



GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0395/2021

Rio de Janeiro, 07 de maio de 2021.

Processo nº 5008016.48.2021.4.02.5101,
ajuizado por [REDACTED]
[REDACTED] neste ato representada por [REDACTED]
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **23ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza®).

I – RELATÓRIO

1. Acostado em Evento 18_PARECER1, págs. 1 a 8, encontra-se o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0158/2021, emitido em 01 de março de 2021, no qual foram esclarecidos os aspectos relativos às legislações vigentes, ao quadro clínico que acomete a Autora (**atrofia muscular espinhal**), quanto à indicação e disponibilização do medicamento **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza®) e sua **aplicação**.

2. Após a emissão do parecer supramencionado, foi acostado ao processo documento médico de consultório particular (Evento 30_LAUDO2, págs. 1 e 2), emitido em 20 de abril de 2021, pelo neurologista [REDACTED] informando que a Autora é portadora de **atrofia espinal progressiva AME tipo 1**, tem o gene **SMN 1 inativo**, apresenta diminuição de força em membros inferiores e superiores que a impede de andar, é dependente da ajuda de terceiros para atividades diárias. Uso do BIPAP 24 horas, possui traqueostomia e gastrostomia. Com o uso do **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza®). Único medicamento disponível no SUS para tal doença, porém a **Autora não preenche os critérios para livre acesso ao medicamento**. Antes desse, o tratamento era apenas paliativo. Espera-se a estabilização da evolução da doença, diminuição do tempo de BIPAP, menos pneumonia de repetição. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.1 – Outras atrofia musculares espinais hereditárias**, e prescrito, em uso contínuo, o medicamento:

- **Nusinersena 12mg/5mL** (Spinraza®) – aplicar 1 seringa (5mL) intratecal lombar. Dose de ataque: 1 seringa no 1º dia; 1 seringa após 14 dias da 1ª aplicação; 1 seringa após 28 dias da 1ª aplicação; 1 seringa após 30 dias da 3ª aplicação. Dose de manutenção: 1 seringa a cada 4 meses após a 4ª aplicação. Consumo anual: no 1º ano – 6 seringas cada uma com 5mL; após isso - 4 seringas cada uma com 5mL.

II – ANÁLISE DA LEGISLAÇÃO/ DO PLEITO

1. Conforme abordados em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0158/2021, emitido em 01 de março de 2021 (Evento 18_PARECER1, págs. 1 a 8).



DO QUADRO CLÍNICO

1. A **AME** é uma doença neuromuscular de manifestação clínica variável, genética e rara. 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 1** também conhecida como doença de Werdnig-Hoffman, é o subtipo mais comum de AME, correspondendo a cerca de 60% dos casos reportados em literatura. Sinais e sintomas têm início antes dos seis meses de vida: desenvolvem respiração paradoxal, e insuficiência respiratória é a principal causa de morbidade e mortalidade. A fraqueza e hipotonia da musculatura respiratória causam também deformidades no tórax, que assume um formato de sino; não desenvolvem a capacidade de se sentar sem suporte e têm perda da maioria da movimentação ainda no primeiro ano de vida; o acometimento de músculos da língua e faringe causa perda da capacidade de sucção ao mamar e disfagia, o que pode causar deficiência nutricional e risco de broncopneumonias de repetição. Crianças com AME tipo 1 podem necessitar de suporte nutricional via tubo gástrico. O acometimento da musculatura bulbar causa também fasciculações na língua, e pacientes com AME podem apresentar constipação intestinal; caso não sejam tomadas ações de tratamento, cerca de 68% dos pacientes morrem antes dos dois anos; e 84% antes dos quatro anos de idade. A adoção de cuidados respiratórios e nutricionais proativos pode reduzir a mortalidade antes dos 2 anos para 30% ¹.

III – CONCLUSÃO

1. Inicialmente, resgata-se que no Parecer Técnico/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL nº 0158/2021 (Evento 18_PARECER1, págs. 1 a 8), no item 8 da Conclusão, foi destacado que nos documentos médicos apresentados não constava informação sobre o fenótipo (tipo) de atrofia muscular apresentado pela Autora. Assim, para inferir com maior precisão acerca da disponibilização do medicamento pleiteado pela via administrativa, este Núcleo sugeriu emissão de novo documento médico.

