



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE ACESSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NAT-FEDERAL Nº 0750/2018

Rio de Janeiro, 06 de setembro de 2018.

Processo nº 5001551-22.2018.4.02.5103
ajuizado por [REDACTED]
neste ato representado por [REDACTED]
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **1ª Vara Federal** de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza™).

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração deste Parecer Técnico foram considerados os documentos médicos mais recentes acostados ao processo, emitidos em 2018.
2. De acordo com documentos médicos da UNIMED (Evento1_INF8_págs.1 e 2), emitidos em 18 de julho de 2018 pela neuropediatra [REDACTED] (CREMERJ [REDACTED]), o Autor é portador de **Amiotrofia Espinhal Progressiva (AME) tipo II** (exame genético confirmado pela Rede Sarah), em acompanhamento no ambulatório de neuropediatria do centro de especialidade da Unimed. É cadeirante, não chegou a deambular apenas sentar sem apoio. Faz uso regular de Ácido Ascórbico (Redoxon®) 12 gotas 1x/dia, Salbutamol solução oral 2,5mL 8/8 horas e vitamina D 3 gotas 1x/dia. Necessita realizar terapias de reabilitação como fisioterapia respiratória com auxílio de *CoughAssist E70* para auxílio à tosse, a fim de eliminar secreções das vias respiratórias e prevenir pneumonias de repetição, além de fisioterapia motora 2x/semana. É de extrema importância o uso do medicamento **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza™). O Autor já apresenta limitação de mobilidade, não anda e não sobe escadas. O medicamento indicado diminui a progressão da doença e é a única chance de manter uma sobrevida digna e prolongada. Foi informada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID 10): **G12.1- Outras atrofia musculares espinais hereditárias**, ei prescrito o seguinte medicamento:

- **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza™) – 6 doses no 1º ano e 3 doses ao ano a partir do 2º ano. Aplicar 3 doses intratecal, com intervalo quinzenal, 4ª dose 30 dias após a 3ª e após a 1ª dose de manutenção, a cada 4 meses.

II – ANÁLISE

DA LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, alterada pela Portaria GM nº 3992, de 28 de dezembro de 2017, dispõe, também, sobre as normas para



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE APOIO TÉCNICO EM AÇÕES DE SAÚDE

o financiamento da assistência farmacêutica, promovendo a sua organização em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado.

3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, considera, inclusive, as normas de financiamento e de execução dos Componentes Básico e Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
5. A Deliberação CIB-RJ nº 2.661, de 26 de dezembro de 2013 dispõe sobre as normas de financiamento e de execução do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 3º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
6. A Portaria SMS nº 012/2011 de 6 de outubro de 2011, dispõe a instituição da Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (REMUME - Campos dos Goytacazes) no âmbito das unidades integrantes do Sistema Único de Saúde sob gestão da Prefeitura Municipal de Campos dos Goytacazes.

DA PATOLOGIA

1. A **atrofia muscular espinhal (AME)** é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva. A doença é causada por uma deleção ou mutação homocigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN₁), localizado na região telomérica do cromossomo 5q13, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN₂), localizado na região centromérica, é o principal determinante da severidade da doença. Essa alteração genética no gene SMN₁ é responsável pela redução dos níveis da proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN₂ não compensa completamente a ausência da expressão do SMN₁ porque produz apenas 25% da proteína SMN. A falta da proteína SMN leva à degeneração de motoneurônios alfa (α) localizados no corno anterior da medula espinhal, o que resulta em fraqueza e paralisia muscular proximal progressiva e simétrica. A classificação clínica da AME é dada pela idade de início e máxima função motora adquirida, sendo então dividida em: severa (tipo I, AME aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann); **intermediária (tipo II ou AME crônica)**; branda (tipo III, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander); e tipo IV (AME adulta). Outros autores classificam a AME em apenas três categorias: severa, intermediária e branda¹.
2. A **AME do tipo II** (forma intermediária) apresenta sintomatologia menos intensa, com início das manifestações ocorrendo antes dos 18 meses de vida, sendo o atraso motor o sinal mais evidente, especialmente para sentar sem apoio e para ficar de pé. As crianças são capazes de sentar sem apoio, porém não chegam a deambular. São crianças com uma expressão facial normal, mas com grave comprometimento dos membros, especialmente de membros inferiores. Frequentemente se associa com deformidades osteoesqueléticas diversas, tais como retrações musculares e escoliose. Tremor fino postural dos dedos é frequentemente observado nessas crianças, assim como fasciculações na língua e arreflexia

¹BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R., et al. Atrofia muscular espinhal : diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. *Jornal Pediátrico*, v. 86, n. 4, 2010. Disponível em: <http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0021-75572010000400004>. Acesso em: 06 set. 2018.



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE ASSESSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

miotática profunda. A sobrevida varia de dois anos à terceira década de vida, e o óbito ocorre devido a complicações respiratórias, especialmente infecções².

