



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0844/2020

Rio de Janeiro, 24 de novembro de 2020.

Processo nº 5004826-08.2020.4.02.5103,  
ajuizado por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 4ª Vara Federal de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza®).

### I -- RELATÓRIO

1. Apensado ao autos (Evento 15\_PARECER1, Págs. 1 a 6), encontra-se PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0736/2020, emitido em 09 de outubro de 2020, no qual foram esclarecidos os aspectos relativos às legislações vigentes, ao quadro clínico que acomete as Autoras (**atrofia muscular espinhal tipo III**), e quanto a disponibilização do medicamento pleiteado Nusinersena (Spinraza™).

2. Após a emissão do parecer supramencionado, foram acostados ao processo documentos médicos do Hospital Universitário Gaffrée e Guinle -- HUGG/UNIRIO (Evento 27\_LAUDO2, Pág. 1) e (Evento 27\_LAUDO3, Pág. 1), emitidos em 19 de novembro de 2020, pela neurologista [REDACTED] as Autoras, 33 anos e 29 anos, respectivamente, são acompanhadas no ambulatório de neurologia do hospital supramencionado, apresentam diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal tipo III (AME III)**. A 1ª Autora deambula com auxílio, mas boa parte do tempo necessita de cadeira de rodas. A 2ª Autora necessita de cadeira de rodas e apresenta escoliose grave. No entanto mantém preservada as funções de membros superiores. No entanto mantém preservadas as funções de membros superiores, o que traz certa independência. O medicamento neste caso, tem o objetivo de limitar a progressão da doença que poderia acometer os membros superiores e o padrão respiratório diminuindo a qualidade de vida e parte da independência das mesmas. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G12.1 - Outras atrofia muscular espinhais hereditárias.

### II -- ANÁLISE

#### DA LEGISLAÇÃO/ DO PLEITO

Conforme abordados em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0736/2020, emitido em 09 de outubro de 2020 (Evento 15\_PARECER1, Págs. 1 a 6).

#### QUADRO CLÍNICO

Em complemento ao abordado em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0736/2020, emitido em 09 de outubro de 2020 (Evento 15\_PARECER1, Págs. 1 a 6), segue:

Nº  
1



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 é subdividida clinicamente em cinco tipos (AME tipos 0, 1, 2, 3 e 4), definidos pela idade de aparecimento dos sintomas e pelas habilidades motoras alcançadas. Assim, pessoas com a mesma doença podem apresentar níveis de acometimento e manifestações clínicas diferentes, como indivíduos que não conseguem se sentar de forma independente, indivíduos que se sentam, mas não andam, ou indivíduos que andam mas que podem perder essa habilidade com a progressão da doença. Apesar das diferenças clínicas, pessoas com todos os tipos de AME têm a mesma doença, os sinais e sintomas são causados pela disfunção e morte de neurônios motores devido à diminuição da quantidade funcional de proteína SMN. A AME tipo 3 também conhecida como doença de Kugelberg-Welander, atinge cerca de 13% dos casos. Os primeiros sintomas aparecem após os dezoito meses de idade. Alguns pacientes desenvolvem dificuldade respiratória mais tardiamente, quando comparados ao tipo 2. Conseguem desenvolver a capacidade de andar independentemente, porém, em algum momento da vida, podem perder essa habilidade. Quanto mais precoce o início dos sintomas e sinais, mais cedo pode ocorrer a perda da marcha. As dificuldades ortopédicas, incluindo a escoliose, se agravam a partir do momento em que param de andar. Em casos mais graves ou com mais tempo de doença, podem desenvolver dificuldades para engolir. Estudos mostram que a expectativa de vida destes pacientes pouco se diferencia da população não afetada<sup>2</sup>.

3. A escoliose é definida como uma curvatura lateral da coluna vertebral no plano frontal, mas na realidade é uma deformidade complexa e tridimensional não só da coluna mas também de todo o tronco e inclusive com alterações noutras partes do corpo<sup>3</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Anexado aos autos (Evento 15\_PARECER1, Págs. 1 a 6), encontra-se PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0736/2020, emitido em 09 de outubro de 2020. Nos **itens 2 a 4** do referido parecer, pelo fato de haver divergências de informações quanto a classificação clínica da atrofia muscular espinhal que acomete as Autoras, para uma inferência segura acerca da indicação do medicamento pleiteado foi sugerida a **emissão de novo laudo médico, assinado e datado que contemple o quadro clínico atual** das Autoras.

2. Neste sentido, foram acostados ao processo (Evento 27\_LAUDO2, Pág. 1) e (Evento 27\_LAUDO3, Pág. 1) os documentos relatando que as Autoras "*apresentam diagnóstico clínico e molecular de atrofia muscular espinhal tipo III (AME III) (...) Foi mencionada a*

<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: 24 nov. 2020.

<sup>2</sup>QVIA. Guia de discussão sobre a Atrofia Muscular Espinhal (AME) no Brasil. <[https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt\\_BR/refresh\\_images/Livro\\_Brasil\\_novembro2019.pdf](https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt_BR/refresh_images/Livro_Brasil_novembro2019.pdf)>. Acesso em: 24 nov. 2020.

<sup>3</sup>OLIVEIRA, Antônio. Deformidades da coluna do adolescente. Nascer e Crescer revista do hospital de crianças maria pia ano 2011, vol XX, n.º 3. Disponível em: <<http://www.scielo.mec.pt/pdf/nas/v20n3/v20n3a28.pdf>>. Acesso em: 24 nov. 2020.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

*seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G12.1 - Outras atrofia muscular espinais hereditárias”.*

3. Assim destaca-se que o medicamento pleiteado **Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza®)** está indicado para o tratamento do quadro clínico que acomete as Autoras -- **atrofia muscular espinais**, conforme relato médico (Evento 27\_LAUDO2, Pág. 1) e (Evento 27\_LAUDO3, Pág. 1)

4. Ademais, destaca-se que 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>4</sup>. Assim, destaca-se a importância das Autoras realizar avaliações médicas periodicamente visando atualizar o quadro clínico e a terapêutica realizada, uma vez que pode sofrer alterações.

5. Reitera-se que de acordo com a Nota de Esclarecimento do Ministério da Saúde, publicada em 21 de agosto de 2020, o acordo de compartilhamento de risco encontra-se em análise no momento<sup>5</sup>.

6. Por fim, as demais informações referentes as avaliações, protocolos clínicos, fornecimento e o preço do medicamento **Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza®)** já foram devidamente prestadas nos itens 5 e 14 da Conclusão do PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0736/2020, emitido em 09 de outubro de 2020 (Evento 15\_PARECER1, Págs. 1 a 6).

**É o parecer.**

A 4ª Vara Federal de Campos, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS  
Farmacêutica  
CRF-RJ 14680

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>4</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: 24 nov. 2020.

<sup>5</sup>Ministério da Saúde. Nota de Esclarecimento. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/noticias/agencia-saude/47383-nota-de-esclarecimento>. Acesso em 27 ago 2020.