



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 1102/2019**

Rio de Janeiro, 11 de novembro de 2019.

Processo nº 5000885-60.2019.4.02.5111,  
ajuizado por [REDACTED]  
[REDACTED] neste ato representado por [REDACTED]  
[REDACTED]

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

**I--RELATÓRIO**

1. De acordo com documento médico e receituário de controle especial (Evento 1\_LAUDO5, págs. 2 e 3), emitido em 30 de maio de 2019 e não datado, pela médica [REDACTED] (CREMERJ [REDACTED] em impresso próprio, o Autor é portador de **Amiotrofia Espinhal (AME) tipo I, com ausência do gene SMN1 e três cópias do SMN2 confirmado por teste molecular**. O Autor mostra-se com excelente cognição estando matriculado regularmente no 1º ano do ensino fundamental (ensino domiciliar), além de receber cuidados intensivos de homecare. Foi citada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.0 - Atrofia muscular espinal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman)** e prescrito o medicamento:

- **Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza®) solução injetável** – aplicar 5ml por via intratecal nos dias 0, 14, 28 e 63 e após a cada 4 meses, totalizando 6 doses/ano. A administração deve ser realizada em ambiente intra-hospitalar, por profissional com experiência em punção lombar, sob assepsia.

**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, 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



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Angra dos Reis, em consonância com as legislações mencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais (REMUME -- Angra dos Reis 2014), publicado no Boletim Oficial do Município de Angra dos Reis, em 12 de dezembro de 2014.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. As **atrofias musculares espinhais (AME)** são um grupo diverso de desordens genéticas que afetam o neurônio motor espinhal. As diferentes formas de AME estão associadas a numerosas mutações genéticas e significativa variabilidade fenotípica. A AME 5q é a forma mais comum entre esse grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico. A AME 5q é a causa mais frequente de morte infantil decorrente de uma condição monogênica, apresentando uma prevalência de 1-2 em 100.000 pessoas e incidências de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos<sup>1</sup>.

2. A AME 5q é causada por alterações no locus do gene de sobrevivência do neurônio motor, localizado na região 5q11.2-13.3 do cromossomo 5. Na AME 5q, ambas as cópias do éxon 7 do gene SMN1 estão ausentes em cerca de 95% dos pacientes afetados. Nos 5% restantes, pode haver heterozigose composta (deleção em um alelo e mutação de ponto no outro alelo) ou, mais raramente, em casos de consanguinidade, mutação de ponto em homozigose. É importante ressaltar que a perda completa de SMN é uma condição letal e que a SMA é causada por baixos níveis de SMN - não sua ausência total. É por isso que não foram identificados pacientes com AME que sejam nulos tanto para a SMN1 quanto para a SMN2<sup>1</sup>.

3. A classificação clínica da AME 5q é dada pela idade de início e máxima função motora adquirida, podendo ser classificada em quatro tipos. A AME 5q tipo I, tem início precoce e é a mais grave e também a mais comum, com 58% dos casos. Os pacientes apresentam hipotonia, controle insuficiente da cabeça, redução de reflexos ou arreflexia antes dos 6 meses de idade. Apresentam hipotonia profunda e geralmente nunca são capazes de se sentar sem auxílio. A fraqueza dos músculos intercostais é evidenciada pela observação de um padrão de respiração paradoxal do tipo abdominal, com a relativa preservação do diafragma, geralmente evoluindo para uma insuficiência respiratória antes dos 2 anos de vida. Fraqueza na

<sup>1</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria Conjunta Nº 15, de 22 de outubro de 2019. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria\\_Conjunta\\_PCDT\\_Atrofia\\_Muscular\\_Espinhal\\_5q\\_Tipo-I.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria_Conjunta_PCDT_Atrofia_Muscular_Espinhal_5q_Tipo-I.pdf)>. Acesso em: 05 nov. 2019.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

deglutição e fasciculações de língua estão frequentemente presentes, e, à medida que a língua e os músculos faríngeos se enfraquecem, esses pacientes correm risco de aspiração. Apesar de todos estes sintomas, a cognição é normal. A AME 5q tipo I pode ser dividida em 1a, 1b e 1c<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. O Nusinersena (Spinraza<sup>®</sup>) 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)<sup>2</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Informa-se que o medicamento pleiteado Nusinersena (Spinraza<sup>®</sup>) possui indicação em bula<sup>2</sup> para o tratamento do quadro clínico que acomete o Autor – **Amiotrofia Espinhal (AME) tipo 1**, conforme consta em documentos médicos (Evento 1\_LAUDOS, pág. 2).

