



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0685/2020**

Rio de Janeiro, 15 de setembro de 2020.

Processo nº 5005330-11.2020.4.02.5104,  
ajuizado por [REDACTED]  
neste ato representado por [REDACTED]  
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **1ª Vara Federal de Volta Redonda da Seção Judiciária** do Estado do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Onasemnogeno abeparvoeque (Zolgensma®)**.

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com laudo e receituário médicos em impresso do Centromedic (Evento1\_ATESTMED7\_págs. 1 e 2; e Evento1\_ATESTMED8\_pág. 1) emitidos em 12 de agosto de 2020 pelo médico [REDACTED], o Autor, nascido em 24/02/2019, é portador de **Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1**. Desde o diagnóstico através de teste genético, iniciou o tratamento com o medicamento Nusinersena (Spinraza®) assim como terapia multidisciplinar (fonoaudiologia, nutrição, terapia ocupacional e fisioterapia motora e respiratória). Consta prescrito o uso do medicamento **Onasemnogeno abeparvoeque (Zolgensma®)**, uma vez que ele está indicado para a faixa etária do Autor e tem demonstrado resultados bastante positivos na regressão da doença, aumentando sobrevida e melhorando o desenvolvimento neuropsicomotor.

**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, e suas respectivas atualizações.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, e suas atualizações, dispõem, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.
3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, e atualizações, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Portaria nº 2.979, de 12 de novembro de 2019, institui o Programa Previne Brasil, que estabelece o novo modelo de financiamento de custeio da Atenção Primária à Saúde no âmbito do Sistema Único de Saúde.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

5. 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).
6. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento 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.
7. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
8. No tocante ao Município de Volta Redonda, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais, REMUME – Volta Redonda, disposta na Portaria SMS/VR 046/2013.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. As **Atrofias Musculares Espinhais (AME)** são um grupo de doenças neuromusculares hereditárias autossômicas recessivas, caracterizadas pela degeneração dos neurônios motores na medula espinhal e tronco encefálico, resultando em fraqueza muscular progressiva. Essas atrofias são consideradas a causa genética mais comum de mortalidade infantil, com dados epidemiológicos escassos e controversos. Estudos realizados fora do Brasil, relatam uma prevalência de AME 5q de 1-2 em 100.000 pessoas e incidências variando de 1 a cada 6.000 até 1 a cada 11.000 nascidos vivos<sup>1</sup>.
2. A AME 5q pode ser clinicamente subclassificada em duas categorias, de início precoce ou tardio, que se manifestam em cinco fenótipos (tipo I a IV), de acordo com a idade de início da doença e função motora. Apesar da existência dessas classificações, a presença de hiporreflexia, hipotonia, atrofia e fraqueza muscular é comum aos subtipos; afinal, trata-se de uma única doença<sup>1</sup>.
3. A **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-se 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 associado com disfunção bulbar e complicações respiratórias<sup>8</sup>. 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 sobrevivência<sup>2</sup>.

<sup>1</sup> Ministério da Saúde. SECRETARIA DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA E INSUMOS ESTRATÉGICOS DEPARTAMENTO DE GESTÃO E INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE COORDENAÇÃO DE AVALIAÇÃO E MONITORAMENTO DE TECNOLOGIAS. Nusinersena para Atrofia Muscular Espinhal 5q. Relatório de recomendação, nº 449, abril, 2019.

<sup>2</sup> BAJONI 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](http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0021-75572010000400004)>. Acesso em: 10 set. 2020.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

### DO PLEITO

1. **Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma<sup>®</sup>)** é uma terapia gênica baseada em um vetor viral adeno-associado, indicada para o tratamento de pacientes pediátricos abaixo de 2 anos de idade com atrofia muscular espinhal (AME), com: mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e diagnóstico clínico de AME do tipo I; ou mutações bialélicas no gene de sobrevivência do neurônio motor 1 (SMN1) e até 3 cópias do gene de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2)<sup>3</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Em resumo, trata-se de Autor com diagnóstico de **Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1 (AME)**, já em uso do medicamento **Nusinersena (Spinraza<sup>®</sup>)**, mas com indicação de uso do medicamento **Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma<sup>®</sup>)**, dose única.

