

NOTA TÉCNICA

IDENTIFICAÇÃO DA REQUISIÇÃO

SOLICITANTE: MM. Juiz de Direito Dr. Reginaldo Palhares Junior

PROCESSO N.º: 50010573820218130278

CÂMARA/VARA: Vara Única

COMARCA: Grão Mogol

I – DADOS COMPLEMENTARES À REQUISIÇÃO:

REQUERENTE: YGDA

IDADE: 03 anos

PEDIDO DA AÇÃO: Miglustate 100 mg

DOENÇA(S) INFORMADA(S): Doença de Niemann-Pick tipo C

FINALIDADE / INDICAÇÃO: Como opção de terapêutica paliativa para o tratamento da Doença rara - Doença de Niemann-Pick tipo C

REGISTRO NO CONSELHO PROFISSIONAL: CRMMG 70288

NÚMERO DA SOLICITAÇÃO: 2022.0002618

II – PERGUNTAS DO JUÍZO:

A petição inicial do presente caso apresentou laudo médico de Num. 6864823017, o qual trouxe a informação de que a autora tem o diagnóstico de doença de Niemann-Pick tipo C e que o medicamento Miglustate é recomendado para o tratamento da referida patologia. Já por meio da nota de esclarecimento formulada pela Superintendência Regional de Saúde de Montes Claros, apesar de constar a disponibilidade do referido fármaco pelo SUS, informou que o “Ministério da Saúde não preconiza o uso da medicação Miglustate para pacientes menores de 18 anos de idade, em contrapartida o SUS fornece a medicação imiglucerase, que é a medicação indicada para pacientes menores de 4 anos pelo PCDT da doença de Gaucher e de acordo com a narrativa trazida na inicial, esse seria o motivo do não fornecimento do medicamento Miglustate. Nesse cenário, tenho que resta duvidoso qual seria o medicamento mais adequado ao caso da requerente que tem menos de 18 (dezoito) anos. Nesse cenário, qual seria o medicamento mais adequado ao caso da requerente que tem menos de 18 (dezoito) anos? **R.: O miglustate é**

o único fármaco utilizado no tratamento de suporte, com o objetivo de interferir no curso/evolução da doença. Em alguns pacientes, o medicamento interrompe ou atenua a progressão da doença. Porém, a qualidade global da evidência científica disponível para os desfechos estudados (desfechos de estabilidade e melhora) foi muito baixa.

III – CONSIDERAÇÕES/RESPOSTAS:

Conforme a documentação apresentada trata-se de criança com diagnóstico clínico e molecular da Doença de Niemann-Pick tipo C, para a qual foi indicado o uso contínuo do medicamento Miglustate 100 mg, com o objetivo de amenização no curso da doença e aumento de sobrevida.

A Doença de Niemann-Pick tipo C é doença genética rara, grave, caracterizada por distúrbio de armazenamento lipídico lisossômico atípico neurovisceral. O envolvimento neurológico define a gravidade da doença na maioria dos pacientes. De modo geral, considera-se que quanto mais precoce o surgimento de sintomas neurológicos, maior a agressividade da doença.

“A doença de Niemann-Pick C (NP-C) é uma doença neurovisceral atípica de armazenamento de lipídios lisossômicos com incidência mínima estimada de 1/120.000 nascidos vivos. O amplo espectro clínico varia de um distúrbio neonatal rapidamente fatal a uma doença neurodegenerativa crônica de início adulto. O envolvimento neurológico define a gravidade da doença na maioria dos pacientes, mas é tipicamente precedido por sinais sistêmicos (icterícia colestática no período neonatal ou esplenomegalia isolada na infância). Os primeiros sintomas neurológicos variam com a idade de início: atraso nos marcos motores do desenvolvimento (período infantil inicial), problemas de marcha, quedas, falta de jeito, cataplexia, problemas escolares (período infantil e juvenil tardio) e ataxia frequentemente após distúrbios psiquiátricos iniciais (adulto). O sinal mais característico é a paralisia do olhar supranuclear vertical. O distúrbio neurológico consiste principalmente em ataxia cerebelar, disartria, disfagia e demência progressiva. Cataplexia, convulsões e distonia são outras características comuns”⁶.

Miglustate: medicamento disponível na rede pública sob protocolo específico para o tratamento da Doença de Gaucher. Em junho de 2019, o miglustate foi avaliado pela CONITEC para o tratamento na Doença de Niemann-Pick tipo C, e houve decisão unânime pela não incorporação do medicamento.

No tratamento da Doença de Niemann-Pick tipo C, o miglustate é o fármaco utilizado com o objetivo de interferir no curso/evolução da doença. Seu uso tem sido empregado com o objetivo de estabilizar a doença neurológica ou promover melhoras no quadro, com atenuação e/ou reversão dos sintomas.

