



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

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0771/2019

Rio de Janeiro, 13 de agosto de 2019.

Processo nº 5001818-18.2019.4.02.5116,
ajuizado por [REDACTED],
representado por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 1ª Vara Federal de Macaé, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento Nusinersena (Spinraza™).

I – RELATÓRIO

1. Para a elaboração deste parecer técnico foram considerados os documentos médicos mais recentes acostados ao processo.
2. De acordo com documentos médicos (Evento_23, LAUDO2, Página 1; Evento_23, RECEIT3, Página 1; Evento_23, RECEIT4, Página 1), emitidos em 13 de maio e 05 de julho de 2019, pela médica [REDACTED] (CREMERJ [REDACTED]), em impresso próprio, o Autor, 3 anos e 7 meses (em maio de 2019), com história de fraqueza muscular grave e simétrica, hipotonia axial e apendicular, arreflexia profunda, miofasciculações em língua e face. Apresenta grave atraso motor, não sustentando segmento cefálico, dificuldade para deglutição, sendo alimentado por **gastrostomia** e em uso de **traqueostomia**, sendo dependente de ventilação mecânica invasiva. Realizado análise do número de cópias dos éxons 7 e 8 dos genes SMN1 e SMN2 por MLPA com deleção em homozigose no gene SMN1, com confirmação diagnóstica de **Amiotrofia Muscular Espinhal tipo 1 (doença de Werdnig-Hoffman)**. É necessário tratamento com medicamento Nusinersena (Spinraza™), com a intenção de reduzir a perda das células nervosas motoras, com melhora da força e do tônus muscular, melhorando a qualidade de vida e prognóstico da doença. Foi prescrito para o Autor:
 - Nusinersena 12mg/5ml (Spinraza™) solução injetável – aplicar 5ml por via intratecal, 3 doses com intervalo de 15 dias e 1 dose com intervalo de 30 dias (4 frascos);
 - Nusinersena 12mg/5ml (Spinraza™) solução injetável – aplicar 5 ml por via intratecal, de 4 em 4 meses, após a fase de indução.

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, alterada por diversas portarias, sendo a mais recente a Portaria nº 702/GM/MS, de 21 de março de 2018, e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 06 de maio de 2004.

2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, cuja alteração mais recente consta na Portaria nº 3.550/GM/MS, de 01º de novembro de 2018,



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

dispõe, também, sobre as normas para 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, alterada pela Portaria nº 702/GM/MS, de 21 de março de 2018, considera, inclusive, as normas 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 5.743, de 14 de março de 2019 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 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.

6. No tocante ao Município de Macaé, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (REMUME – Macaé 2017).

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **atrofia muscular espinhal (AME)** é uma doença neurodegenerativa com herança genética autossômica recessiva. É a principal desordem fatal com esse caráter genético depois da fibrose cística (1:6.000), com uma incidência de 1:6.000 a 1:10.000 nascimentos. A frequência de indivíduos portadores (heterozigotos) da doença é de um para cada 40 a 60 indivíduos. A doença é causada por uma deleção ou mutação homozigótica 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. **AME tipo I** (também denominada AME severa, doença de **Werdnig-Hoffmann** ou AME aguda) se caracteriza pelo início precoce (de 0 a 6 meses de idade), pela falta de habilidade de sentar sem apoio e pela curta expectativa de vida (menor que 2 anos). Crianças assim diagnosticadas têm pouco controle da cabeça, com choro e tosse fracos. Antes de completar 1 ano de idade, não são mais capazes de engolir e se alimentar. A fraqueza de tronco e membros normalmente se dirige para os músculos intercostais, o que dificulta o desenvolvimento normal do ciclo respiratório. Apesar dos músculos intercostais serem afetados, o diafragma inicialmente é poupado. O risco de mortalidade precoce está usualmente

¹ BAIONI 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/pdf/jped/v86n4/a04v86n4.pdf>>. Acesso em: 06 ago. 2019.



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

associado com disfunção bulbar e complicações respiratórias. Apesar de essas crianças apresentarem historicamente uma curta expectativa de vida (menos de 2 anos), graças à melhora dos cuidados clínicos nos últimos anos, tem sido observado um aumento da sobrevivência¹.