2. Salienta-se que a A AME é uma doença altamente incapacitante e é a causa mais comum de mortalidade infantil dentre as condições hereditárias. Sua heterogeneidade clínica resulta em dificuldades para o desenvolvimento de terapias efetivas e de estudos clínicos adequados. O objetivo do tratamento é promover melhoras na função motora e retardar a progressão de doença<sup>4</sup>.

3. Inicialmente, cumpre informar que o medicamento **Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma<sup>®</sup>)** foi recentemente registrado junto à Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), em 17 de agosto de 2020, para o tratamento de pacientes pediátricos abaixo de 2 anos de idade com atrofia muscular espinhal (AME)<sup>3</sup>.

4. Dessa forma, o medicamento aqui pleiteado possui indicação que consta em bula aprovada pela ANVISA para o tratamento da condição clínica descrita para o Autor, conforme relato médico (Evento1\_ATESTMED7\_págs. 1 e 2) – AME tipo 1.

5. O pleito **Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma<sup>®</sup>)** não integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componente Básico, Estratégico e Especializado) dispensados pelo SUS, no âmbito do município de Volta Redonda e do estado do Rio de Janeiro.

6. De acordo com o banco de dados da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (CONITEC), verificou-se que o **Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma<sup>®</sup>)** não foi avaliado para o tratamento da **AME tipo 1**.

7. Conforme busca em outras agências internacionais de avaliação de tecnologias, constatou-se que:

- em setembro de 2018, o *National Institute of Clinical Excellence (NICE)* iniciou o processo de avaliação do **Onasemnogene abeparvovec** no Reino Unido, com previsão de publicação do documento final para Março de 2021;

<sup>3</sup> Bula do medicamento Onasemnogeno abeparvoveque (Zolgensma<sup>®</sup>) por Novartis Biociências S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351030622202065/?nomeProduto=zolgensma>>. Acesso em: 10 set. 2020.

<sup>4</sup> Ministério da Saúde. SECRETARIA DE CIÊNCIA, TECNOLOGIA E INSUMOS ESTRATÉGICOS DEPARTAMENTO DE GESTÃO E INCORPORAÇÃO DE TECNOLOGIAS EM SAÚDE COORDENAÇÃO DE AVALIAÇÃO E MONITORAMENTO DE TECNOLOGIAS - Monitoramento do HORIZONTE TECNOLÓGICO Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Artigos\\_Publicacoes/20200904\\_informe\\_AME.pdf](http://conitec.gov.br/images/Artigos_Publicacoes/20200904_informe_AME.pdf)> acesso em 15 set 2020



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

- em março de 2020, houve uma solicitação de reembolso pelo medicamento em questão ao *Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health* (CADTH) com previsão de publicação da recomendação final para novembro/dezembro de 2020.

8. Destaca-se que segundo Parecer Técnico-Científico do Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS-HSL), que através de uma busca e análise sistemáticas de evidências científicas disponíveis avaliou a eficácia e segurança do medicamento **Onasemnogene abeparvovec** no tratamento da **Atrofia Muscular Espinhal**, as evidências são insuficientes para qualquer conclusão válida, de forma que a recomendação para seu uso é incerta e os resultados dos seis estudos em andamento podem mudar qualquer conclusão<sup>5</sup>.

9. As opções terapêuticas disponíveis para a AME no SUS incluem as terapias não medicamentosas multidisciplinares incluindo medidas gerais de suporte com intervenções de fisioterapia, cuidados respiratórios, terapia nutricional suplementar, fonoaudiologia, etc<sup>1</sup>.

10. Para o tratamento medicamentoso da Atrofia Muscular Espinhal Tipo 1, a Secretaria de Estado de Saúde, através do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica, o incorporou o Nusinersena 2,4 mg/ml solução injetável 5 ml aos pacientes que perfazem os critérios de inclusão definidos pelo Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I<sup>6</sup>.

