para o LOJUXTA (mesilato de lomitapida), até que a demanda do medicamento aumente, seja por meio de novos processos de judicialização ou após a incorporação pela CONITEC.

Em síntese, o pedido da empresa está baseado nos seguintes pontos:

- O mesilato de lomitapida é registrado no Brasil como LOJUXTA desde dezembro de 2020.
- Indicado para tratamento da hipercolesterolemia familiar homozigótica (HoFH), uma doença genética ultrarrara.
- Doença caracterizada pela presença de níveis elevados de lipoproteína de baixa densidade em adultos.

- Não há diferenças entre o mesilato de lomitapida registrado no Brasil e no exterior.
- Ambos possuem as mesmas especificações e condições de armazenamento.
- A diferença entre ambos está no nome comercial (LOJUXTA no Brasil, JUXTAPID globalmente).
- A prevalência global da doença é estimada em 1:1.000.000 de indivíduos.
- A prevalência em populações com efeito fundador (consanguinidade) varia de 1:160.000 a 1:300.000.
- Pacientes com HoFH enfrentam um alto ônus de saúde devido à doença.
- As terapias atuais raramente atingem níveis ideais de LDL, mesmo com tratamentos combinados.
- O mesilato de lomitapida oferece uma alternativa para pacientes com risco extremamente alto de doenças cardiovasculares e morte prematura.
- No Brasil apenas dois pacientes utilizam o medicamento atualmente.
  - 1) Paciente que recebe a doação do produto (INCOR): recebeu o produto em abril de 2024, suficiente para tratamento de um ano.
  - 2) Paciente do Ministério da Saúde (via judicialização): recebeu o produto em maio de 2024, também suficiente para um ano de tratamento.
- O medicamento fornecido a ambos os pacientes possui rotulagem em inglês, conforme o nome comercial dos EUA (JUXTAPID).
- O pedido de Excepcionalidade de Importação do medicamento com rotulagem em idioma estrangeiro está de acordo com o Processo nº 25351.911372/2023-17, já autorizado pela ANVISA para a antiga detentora do produto, a empresa Amryt Brasil .
- Que o mesilato de lomitapida continue a ser fornecido com a rotulagem dos EUA, tal qual foi

realizada em suas duas primeiras importações.

- A adoção das rotulagens em português será reconsiderada pela empresa a partir de um aumento da demanda do medicamento.

- A versão impressa da bula brasileira será disponibilizada junto ao medicamento importado com rotulagem estrangeira.

- O SAC da empresa estará disponível para profissionais de saúde e pacientes para o atendimento de questões relacionadas ao produto.

## 2. **Análise**

Para a análise desta Segunda Diretoria, foram consideradas as manifestações da Gerência-Geral de Inspeção e Fiscalização Sanitária (GGFIS), por meio da Nota Técnica 363 (SEI nº 3244018), da Gerência de Inspeção e Fiscalização Sanitária de Medicamentos e Insumos Farmacêuticos (GIMED); e da Gerência-Geral de Medicamentos (GGMED), por meio da Nota Técnica 63 (SEI nº 3259254), da Coordenação de Bula, Rotulagem, Registro Simplificado e Nome Comercial (CBRES).

**A partir da manifestação da GGFIS, foi possível extrair:**

O medicamento **Lojuxta (mesilato de lomitapida)** está enquadrado na classe terapêutica C10A9 - TODOS OUTROS REGULADORES DE COLESTEROL E TRIGLICERÍDEOS, **a qual é considerada sensível para fins de análise de risco de desabastecimento.**

É PROVÁVEL que haja desabastecimento de mercado com ALTO RISCO DE IMPACTO PARA A SAÚDE PÚBLICA pela indisponibilidade do medicamento **Lojuxta (mesilato de lomitapida)** do laboratório AMRYT BRASIL COMERCIO E IMPORTACAO DE MEDICAMENTOS LTDA.

**Os principais apontamentos da GGMed foram:**

Previamente à anuência do nome comercial Lojuxta, a marca global JUXTAPID não havia

sido aprovada por conter 50% da DCB lomitapida (DCB nº 10810): juxTAPID X lomiTAPIDa. Desse modo, o pedido de excepcionalidade residiria não só na utilização de bula e rotulagem em idioma estrangeiro, mas também no emprego de nome comercial que não corresponde ao aprovado no Brasil, o qual havia sido tecnicamente e reprovado.

