



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS -- FEDERAL Nº.0756/2020

Rio de Janeiro, 19 de outubro de 2020.

Processo nº 5001927-31.2020.4.02.5105,  
ajuizado por

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

### I – RELATÓRIO

1. Para elaboração do presente Parecer Técnico foram considerados os documentos médicos mais recentes acostados ao Processo.

2. De acordo com os documentos médicos (Evento 1 LAUDO4 Páginas 1/2) em impresso próprio, emitidos pelo médico  em 16 de setembro de 2020, o Autor, 40 anos, apresenta diagnóstico de **atrofia muscular espinhal do tipo III (AME)**, firmado aproximadamente há 10 anos no SARAH de Brasília, com biópsia muscular. Segue com fisioterapia motora, independência relativa/necessita de ajuda para atividades diárias, deslocamento intra-domiciliar ajoelhado e com apoio. Apresenta avanço e progressão da doença nos últimos 10 anos. Foi prescrito ao Autor:

- Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza™) -- solução injetável 2,4mg/mL -- 01 frasco/ampola por administração intratecal no seguinte esquema: primeira dose: dia 0; segunda dose: dia 14; terceira dose: dia 28; quarta dose: dia 63. Doses de manutenção: subsequentes 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, dispõe, 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.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, 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.
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.

### DO QUADRO CLÍNICO

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 (SMN<sub>1</sub>), localizado na região telomérica do cromossomo 5q13, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN<sub>2</sub>), localizado na região centromérica, é o principal determinante da severidade da doença. Essa alteração genética no gene SMN<sub>1</sub> é responsável pela redução dos níveis da proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN<sub>2</sub> não compensa completamente a ausência da expressão do SMN<sub>1</sub> porque produz apenas 25% da proteína SMN. A falta da proteína SMN leva à degeneração de motoneurônios alfa ( $\alpha$ ) 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: 1) severa (tipo I, AME aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann); 2) intermediária (tipo II ou AME crônica); 3) branda (tipo III, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander); e 4) tipo IV (AME adulta). Outros autores classificam a AME em apenas três categorias: severa, intermediária e branda<sup>1</sup>.
2. A AME tipo III aparece após os 18 meses, o aparecimento da doença antes dos 3 anos de idade é classificado como AME tipo IIIa, e após essa idade como AME tipo IIIb. O que difere as duas é a preservação da capacidade de andar, sendo que os indivíduos com o tipo IIIa são capazes de andar até os 20 anos, enquanto os pacientes do tipo IIIb da

<sup>1</sup> BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R. Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. J Pediatr, v. 86, n. 4, p: 261-270, 2010. Disponível em: <[http://www.scielo.br/pdf/jped/v86n4/a04v86\(14\).pdf](http://www.scielo.br/pdf/jped/v86n4/a04v86(14).pdf)>. Acesso em: 19 out. 2020.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

mesma idade permanecem com essa habilidade durante a vida toda. Dificuldades de engolir, tossir ou hipoventilação são menos frequentes do que nos pacientes com o tipo II, mas podem ocorrer. Com o passar dos anos, esses indivíduos podem desenvolver escoliose<sup>1</sup>.

### DO PLEITO

1. **Nusinersena (Spinraza™)** é um oligonucleotídeo anti-senso ou anti-sentido que permite a inclusão do exon 7 durante o processamento do RNA mensageiro 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. Refere-se a Autor, 40 anos, com atrofia muscular espinhal do tipo III (AME), apresentando avanço e progressão da doença nos últimos 10 anos e solicitação médica para uso de **Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza™)**.

2. Diante do exposto, informa-se que o medicamento pleiteado apresenta indicação em bula<sup>3</sup> para tratamento do quadro clínico do Autor – atrofia muscular espinhal (AME).

3. No que tange à disponibilidade do medicamento pleiteado no SUS, cabe informar que **Nusinersena foi incorporado ao SUS** para o tratamento da atrofia muscular espinhal (AME) 5q, apenas do tipo I, conforme disposto na Portaria Nº 24 de 24 de abril de 2019<sup>3</sup>. Contudo, o medicamento encontra-se em análise pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC para o tratamento da atrofia muscular espinhal dos tipos II e III<sup>4</sup>.

4. Cabe mencionar que o Ministério da Saúde emitiu uma Nota Técnica nº 30/2018-NJUD/SE/GAB/SE/MS abordando o uso de Nusinersena (Spinraza™) no tratamento da atrofia muscular espinhal. A Nota Técnica conclui que Nusinersena (Spinraza™) não tem benefício comprovado para crianças de qualquer idade com necessidade de assistência respiratória, escoliose ou contraturas, crianças maiores de 12 anos e crianças com AME tipo III ou IV<sup>5</sup>.

<sup>2</sup> Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza™) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em:

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351233501201778/?nomeProduto=spinraza>>. Acesso em: 19 out. 2020.

<sup>3</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria Nº 24 de 24 de abril de 2019. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2019/PortariaSCTIE-24.pdf>>. Acesso em: 19 out. 2020.

<sup>4</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 19 out. 2020.