O medicamento tem indicação de bula para o tratamento oral da doença de Gaucher do tipo 1 leve a moderada, para as quais a terapia de substituição enzimática é considerada inadequada. E é também indicado para o tratamento das manifestações neurológicas progressivas em pacientes adultos e pediátricos com doença de Niemann-Pick tipo C. Não há registro em bula de proibição de uso em crianças menores que 04 anos. Consta que para o uso em crianças menores que 12 anos, a dosagem do medicamento deve ser ajustada pelo médico prescritor. No caso concreto, a prescrição atual requerida é de 250 mg/m²/dia.

O tratamento da doença requer acompanhamento multidisciplinar envolvendo ações interdisciplinares dos diversos profissionais envolvidos: médico, fonoaudiólogo, terapeuta ocupacional, fisioterapeuta, nutricionista e enfermeiro. Como trata-se de doença incurável, progressiva e incapacitante, o objetivo do tratamento é mitigar a disfuncionalidade, e com isso, melhorar a qualidade de vida dos pacientes, e retardar a progressão da doença.

A indicação para uso regular do miglustate nos pacientes com Doença de Niemann-Pick Tipo C, requer ainda estudos de maior relevância científica. Apenas dois estudos avaliaram sobrevida e mortalidade associada ao uso do miglustate. Os estudos atualmente disponíveis, não permitem afirmar indubitavelmente, sobre o alcance de resposta terapêutica clinicamente relevante, com o uso do miglustate pelos pacientes com alterações

neuroológicas decorrentes da Doença de Niemann-Pick Tipo C.

Os pacientes e seus familiares devem ser informados de que a eficácia do miglustate não está comprovada, e que o melhor resultado possível da terapia é a estabilização neurológica ou progressão mais lenta da deterioração neurológica em alguns casos. Os estudos disponíveis sugerem que o medicamento não tem benefício para sintomas colestatícos ou sistêmicos.

IV – REFERÊNCIAS:

1) Portaria Conjunta nº 4 de 22 de junho de 2017. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Doença de Gaucher.

2) Relatório nº 465 de junho/2019. Miglustate para manifestações neurológicas da Doença Niemann-Pick tipo C (NPC). CONITEC.

<http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/>

[Relatorio_miglustate_Niemann_Pick_465_2019_FINAL.pdf](#)

3) Nota Técnica nº 1859/2018-CGJUD/SE/GAB/SE/MS.

https://sei.saude.gov.br/sei/documento_consulta_externa.php?

[id_acesso_externo=26156&id_documento=4205383&infra_hash=c84224c0afe90668921284c63ac17fbf](#)

4) Nota Técnica NATJUS-São Paulo, fevereiro/2020. Miglustate para o tratamento da Doença de Niemann-Pick tipo C.

https://www.trf3.jus.br/documentos/natjus/notas_tecnicas/NT_Miglustate-

[D.NiemannPickC_INTERNET.pdf](#)

5) Geberhiwot T, Moro A, Dardis A, Ramaswami U, Sirrs S, Pineda MM, Vanier MT, Walterfang M, Bolton S, Dawson C, Héron B, Stampfer M, Imrie J, Hendriksz C, Gissen P, Crushell E, Coll MJ, Nadjar Y, Klünemann H, Mengel E, Hrebicek M, Jones SA, Ory D, Bembi B, Patterson M and on behalf of the International Niemann-Pick Disease Registry (INPDR) Consensus clinical management guidelines for Niemann-Pick disease type C. Orphanet J Rare Dis. 2018; 13(50):1-19.

<https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/29625568/>

6) Vanier T M. Review Niemann-Pick disease type C. Orphanet J Rare Dis. 2010; 5(16):1-18.

<https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/1750-1172-5-16>

7) Lachmann RH, Te Vruchte D, lloyds-Evans E, Reinkensmeier G, Sillince DJ, fernandez-Guillen L, Dwek RA, Butters TD, Cox TM, Platt FM. Treatment with miglustat reverses the lipid-trafficking defect in Niemann–Pick disease type C. Neurobiol. Dis. 2004;16(3):654-8.

<https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S0969996104001111?via%3Dihub>.

8) Patterson MC, vecchio D, Prady H, Abel L, Wraith JE. Miglustat for treatment of Niemann-Pick C disease: a randomised controlled study. Lancet Neurol. 2007; 6(9):765-72.

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/17689147>.

9) Wraith JE, Vecchio D, Jacklin E, Abel L, Chadha Boreham H, Luzy C, - Giorgino R, Patterson MC Miglustat in adult and juvenile patients with Niemann– Pick disease type C: Long-term data from a clinical trial Mol Genet Metab. 2010;99(4):351-7.

<https://www.sciencedirect.com/science/article/abs/pii/S1096719209005277?via%3Dihub>

10) Pineda M, Walterfang M, Patterson MC. Miglustat in Niemann-Pick disease type C patients: a review. Orphanet J Rare Dis. 2018; 13(1):140-61.

<https://ojrd.biomedcentral.com/track/pdf/10.1186/s13023-018-0844-0.pdf>

V – DATA:

24/01/2022

NATJUS – TJMG