2. No que tange à disponibilidade do medicamento pleiteado no SUS, cabe informar que Nusinersena foi incorporado ao SUS apenas para o tratamento atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipo I, conforme Tabela Unificada do Sistema de Gerenciamento de Procedimentos, Medicamentos e OPM do SUS – SIGTAP<sup>3</sup> na qual consta Nusinersena 2,4mL solução injetável (frasco ampola) (06.04.79.001-5). Os critérios de acesso foram definidos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) do Ministério da Saúde para o tratamento do referido quadro clínico conforme a Portaria Conjunta N° 15, de 22 de outubro de 2019, assim como a incorporação do referido medicamento segundo a Portaria SCTIE/MS N° 24, de 24 de abril de 2019<sup>4</sup>. O medicamento Nusinersena será fornecido por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF).

3. Dessa forma, a médica assistente deverá avaliar se o Autor perfaz os critérios de inclusão definidos no PCDT supramencionado para o recebimento da Nusinersena por vias administrativas. Caso positivo, a representante legal do Autor deverá efetuar o cadastro do Autor no CEAF, através do comparecimento à **Fusar - Rua Almirante Brasil, 49 – Balneário, Angra dos Reis/RJ. Tel: (24) 3377-5859 R. 213**, munido da seguinte documentação: Original e Cópia de Documento de Identidade ou da Certidão de Nascimento, Cópia do CPF, Cópia do Cartão Nacional de Saúde/SUS, Cópia do comprovante de residência, Laudo de Solicitação, Avaliação e Autorização de Medicamentos (LME), em 1 via, emitido há menos de 60 dias, Receita Médica em 2 vias, com a prescrição do medicamento feita pelo nome genérico do princípio ativo, emitida há menos de 60 dias. *Observar que o laudo médico será substituído*

<sup>2</sup>Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza<sup>®</sup>) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <[http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila\\_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=2657552019&pldAnexo=11101424](http://www.anvisa.gov.br/datavisa/fila_bula/frmVisualizarBula.asp?pNuTransacao=2657552019&pldAnexo=11101424)>. Acesso em: 05 nov. 2019.

<sup>3</sup>SISTEMA DE GERENCIAMENTO DA TABELA DE PROCEDIMENTOS, MEDICAMENTOS E OPM DO SUS – SIGTAP. Disponível em: <<http://sigtap.datasus.gov.br/tabela-unificada/app/sec/procedimento/exibir/0604790015/11/2019>>. Acesso em: 05 nov. 2019.

<sup>4</sup>MINISTÉRIO DA SAÚDE. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria N° 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/Relelatorio\\_Nusinersena\\_AME5q\\_2019.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2019/Relelatorio_Nusinersena_AME5q_2019.pdf)>. Acesso em: 05 nov. 2019.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

*pelo Laudo de Solicitação que deverá conter a descrição do quadro clínico do paciente, menção expressa do diagnóstico, tendo como referência os critérios de inclusão previstos nos Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas – PCDT do Ministério da Saúde, nível de gravidade, relato de tratamentos anteriores (medicamentos e período de tratamento), emitido há menos de 60 dias e exames laboratoriais e de imagem previstos nos critérios de inclusão do PCDT.*

4. O tratamento com Nusinersena (Spinraza®) deve ser administrado por profissionais de saúde com experiência em punções lombares. A dose recomendada é de 12mg (5mL) por administração. Inicie o tratamento o mais cedo possível após o diagnóstico com 4 doses de carga. As três primeiras doses de carga devem ser administradas em intervalos de 14 dias, ou seja, nos dias 0, 14 e 28. A quarta dose de carga deve ser administrada 30 dias após a terceira dose, ou seja, no dia 63. Em seguida, uma dose de manutenção deve ser administrada uma vez a cada 4 meses. Estão disponíveis informações limitadas sobre a longa duração da eficácia e segurança do Nusinersena (Spinraza®) após 3 anos de início do tratamento de Atrofia Muscular Espinhal (AME). A necessidade de continuação da terapia deve ser revisada regularmente e considerada de forma individual, dependendo das condições clínicas do paciente e da resposta ao tratamento<sup>2</sup>. Assim, destaca-se a importância do Autor realizar avaliações médicas periodicamente visando atualizar o quadro clínico e a terapêutica realizada, uma vez que pode sofrer alterações.

5. Quanto ao pedido advocatício (Evento 1\_INIC1, Págs. 13 e 14, item “VT”, subitem “6”) referente ao provimento do medicamento pleiteado “...além de outros medicamentos que se mostrarem necessários para a manutenção de sua vida, eventualmente identificáveis ao longo do tratamento, de forma urgente, visto as condições de saúde e a idade que a requerente possui...”, vale ressaltar que não é recomendado o fornecimento de novos itens sem emissão de laudo que justifique a necessidade dos mesmos, uma vez que o uso irracional e indiscriminado de medicamentos e tecnologias pode implicar em risco à saúde.

É o parecer.

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

MONÁRIA CURTY NASSER  
ZAMBONI  
Nutricionista  
CRN4 01100421

CHEILATOBIAS DA HORA BASTOS  
Farmacêutica  
CRF-RJ 14680

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