<sup>5</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Nota Técnica nº 30/2018-NJUD/SE/GAB/SE/MS - Nusinersena (Spinraza™) no tratamento da Atrofia Muscular Espinhal. Disponível em:

<[https://sei.saude.gov.br/sei/documento\\_consulta\\_externa.php?id\\_acesso\\_externo=26156&id\\_documento=3454744&infra\\_hash=565f465f5d6dd262b2509eec22c198d5](https://sei.saude.gov.br/sei/documento_consulta_externa.php?id_acesso_externo=26156&id_documento=3454744&infra_hash=565f465f5d6dd262b2509eec22c198d5)>. Acesso em: 19 out. 2020.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

5. Cabe ressaltar, para os tipos II e III da AME, o Ministério da Saúde ofertará o medicamento na modalidade compartilhamento de risco. Neste formato, o governo paga pelo medicamento somente se houver melhora da saúde do paciente. Os responsáveis pelos pacientes com os tipos II e III da AME devem entrar em contato com a Ouvidoria do SUS pelo telefone 136, a partir do dia 04/11/2019, e informar:

- Dados pessoais, cidade em que mora, se o paciente já possui laudo da doença, além da prescrição médica para uso do medicamento **Nusinersena**.
- O MS irá mapear quem são e onde estão esses pacientes para organizar os serviços de saúde para atender a demanda.
- Profissionais do MS ligarão para cada um dos pacientes cadastrados para indicar o Serviço de Referência que devem ir.
- Esses pacientes serão acompanhados por profissionais por três anos para medir resultados e evolução a partir do uso do **Nusinersena**<sup>6</sup>.

6. Destaca-se que a bula<sup>2</sup> aprovada pela ANVISA do medicamento pleiteado **Nusinersena** (**Spinraza**<sup>TM</sup>) apresenta uso adulto e pediátrico, contudo, em "*Advertências e Precauções*", consta que a eficácia e segurança do **Nusinersena** foi estabelecida em pacientes pediátricos desde recém-nascidos até 17 anos de idade, há dados limitados em pacientes com idade superior a 18 anos. No *Parecer Público de Avaliação do Medicamento – Aprovação* – emitido pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA)<sup>7</sup> em 28 de novembro de 2017, também é informado que os dados disponíveis para indivíduos adultos de 18 anos ou mais são limitados.

7. Em caráter informativo destaca-se que recentemente foi publicado PCDT para tratamento da atrofia muscular espinhal 5q, apenas para o tipo 1 desta doença<sup>8</sup>.

8. A atrofia muscular espinhal (AME) é uma doença rara e, nesse sentido, o Ministério da Saúde publicou a Portaria nº 199 de 30 de janeiro de 2014 que instituiu a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, aprovando as Diretrizes para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no âmbito do Sistema Único de Saúde (SUS) e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras<sup>9</sup> tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção,

<sup>6</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria GM nº 1.297, de 11 de junho de 2019. Disponível em:

<<https://antigo.saude.gov.br/saude-de-n-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>>. Acesso em: 19 out. 2020.

<sup>7</sup> BRASIL. Agência Nacional de Vigilância Sanitária - ANVISA. PARECER PÚBLICO DE AVALIAÇÃO DO MEDICAMENTO – APROVAÇÃO. Disponível em:

<<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351233501201778/?nomeProduto=spinraza>>. Acesso em: 07 out. 2020.

<sup>8</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q Tipo 1. Disponível em:

<[http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria\\_Conjunta\\_PCDT\\_Atrofia\\_Muscular\\_Espinhal\\_5q\\_Tipo-1.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria_Conjunta_PCDT_Atrofia_Muscular_Espinhal_5q_Tipo-1.pdf)>. Acesso em: 19 out. 2020.

<sup>9</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<[http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 19 out. 2020.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos. Contudo, a atrofia muscular espinhal (AME) não é mencionada.

9. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras. Na Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, atrofia muscular espinhal consta dentre as anomalias congênitas ou de manifestação tardia<sup>10</sup>.

10. No que concerne ao valor do medicamento Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza<sup>TM</sup>), 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 que seja comprovada sua superioridade em comparação a elas<sup>11</sup>.

11. De acordo com publicação da CMED<sup>12</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>14</sup>.

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de preços CMED com ICMS 20% o Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza<sup>®</sup>) na apresentação 2,4 mg/mL sol inj CT FA VD TRANS X 5 ML, possui Preço Fábrica o valor de R\$ 412.448,41 e

<sup>10</sup> CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, Março/2015. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio\\_PCDT\\_DoenasRaras\\_CP\\_FINAL\\_142\\_2015.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoenasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf)>. Acesso em: 19 out. 2020.

<sup>11</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: 19 out. 2020.

<sup>12</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/374947/5932738/LISTA\\_CONFORMIDADE\\_GOV\\_2020\\_07\\_v1.pdf/041d92e5-e6f8-458f-b176-a2f9ea9a3ac2](http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5932738/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2020_07_v1.pdf/041d92e5-e6f8-458f-b176-a2f9ea9a3ac2)>. Acesso em: 19 out. 2020.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

Preço Máximo de Venda ao Governo o valor de R\$ 329.587,52<sup>14</sup>.

É o parecer.

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

GABRIELA CARRARA  
Farmacêutica  
CRF- RJ 21.047

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