Comercializar medicamentos com embalagens em idioma estrangeiro pode aumentar significativamente o risco de erros de medicação. Profissionais de saúde e pacientes podem ter dificuldades em compreender as instruções de uso, dosagem e advertências, o que pode levar a administrações incorretas e potenciais reações adversas. Além disso, a falta de informações claras em português e com um nome diferente do que está registrado no Brasil pode dificultar a identificação de medicamentos falsificados ou de baixa qualidade, comprometendo a segurança e a eficácia do tratamento.

Entende desafios logísticos da gestão de estoque de material de embalagem e da importância do medicamento para os casos elencados, mas se manifestou contrária à importação excepcional do medicamento LOJUXTA com materiais de embalagem e bula no idioma inglês e com o nome diferente do registrado no Brasil. Isto porque, a solicitação da empresa não parece configurar uma excepcionalidade, pois não apresenta fatores únicos ou especiais que justifiquem um tratamento diferente do padrão estabelecido.

**Esta Segunda-Diretoria pondera que o medicamento LOJUXTA já foi objeto de dois pedidos de Excepcionalidade nesta Anvisa:**

1) Em 2022 (Processo 25351.935935/2021-92): Pedido de autorização excepcional quanto à comercialização do medicamento novo Lojuxta, cujo medicamento teve seu

registro aprovado pela via de doença rara, conforme RDC nº 205/2017. Por meio do VOTO Nº 30/2022/SEI/DIRE2/ANVISA (SEI nº 1765219), foi aprovada a justificativa de não comercialização do medicamento no prazo estabelecido pela supracitada resolução.

A comprovação da comercialização do referido medicamento deveria ocorrer em até 90 (noventa) dias, contados a partir da disponibilização do medicamento ao SUS, na forma de aditamento ao processo de registro.

2) Em 2023 (Processo 25351.911372/2023-17): Pedido de excepcionalidade requerendo, entre outros pontos, solicitação de autorização, em caráter de excepcionalidade, para que a primeira importação do medicamento Lojuxta® (mesilato de lomitapida) a ser realizada pela empresa Amryt Brasil, nas apresentações cápsulas duras de 5 mg, 10 mg e 20 mg, para uso oral, em frascos com 28 cápsulas cada, destinado, exclusivamente, por meio do instituto de doação a um paciente, como forma de comprovação de comercialização, uma vez que o produto não havia sido incorporado no SUS, fosse realizada com a rotulagem em idioma estrangeiro (inglês), para permitir a importação do medicamento e liberação da Licença de Importação (LI). Nos termos do Voto Nº 122 /2023/SEI/DIRE2/ANVISA (SEI nº 2553275), foi aprovada a importação do medicamento e liberação da sua Licença de Importação (LI) com a rotulagem em idioma estrangeiro (inglês); Juxtapid (fabricado em Dublin- Irlanda) x Lojuxta (fabricado EUA).

Tais excepcionalidades foram concedidas à empresa em função da importância do medicamento para a hipercolesterolemia familiar homozigótica, que é uma doença genética muito rara, herdada de ambos os pais e caracterizada pela presença de níveis elevados de lipoproteína de baixa densidade (LDL-C) no sangue, conhecida como colesterol ruim. Trata-se de uma doença grave, de alto risco, que reduz a expectativa de vida de seus portadores e, conforme descrito no

Voto Nº 122 /2023 (SEI nº 2553275), é difícil de ser tratada e a lomitapida oferece uma opção para pacientes que apresentam risco extremamente alto de doenças cardiovasculares e morte prematura.

Assim, considerando que o princípio da manutenção da vida deve prevalecer, a importação do medicamento mesilato de lomitapida, com material de rotulagem do país de origem contendo informações em inglês, supera o risco da interrupção do tratamento, entendendo justificável o pedido de excepcionalidade da empresa.

