



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS – FEDERAL Nº 0880/2020

Rio de Janeiro, 09 de dezembro de 2020.

Processo nº 5008391-32.2020.4.02.5118,
ajuizado por

--	--

O presente parecer visa atender a solicitação de informações técnicas da 1ª Vara Federal de Duque de Caxias, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto aos medicamentos Nusinersena (Spinraza™) ou Onasemnogeno Abeparvoeque (Zolgensma®).

I – RELATÓRIO

1. Acostado em Evento 7_PARECER1_Página 1/8, encontra-se PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0770/2020, emitido em 26 de outubro de 2020, no qual foram esclarecidos os aspectos relativos às legislações vigentes, à disponibilização dos medicamentos pleiteados – Nusinersena (Spinraza™) ou Onasemnogeno Abeparvoeque (Zolgensma®), bem como foram apontadas divergências de informações quanto à classificação clínica da doença que acomete à Autora – atrofia muscular espinhal, seguido de solicitação de emissão de novo laudo médico, assinado e datado que contemple o quadro clínico atual da Requerente.

2. Desse modo, em Evento 12_COMP2_Página 4, encontra-se documento médico em impresso da Prefeitura Municipal de Belford Roxo, emitido em 06 de outubro de 2020, pelo médico [redacted] informando que a Autora, iniciou investigação clínica para hipotonia aos 5 meses de idade, fato que os pais já observavam desde tenra idade. Na ocasião fora observado atraso de aquisição dos marcos de desenvolvimento motor. Não conseguia sustentar a cabeça, não elevava membros superiores e membros inferiores com pouca mobilidade. Aos 8 meses, apresentou quadro de pneumonia comunitária, que resultou em internação hospitalar em UTI. A internação foi prolongada devido a fraqueza da musculatura respiratória estendendo-se por 6 meses e 12 dias. Recebeu alta com necessidade de suporte domiciliar (*homecare*), pois passou por procedimento de traqueostomia para acoplar ventilador mecânico portátil pela incapacidade de respirar de forma independente, além de gastrostomia, pela incapacidade de deglutição de alimentos, devido a redução de força da musculatura orofacial e faríngea.

3. Foi participado que a Autora, atualmente, consegue ficar 6 horas sem o respirador artificial, dependendo nas demais 18 horas do dia. Não consegue elevar a cabeça ou seus membros, permanecendo deitada o tempo todo. Nunca sentou sem auxílio, somente amparada por algum objeto. Ainda recebe alimentação pela gastrostomia. Apresenta fraqueza global da musculatura, embora tenha exibido miofasciculação em apenas um momento. Durante a internação foi realizado exame genético que mostrou deleção de homozigose do gene SMN1 éxon 7 (SMN1 = 0 cópias; SMN 2 = 2 cópias), éxon 8 (SMN1 = 0 cópias; SMN 2 = 2 cópias), com presença de duas cópias do gene SMN2.



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

4. A Autora apresenta clinicamente sinais e sintomas de **atrofia muscular espinhal tipo I**, ou **doença de Werdnig-Hoffman (AME I)**, iniciados antes dos 6 meses de idade. O médico assistente informou que a internação não resultou em qualquer sequela neurológica que possa justificar os sintomas, e que suas dificuldades decorrem totalmente da AME. Não há casos semelhantes relatados na família e os pais não são consanguíneos. No momento da emissão do laudo a Autora apresentava 14,3 kg de peso e não havia iniciado tratamento com qualquer medicamento específico para o tratamento. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): G12.0 – **Atrofia muscular espinhal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman)**.

5. Em Evento 12_COMP2_Página 1 encontra-se receituário médico emitido em 06 de novembro de 2020 em impresso e por médico supramencionados, indicando à Autora:

- **Nusinersena 2,4mg/mL** – Aplicação intratecal de 5 mL -- Fase de indução (4 doses): 0, 15, 30 e 60 dias. Fase de manutenção (uso contínuo): de 04 em 04 meses após a fase de indução.

6. Em Evento 12_COMP2_Página 2 encontra-se receituário eletrônico, emitido pela médica [REDACTED] em 09 de novembro de 2020, indicando à Autora:

- **Onasemnogeno Abeparveque (Zolgensma®)** – uso parenteral (venoso) 2,0 x 1013gv/mL/frasco de 8,3mL -- um kit para 13,5kg de peso corporal e um kit de 2,3 a 3kg de peso corporal (total de 11 frascos de 8,3mL). Administrar 11 frascos intravenoso em dose única.

7. Em Evento 12_COMP2_Página 3, encontra-se laudo para solicitação/autorização de medicamentos de dispensação excepcional – LME, preenchida em 06 de novembro de 2020 pelo médico [REDACTED] informando que a Autora, apresenta diagnóstico de **atrofia muscular espinhal tipo I**, com quadro de fraqueza global da musculatura, dependendo de respirador artificial e de alimentação por sonda de gastrostomia. Foi indicado à Autora o medicamento **Nusinersena**.

II – ANÁLISE

DA LEGISLAÇÃO/DO QUADRO CLÍNICO/DO PLEITO

Conforme abordado em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0770/2020, emitido em 26 de outubro de 2020 (Evento 7_PARECER1_Página 1/8).

III – CONCLUSÃO

1. Refere-se à Autora com diagnóstico clínico de **atrofia muscular espinhal tipo I** ou **doença de Werdnig-Hoffman**, apresentando prescrições médicas para tratamento com **Nusinersena (Spinraza™)** e **Onasemnogeno Abeparveque (Zolgensma®)**.

2. Isso posto, informa-se que os medicamentos pleiteados **Nusinersena (Spinraza™)** e **Onasemnogeno Abeparveque (Zolgensma®)** estão indicados ao quadro clínico que acomete à Autora -- **atrofia muscular espinhal tipo I** ou **doença de Werdnig-Hoffman**.

3. Salienta-se que em nova consulta ao Sistema Nacional de Gestão da Assistência Farmacêutica – HÓRUS, do Ministério da Saúde, verificou-se que a Autora



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

possui cadastro no CEAF, com solicitação deferida para o recebimento do medicamento padronizado Nusinersena (SpinrazaTM). Contudo, consta a informação de “aguardando autorização”.

4. Destaca-se que a Autora deverá fazer uso de apenas um dos medicamentos pleiteados: Nusinersena (SpinrazaTM) OU Onasemnogeno Abeparvoeque (Zolgensma[®]).

5. Assim, reiteram-se as demais informações prestadas no PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0770/2020, emitido em 26 de outubro de 2020 (Evento 7 PARECER1 Página 1/8) quanto aos medicamentos Nusinersena (SpinrazaTM) e Onasemnogeno Abeparvoeque (Zolgensma[®]).

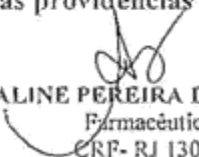
6. Acrescenta-se que o Ministério da Saúde planeja ofertar o medicamento na modalidade compartilhamento de risco. Neste formato, o governo pagaria ao laboratório fabricante, Biogen, pelo Nusinersena (Spinraza[®]) somente em caso de melhora do quadro clínico do paciente.

7. 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 momento¹.

É o parecer.

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

GABRIELA CARRARA
Farmacêutica
CRF- RJ 21.047


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

MARCELA MACHADO DURAQ
Assistente de Coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

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

¹ Ministério da Saúde. Nota de Esclarecimento. Disponível em: <http://www.saude.gov.br/noticias/agencia-saude/47383-nota-de-esclarecimento>. Acesso em 07 dez 2020.

