



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0223/2021**

Rio de Janeiro, 19 de março de 2021.

Processo nº 5000971-69.2021.4.02.5108,  
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da 2ª **Vara Federal de São Pedro da Aldeia**, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evryssi®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com os documentos médicos (Evento 1, LAUDO9, pág. 1 e Evento 1, LAUDO10, pág. 1), em impresso próprio do médico  emitidos em 15 de janeiro de 2021, a Autora apresenta diagnóstico compatível com **amiotrofia espinhal progressiva tipo 3 - AME tipo 3**. Tendo sido prescrito o medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evryssi®) na posologia de 6,5mL após o almoço, para manutenção da força, diminuição das quedas e não progressão da doença. A seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID10) foi citada: **G12.1** - outras atrofias musculares espinais hereditárias.

**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.
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).



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 Iguaba Grande, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais - REMUME-Iguaba Grande-RJ, publicada pela Portaria nº 01/2013, de 20 de fevereiro de 2013.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, na forma do Anexo XXXVIII.

### DO QUADRO CLÍNICO

1. As **atrofias musculares espinhais (AME)** são um grupo diverso de distúrbios genéticos 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 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,

<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\\_PCDDT\\_Atrofia\\_Muscular\\_Espinhal\\_5q\\_Tipo-I.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/Portaria_Conjunta_PCDDT_Atrofia_Muscular_Espinhal_5q_Tipo-I.pdf)>. Acesso em: 18 mar. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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>.

### **DO PLEITO**

1. **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) é um é um modificador do splicing (maturação) do pré-mRNA de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2) desenvolvido para tratar a AME causada por mutações no gene SMN1 presente no cromossomo 5q que levam à deficiência na síntese da proteína SMN. Este medicamento trata a AME aumentando e mantendo os níveis funcionais da proteína SMN. Está indicado para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME)<sup>3</sup>.

### **III – CONCLUSÃO**

1. Em síntese (Evento 1, LAUDO9, pág. 1 e Evento 1, LAUDO10, pág. 1), trata-se de Autora diagnóstico compatível com **amiotrofia espinhal progressiva tipo 3 - AME tipo 3**. Tendo sido prescrito o medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi<sup>®</sup>) na posologia de 6,5mL após o almoço.

2. Informa-se que o fármaco pleiteado **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>), que possui registro ativo na ANVISA, **apresenta indicação**, que consta em bula<sup>3</sup>, para tratamento do quadro clínico da Requerente, descrito no item anterior.

3. Ressalta-se que o **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) é um medicamento novo, tendo sido registrado na ANVISA em 13/10/2020. Assim, embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis, mesmo que indicado e utilizado corretamente, podem ocorrer eventos imprevisíveis ou desconhecido<sup>3</sup>.

4. Destaca-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) **não foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC** para o tratamento da **atrofia muscular espinhal**<sup>4</sup>.

<sup>2</sup> IQVIA. 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: 18 mar. 2021.

<sup>3</sup> Bula do medicamento Risdiplam (Evrysdi<sup>®</sup>) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/medicamentos/25351116416202041/?nomeProduto=Evrysdi>>. Acesso em: 18 mar. 2021.

<sup>4</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Tecnologias demandadas. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 18 mar. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

5. No que tange à disponibilização através do SUS, cabe mencionar que o **Risdiplam 0,75mg/mL (Evrysdi<sup>®</sup>) não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Iguaba Grande e do Estado do Rio de Janeiro.
6. 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 SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras<sup>5</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, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos.
7. 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>6</sup>.
8. Para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal, o Ministério da Saúde publicou a Portaria Conjunta SAES/SCTIE/MS nº 15, de 22 de outubro de 2019, a qual dispõe sobre o **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I**. Por conseguinte a Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ) disponibiliza, por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), o medicamento Nusinersena 2,4mg/mL aos pacientes que se enquadram nos critérios de inclusão do **PCDT da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I**, bem como no disposto nas Portarias de Consolidação nº 2/GM/MS (Título IV) e nº 6/GM/MS, ambas de 28 de setembro de 2017 (estabelecem as normas de financiamento e de execução do CEAF no âmbito do SUS).
9. Contudo, conforme relato médico (Evento 1, LAUDO9, pág. 1), a forma de atrofia muscular apresentada pela Autora é a **AME tipo 3, que não está contemplada para tratamento pelo Protocolo Ministerial, impossibilitando a obtenção do medicamento padronizado, Nusinersena 2,4mg/mL, pela via administrativa**. 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>7</sup>.

<sup>5</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 30 de janeiro de 2014. Disponível em: <[http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsmis.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 19 mar. 2021.

<sup>6</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 mar. 2021.

<sup>7</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 mar. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

10. Atualmente, não há tratamento medicamentoso disponível no Sistema Único de Saúde (SUS) para o tratamento da AME 5q **tipo III**<sup>8</sup>.

11. No que concerne aos valores do medicamento **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>), informa-se que no Brasil, para um medicamento 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)<sup>9</sup>.

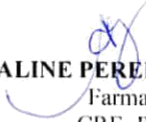
12. De acordo com publicação da CMED<sup>10</sup>, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (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.

13. Contudo, em consulta a Tabela de Preços CMED na presente data, não foi encontrado o preço do medicamento **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>), tendo em vista que trata-se de medicamento novo, com registro em 13/10/2020 na ANVISA. Acrescenta-se que conforme informações presentes no sítio eletrônico do Instituto Nacional de Atrofia Muscular Espinhal (INAME)<sup>11</sup>, a CMED autorizou o preço máximo de venda do **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>). Cada frasco com 60mg terá preço máximo de R\$ 42.066,21 (PF = preço de fábrica) mais impostos.

**É o parecer.**

**À 2ª Vara Federal de São Pedro da Aldeia, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**ALINE ROCHA S. SILVA**  
Farmacêutica  
CRF-RJ 14.429  
Mat.: 5502-0

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

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

<sup>8</sup> Brasil. Ministério da Saúde. Saúde realiza consulta pública sobre a incorporação do nusinersena para a AME tipos II e III. Disponível em: <<https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/noticias/saude-realiza-consulta-publica-sobre-a-incorporacao-do-nusinersena-para-a-ame-tipos-ii-e-iii>>. Acesso em: 01 mar. 2021.

<sup>9</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/cmcd/apresentacao>>. Acesso em: 18 mar. 2021.

<sup>10</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: 18 mar. 2021.

<sup>11</sup> Instituto Nacional de Atrofia Muscular Espinhal (INAME). CMED autoriza preço do Evrysdi (Risdiplam). Disponível em: <<https://iname.org.br/cmcd-autoriza-preco-do-evrysdi-risdiplam/>>. Acesso em: 18 mar. 2021.