11. Em consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica – HÓRUS, do Ministério da Saúde, verificou-se que o Autor não possui cadastro no CEAF para o recebimento do medicamento padronizado Nusinersena.

12. Contudo, foi informado em documento médico acostado aos autos (Evento1\_ATESTMED7\_pág. 1) que o Autor é acompanhado por equipe multidisciplinar e já está em uso do medicamento Nusinersena. Ressalta-se aqui que este medicamento também é considerado de alto custo.

13. A título de informação o medicamento aqui pleiteado **Onasemnogene abeparvovec** está indicado em dose única, o que difere daquele padronizado pelo SUS, Nusinersena, o qual deve ser utilizado com dose de indução e posteriormente com dose de manutenção a cada 04 meses, todas por via intratecal<sup>5</sup>.

14. Deste modo, tendo em vista as evidências disponíveis, convém reiterar que se trata de um medicamento **recém registrado** no âmbito nacional, com ausência de avaliação por parte de CONITEC.

15. No que concerne ao valor do medicamento pleiteado, no Brasil considerando as regras atualmente vigentes, antes que um medicamento possa ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED), que é divulgado no site da ANVISA. A metodologia de precificação adotada pela CMED busca garantir que os preços máximos de entrada de medicamentos novos no país não sejam superiores ao menor preço encontrado numa cesta de nove países e que também não acarretem custo de tratamento mais alto, em comparação às alternativas terapêuticas já existentes para a mesma enfermidade, a não ser

<sup>5</sup> Núcleo de Avaliação de Tecnologias em Saúde (NATS-HSL). Parecer Técnico-Científico. Avaliação da eficácia e segurança do medicamento Onasemnogene abeparvovec no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal. Disponível em: < <https://www.cnj.jus.br/enatjus/arquivo-download.php?hash=c6d4955ad871f5916322d01e693f3bb259b9ed9d> >. Acesso em: 10 set. 2020.

<sup>6</sup> Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Portaria Conjunta nº15, de 22 de outubro de 2019. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipo 1. Disponível em: < [http://comitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria\\_Conjunta\\_PCDT\\_Atrofia\\_Muscular\\_Espinhal\\_5q\\_Tipo-1.pdf](http://comitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria_Conjunta_PCDT_Atrofia_Muscular_Espinhal_5q_Tipo-1.pdf) >. Acesso em: 10 set. 2020.



**GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

que seja comprovada sua superioridade em comparação a elas<sup>7</sup>.

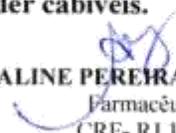
16. De acordo com publicação da CMED<sup>8</sup>, para as aquisições públicas de medicamentos, existem em vigor dois tetos máximos de preços: o Preço Fábrica (PF) e o Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG), onde o PF é o teto de preço pelo qual um laboratório ou distribuidor pode comercializar um medicamento no mercado brasileiro e o PMVG é o resultado da aplicação do Coeficiente de Adequação de Preços (CAP) sobre o PF. O PF deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011. Já o PMVG é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013<sup>11</sup>.

17. Contudo, o medicamento pleiteado não está descrito ainda na Tabela de preços CMED<sup>9</sup>.

**É o parecer.**

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

**LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO**  
Farmacêutico  
CRF-RJ 15023

  
**ALINE PEREIRA DA SILVA**  
Farmacêutica  
CRF- RJ 13065  
ID. 4.391.364-4

**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

<sup>7</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<http://portal.anvisa.gov.br/cmed/apresentacao>>. Acesso em: 15 set. 2020.

<sup>8</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Preços máximos de medicamentos por princípio ativo, para compras públicas. Preço fábrica (PF) e preço máximo de venda ao governo (PMVG). Disponível em: <[http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA\\_CONFORMIDADE\\_GOV\\_2020\\_05\\_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205](http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2020_05_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205)>. Acesso em: 15 set. 2020.

<sup>11</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: <<http://portal.anvisa.gov.br/listas-de-precos/>>. Acesso em: 15 set. 2020.

