

VOTO Nº 30/2022/SEI/DIRE2/ANVISA

Processo nº 25351.935935/2021-92

Expediente nº 0468222/22-7

Pedido de autorização excepcional quanto à comercialização do medicamento novo Lojuxta, considerando que o referido medicamento teve seu registro aprovado pela via de doença rara, conforme RDC nº 205/2017.

Área responsável: Gerência Geral de Medicamentos e Produtos Biológicos - GGMED

Relator: Meiruze Sousa Freitas

1. **Relatório**

Trata-se de Carta Ofício da empresa Amryt Brasil (1726096), por meio da qual apresenta justificativa para o descumprimento, em caráter de excepcionalidade, do prazo de comercialização no primeiro ano de registro do produto Lojuxta® (mesilato de lomitapida), medicamento novo para tratamento de doença rara registrado nesta Agência de forma priorizada conforme RDC nº 205/2017.

De acordo com o artigo 20 da referida Resolução, os medicamentos registrados por esta via terão prazo de até 365 (trezentos e sessenta e cinco) dias para serem comercializados, contados a partir da data de publicação do registro. O registro do medicamento Lojuxta® (175040001), foi publicado no Diário Oficial da União (DOU) em 07/12/2020 por meio da Resolução RE nº 5.030, de 03 de dezembro de 2020. Desta forma, o prazo previsto na normativa para comercialização do medicamento novo para doença rara venceria em dezembro de 2021.

Desta feita, a empresa informa que o prazo estimado para efetiva disponibilização do medicamento ao SUS é em torno de um ano e meio, ou seja, a partir de junho de 2023.

2. **Análise**

A RDC nº 205/2017 estabelece procedimentos especiais em relação ao registro de medicamentos para tratamento de doenças raras. Esses procedimentos abrangem tanto uma análise mais célere, com prazos mais curtos, quanto a aceitação de provas por meio de termo de compromisso e a dispensa de provas de controle de qualidade do importador.

Essas questões foram postas na referida normativa visando, essencialmente, promover o acesso de medicamentos à população com a urgência requerida para a situação de doenças raras. Nesse sentido, um fluxo diferenciado para o registro somente seria válido se houvesse o compromisso de comercialização por parte da empresa detentora do registro. Não é cabível o esforço da Agência reguladora para aprovar um registro de um medicamento

para doença rara se ele não estará disponível à população.

De acordo com o Art. 5º da nº 205/2017, a empresa deveria comercializar o produto até a data de 07/12/2021, 365 (trezentos e sessenta e cinco) dias contados a partir da data de publicação do registro. Já o artigo 12, § 8º, inciso II da Lei nº 6.360/76, regulamentada pela RDC Nº 317, DE 22 DE OUTUBRO DE 2019, que dispõe sobre os prazos de validade e a documentação necessária para a manutenção da regularização de medicamentos, e dá outras providências, para fins de renovação do registro, deve haver comprovação da comercialização do medicamento, por forma farmacêutica e concentração, durante pelo menos os dois terços finais do período de validade do registro expirado. No caso do registro da interessada, este prazo findaria em dezembro de 2022. A empresa informa que o prazo estimado para efetiva disponibilização do medicamento ao SUS é em torno de um ano e meio, ou seja, a partir de junho de 2023, um ano e meio mais tarde do que a legislação sanitária atinente a medicamentos para doenças raras prevê para comercialização de produtos registrados nos termos desta normativa, e 6 meses mais tarde do que o prazo necessário para comprovação da comercialização do medicamento durante pelo menos os dois terços finais do período de validade do registro expirado, para fins de renovação do registro, com vencimento em dezembro de 2023.

Por outro lado, estima-se que o país deve possuir cerca de 1.033 casos de pacientes acometidos por esta condição rara, e, devido à baixa prevalência, pode-se concluir que a aquisição do medicamento não ocorrerá no comércio varejista. Mais provavelmente, o fornecimento do medicamento deverá ocorrer por meio de processos judiciais impetrados em face do Sistema Único de Saúde (SUS). Até o momento, a empresa alega que não foi cientificada de nenhuma ação judicial para fornecimento do medicamento, mas que estaria apta a fornecê-lo tão logo seja demandada por esta via, já que o medicamento se encontra comercialmente disponível para importação. A empresa se compromete ainda a fornecer o medicamento caso haja demanda seja através da judicialização, seja através da procura por parte de um paciente elegível.

Ainda, em consulta às bases de dados internas da Anvisa, o medicamento Lojuxta® da interessada é o único cujo princípio ativo é o mesilato de lomitapida. Além disto, há apenas dois medicamentos registrados na Anvisa na classe terapêutica de OUTROS AGENTES MODIFICADORES DE LIPÍDEOS, o medicamento da requerente, e o medicamento WAYLIVRA, princípio ativo VOLANESORSENA SÓDICA, publicado em 23/08/2021. De acordo com a bula, o medicamento WAYLIVRA é indicado como adjuvante da dieta em pacientes adultos com síndrome de quilomicronemia familiar (SQF) geneticamente confirmada e com risco elevado de pancreatite, cuja resposta a dieta e a terapêutica de redução de triglicerídeos demonstrou ser inadequada. O medicamento Lojuxta® (mesilato de lomitapida) é indicado como adjuvante a uma dieta de baixo teor de lipídeos e outros tratamentos hipolipemiantes, com ou sem aférese de lipoproteína de baixa densidade (LDL), para reduzir o colesterol da lipoproteína de baixa densidade (LDL-C) em pacientes adultos com hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo).

A GGMED se manifestou por meio da NOTA TÉCNICA Nº 10/2022/SEI/GGMED/DIRE2/ANVISA entendendo que seria razoável a concessão das excepcionalidades solicitadas, a saber, cumprimento do artigo 20 da RDC nº 205/2017 e do artigo 12, § 8º, inciso II da Lei nº 6.360/76, para fins de renovação de registro, visto que não implica em risco sanitário.

3. Voto

Diante de todo o exposto, Voto pela Aprovação dos fatos relatados apresentados pela empresa Amryt Brasil para justificar a não comercialização do medicamento Lojuxta® (mesilato de lomitapida).

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

Solicito inclusão em circuito deliberativo para decisão final à soberania da Diretoria Colegiada da ANVISA.



Documento assinado eletronicamente por **Meiruze Sousa Freitas, Diretora**, em 07/02/2022, às 11:47, 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.



A autenticidade deste documento pode ser conferida no site <https://sei.anvisa.gov.br/autenticidade>, informando o código verificador **1765219** e o código CRC **93955A84**.