3. **Gastrostomia** é um procedimento cirúrgico indicado como via de drenagem do conteúdo gástrico ou como via de infusão de alimentação e medicamentos, que consiste na fixação de uma sonda específica que cria uma comunicação entre o estômago e o meio externo de forma percutânea².

4. A **traqueostomia** consiste na abertura da parede anterior da traqueia comunicando-a com o meio externo. Está indicada em situações em que existe obstrução da via aérea alta, acúmulo de secreção traqueal, debilidade da musculatura respiratória e intubação traqueal prolongada³.

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). O medicamento é de uso adulto e pediátrico por via intratecal (IT). Está indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal 5q (AME)⁴.

III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado **Nusinersena (Spinraza™)** possui indicação clínica que consta em bula⁴ para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor – atrofia muscular espinhal, conforme consta em documentos médicos (Evento_23, LAUDO2, Página 1; Evento_23, RECEIT3, Página 1; Evento_23, RECEIT4, Página 1).

2. No que tange à disponibilidade do medicamento pleiteado no SUS, cabe informar que **Nusinersena foi incorporado ao SUS** para o tratamento atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo I, conforme disposto na Portaria SCTIE/MS Nº 24, de 24 de abril de 2019⁵. Acrescenta-se que, de acordo com o Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011⁶, há um prazo de 180 dias, a partir da data da publicação, para efetivar a oferta desse medicamento no SUS. Desta forma, o medicamento mencionado ainda não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Macaé e do Estado do Rio de Janeiro.

² PERISSÉ, VLC. O enfermeiro no cuidar e ensinar a família do cliente com gastrostomia no cenário domiciliar. Disponível em: < <https://app.uff.br/riuff/handle/1/1447> >. Acesso em: 06 ago. 2019.

³ RICZ, H. M. A.; et al. Traqueostomia. Simpósio: Fundamentos em clínica cirúrgica. Medicina, Ribeirão Preto, v. 44, n. 1, p. 63-69. 2011. Disponível em: <http://revista.fmrp.usp.br/2011/vol44n1/Simp7_Traqueostomia.pdf>. Acesso em: 06 ago. 2019.

⁴ Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza™) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: < http://www.anvisa.gov.br/datavisa/tila_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=2657552019&pIdAnexo=11101424>. Acesso em: 08 ago. 2019.

⁵ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria Nº 24 de 24 de abril de 2019. Torna pública a decisão de incorporar o Nusinersena para atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo I, no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS). Disponível em: < http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relatorio_Nusinersena_AME5q_2019.pdf>. Acesso em: 08 ago. 2019.

⁶ Decreto nº 7.646, de 21 de dezembro de 2011. Dispõe sobre a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no sistema único de Saúde e sobre o processo administrativo para incorporação, exclusão e alteração de tecnologias em saúde pelo Sistema Único de Saúde – SUS, e dá outras providências. Disponível em: <http://www.planalto.gov.br/ccivil_03/_Ato2011-2014/2011/Decreto/D7646.htm>. Acesso em: 08 ago. 2019.



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

3. Contudo, o medicamento **Nusinersena** foi incorporado ao SUS apenas para pacientes que apresentam AME 5q tipo I com diagnóstico genético confirmatório que não estejam em ventilação mecânica invasiva permanente de modo ininterrupto⁷. Sendo assim, considerando o relato médico de que o Autor é dependente de ventilação mecânica invasiva (Evento23_Laudo2_pág. 1), o Autor não se encontra contemplado para recebimento do Nusinersena quando seu fornecimento for iniciado, sendo inviável o acesso por vias administrativas.

4. Acrescenta-se que até o momento não foi publicado pelo Ministério da Saúde Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas⁷ que verse sobre a **atrofia muscular espinhal** – quadro clínico que acomete o Autor e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementados nestas circunstâncias.

É o parecer.

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

MONÁRIA CURTY NASSER
ZAMBONI
Nutricionista
CRN4 01100421

JULIANA PEREIRA DE CASTRO
Farmacêutica
CRF- RJ 22.383

MARCELA MACHADO DURAO
Assistente de Coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.246.255-6

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

ESTADO DO RIO DE JANEIRO

⁷ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 08 ago. 2019.