Por isso, em concordância com as decisões anteriores e com vista a dar continuidade ao tratamento dos dois pacientes que já utilizam o mesilato de lomitapida no Brasil, tanto pela via de doação quanto via judicialização, o produto poderá ser importado e fornecido aos referidos pacientes, assim como ocorreu nas primeiras importações, isto é, com material de rotulagem do país de origem contendo informações em inglês.

Todavia, é imperioso garantir que as informações essenciais para a segurança e eficácia do medicamento estejam acessíveis no idioma oficial do país (português). Com isso, como forma de mitigação de riscos de uso incorreto do medicamento, a empresa deverá disponibilizar a versão impressa da bula aprovada no Brasil junto ao medicamento importado, com rotulagem estrangeira.

A RDC nº 768/2022 e RDC nº 47/2009 regulam os requisitos de rotulagem e bula, incluindo o idioma. No entanto, casos excepcionais podem ser analisados pela Diretoria Colegiada da Anvisa, desde que sejam apresentados argumentos sólidos que justifiquem o pedido.

Caso o pedido seja negado, pode haver impacto na disponibilidade do LOJUXTA, forma farmacêutica cápsulas duras de 5 mg, 10 mg e 20 mg, para pacientes que dependem do medicamento por meio de processos judiciais ou doação. Por outro lado, a aprovação pode facilitar a manutenção do fornecimento, mesmo com baixa demanda atual.

Importante ponderar, o LOJUXTA (mesilato de lomitapida) é um medicamento especializado indicado para o tratamento da hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo), uma condição genética rara e grave que causa níveis extremamente elevados de colesterol LDL (lipoproteína de baixa densidade), aumentando significativamente o risco de doenças

cardiovasculares precoces. A HFHo é uma condição rara, com impacto significativo na qualidade e na expectativa de vida do paciente. A lomitapida age diretamente na redução do LDL-C, o que é crucial no manejo dessa condição. No entanto, o medicamento deve ser usado em conjunto com outras intervenções terapêuticas e sob acompanhamento rigoroso de um especialista.

A medida de exigir que a empresa disponibilize a versão impressa da bula aprovada no Brasil junto ao medicamento importado com rotulagem em língua estrangeira é uma estratégia prudente para mitigar os riscos de uso incorreto do LOJUXTA. Outra ação necessária é a disponibilização de um canal direto de comunicação com a empresa para esclarecer dúvidas sobre o uso do medicamento. Essa abordagem equilibra o acesso ao medicamento com as exigências de segurança para pacientes e profissionais de saúde.

Contudo, apesar da medida de mitigação ser válida como solução temporária, é importante que a autorização excepcional seja condicionada a um prazo definido para que a empresa regularize integralmente a rotulagem no idioma oficial, garantindo conformidade plena com as exigências regulatórias brasileiras.

**Deste modo, o entendimento favorável à importação excepcional deverá prevalecer para um novo ciclo anual de tratamento dos referidos pacientes, devendo essa Chiesi Farmacêutica Ltda se adequar às regras sanitárias brasileiras para comercializar o produto no mercado nacional, até a conclusão do próximo ciclo anual de tratamento, ainda que seja para atender pacientes sob as condições de doação ou judicialização.**

### 3. **Voto**

Diante do exposto, VOTO FAVORÁVEL à solicitação de excepcionalidade de importação do medicamento mesilato de lomitapida, com material de rotulagem do país de origem, contendo informações em inglês, para o cumprimento de um novo ciclo anual de tratamento dos pacientes atendidos via doação ou judicialização, desde que a empresa disponibilize a versão impressa da bula aprovada no Brasil junto ao medicamento importado e um canal direto de comunicação com

a empresa para esclarecer dúvidas sobre o uso do medicamento com rotulagem estrangeira, devendo a empresa se adequar às regras sanitárias brasileiras para comercializar o produto no mercado nacional, ainda que sob as condições de doação ou judicialização, até a conclusão do próximo ciclo anual de tratamento.

É este o voto que encaminho para decisão final da Diretoria Colegiada da Anvisa, por meio do Circuito Deliberativo.



Documento assinado eletronicamente por **Meiruze Sousa Freitas, Diretora**, em 02/12/2024, às 16:00, 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 **3273408** e o código CRC **DOEF70D0**.

**Referência:** Processo nº  
25351.822601/2024-01

SEI nº 3273408