DO PLEITO

1. O **Nusinersena** (Spinraza™) é um oligonucleotídeo anti-senso ou anti-sentido (ASO) que permite a inclusão do exon 7 durante o processamento do ácido ribonucleico mensageiro (RNAm) de SMN2, transcrito a partir do DNA (gene SMN2). Está indicado para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q (AME)³.

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza™) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA).

2. Cabe informar que o medicamento pleiteado **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza™) está indicado em bula³ para o tratamento da **Atrofia Muscular Espinhal**. Contudo, não está padronizado em nenhuma lista oficial de (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município e do Estado do Rio de Janeiro.

3. Até a presente data, não foi publicado pelo Ministério da Saúde o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁴ que verse sobre o quadro da Autora – **Atrofia Muscular Espinhal** e, portanto, não há lista oficial de medicamentos e/ou procedimentos, disponibilizados pelo SUS, que possam ser implementados nestas circunstâncias.

4. O **Nusinersena** (Spinraza™) encontra-se em consulta pública pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias do Ministério da Saúde (CONITEC-MS) para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I – o Autor apresenta atrofia muscular espinhal tipo II⁵.

5. Nesse sentido, a CONITEC-MS recomendou em relatório técnico a não incorporação deste medicamento para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q tipo I. Considerou-se que as evidências clínicas apresentadas são frágeis e os resultados obtidos com o tratamento, observados no ensaio clínico pivotal, não demonstram aumento de sobrevida para além da expectativa de vida esperada para crianças com a doença. A análise de custo-efetividade mostra que o medicamento não apresenta resultados clínicos condizentes com o preço praticado para o medicamento no Brasil e a análise de impacto orçamentário, que prevê gastos muito altos, evidenciando que a incorporação do medicamento pode comprometer a sustentabilidade do SUS⁶.

² Projeto Diretrizes. Sociedade Brasileira de Genética Médica Academia Brasileira de Neurologia. Amiotrofia Espinhal: Diagnóstico e Aconselhamento Genético. Disponível em: <https://diretrizes.amb.org.br/_BibliotecaAntiga/amiotrofia_espinhal_diagnostico_e aconselhamento_genetico.pdf>. Acessado em: 06 set. 2018.

³Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza™) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=25031942017&pldAnexo=10380823>. Acesso em: 06 set. 2018.

⁴ BRASIL. Ministério da Saúde. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<http://portalsaude.saude.gov.br/index.php/o-ministerio/principal/leia-mais-o-ministerio/840-sctie-raiz/daf-raiz/cgceaf-raiz/cgceaf/13-cgceaf/11646-pcdt>>. Acesso em: 06 set. 2018.

⁵Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/>>. Acesso em: 06 set. 2018.

⁶ BRASIL. Ministério da Saúde. Consultas Públicas. Relatório de Recomendação da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Nusinersena para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal 5q tipo I. Agosto 2018. Disponível em:



GOVERNO DO ESTADO DO RIO DE JANEIRO
SECRETARIA DE ESTADO DE SAÚDE
SUBSECRETARIA JURÍDICA
NÚCLEO DE ACESSORIA TÉCNICA EM AÇÕES DE SAÚDE

6. O relatório supramencionado estará aberto para Consulta Pública à sociedade entre 29 de agosto e 10 de setembro de 2018⁷.

7. No que tange à estatística quanto à proporção da população atingida pela doença do Autor - **atrofia muscular espinhal**, cabe esclarecer que essas atrofias são consideradas a causa genética mais comum de mortalidade infantil, com dados epidemiológicos escassos e controversos⁸. Estudos realizados fora do Brasil, relatam uma prevalência de **atrofia muscular espinhal** de 1 a 6.000 até 1 a cada 10.000 nascidos vivos⁸.

8. Em relação ao medicamento risco de dano irreparável à saúde do Autor, informa-se que cabe ao médico assistente uma avaliação mais precisa acerca dos riscos inerentes à condição clínica atual do Autor. Salienta-se que **a demora exacerbada na realização do tratamento adequado pode influenciar negativamente no prognóstico do Autor.**

É o parecer.

À 1ª Vara Federal de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

LIDIANE DE FREITAS SARMENTO
Fisioterapeuta
CREFITO-2/177.951-F

RACHEL DE SOUSA AUGUSTO
Farmacêutica
CRF-RJ 8626
Mat.: 5516-0

MARCELA MACHADO DURAO
Assistente de Coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ
Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02

<http://conitec.gov.br/images/Consultas/Relatorios/2018/Relatrio_nusinersena_5q_tipo_I_2018_CP.pdf>. Acesso em: 06 set. 2018.

⁷ BRASIL. Ministério da Saúde. Consultas Públicas - 2018. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/consultas-publicas>>. Acesso em: 06 set. 2018.

⁸ FEITOSA, W. F. et al. Atrofia Muscular Espinhal: da evolução clínica aos diagnósticos de enfermagem. Revista Interdisciplinar, v. 8, n. 1, p. 71-82, 2015. Disponível em: <https://revistainterdisciplinar.uninovafapi.edu.br/index.php/revinter/article/view/455/pdf_184>. Acesso em: 06 set. 2018