2. Neste sentido, foram acostados ao processo novos documentos médicos (Evento 30_LAUDO2, págs. 1 e 2). No documento acostado (Evento 30_LAUDO2, pág. 1), consta que a Autora “...é portadora de atrofia espinal progressiva AME tipo 1, tem o gene SMN 1 inativo, em uso do BIPAP 24 horas, possui traqueostomia e gastrostomia...não preenche os critérios para livre acesso ao medicamento”.

3. Diante do exposto, informa-se que o pleito Nusinersena 12mg/5mL, trata-se de medicamento com indicação em bula³ para tratamento da atrofia muscular espinal 5q (AME)² (**AME**), doença que acomete o Autora.

4. No que tange à disponibilização pelo SUS, o Nusinersena 12mg/5mL é disponibilizado pela Secretaria de Estado de Saúde do Rio de Janeiro (SES/RJ), por meio do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (CEAF), para o tratamento da atrofia muscular espinal (AME) 5q, do tipo I, conforme disposto na Portaria Nº 24 de 24 de abril de

¹ IQVIA. Guia de discussão sobre a Atrofia Muscular Espinal (AME) no Brasil.

<https://br.biogen.com/content/dam/corporate/pt_BR/refresh_images/Livro_Brasil_novembro2019.pdf>. Acesso em: 07 mai. 2021.

² Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza[®]) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Spinraza>>. Acesso em: 06 mai. 2021.



2019, que aprova a sua incorporação,³ e conforme os critérios previstos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I⁴.

5. De acordo com os **critérios** do referido PCDT⁴, serão incluídos e excluídos deste Protocolo as seguintes condições:

- **Critérios de inclusão:**

- ✓ Diagnóstico confirmado de AME 5q tipo 1B/C,
- ✓ Pré-sintomáticos: crianças com histórico familiar de AME, diagnóstico genético confirmado de AME 5q e presença de até três cópias de SMN2.
- ✓ Sintomáticos: crianças com diagnóstico genético confirmado de AME 5q, presença de até três cópias de SMN2 e início dos sintomas até o sexto mês de vida.
- ✓ Deverá apresentar condições de nutrição e hidratação adequadas, com ou sem gastrostomia, pesando, pelo menos, o terceiro percentil de peso corporal para a idade e estando com o calendário de vacinação em dia.

- **Critérios de exclusão:**

- ✓ Necessidade de ventilação mecânica invasiva permanente, entendida como 24 horas de ventilação/dia, continuamente, por ≥ 21 dias;
- ✓ Sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com o subtipo 1A ou 0; ou seja, manifestações clínicas presentes ao nascimento ou na primeira semana após o nascimento;
- ✓ Sinais ou sintomas de AME 5q compatíveis com os subtipos II, III ou IV; ou seja, surgimento de manifestações clínicas após os seis meses de idade e controle cefálico presente; e
- ✓ Para o uso de Nusinersena, história de doença cerebral ou da medula espinhal que impeça a administração intratecal de medicamento ou a circulação do líquido cefalorraquidiano, presença de derivação implantada para drenagem do líquido cefalorraquidiano ou de cateter de sistema nervoso central implantado ou Hipersensibilidade à substância ativa ou a qualquer um dos excipientes.

6. Diante o exposto, cumpre esclarecer que, embora tenha sido informado o tipo da atrofia muscular (fenótipo) - AME tipo 1, que qualifica o acesso no SUS, foi acrescentado no último documento médico que a Autora **não preenche os critérios para livre acesso ao medicamento. Considerando que não foram detalhados quais os critérios que, segundo o médico, excluem a Autora da realização do cadastro, este Núcleo ficou impedido de realizar inferência integral sobre a possibilidade de acesso no SUS do medicamento Nusinersena.** Assim, sugere-se que o médico assistente informe, conforme o PCDT, quais os critérios que excluem a Autora do acesso.

³ 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: 26 fev. 2021.

⁴ 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>. Acesso em: 06 mai. 2021.



**GOVERNO DO ESTADO
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica

Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

7. Por fim, quanto ao preço do medicamento pleiteado, reitera-se o exposto no item 16 da Conclusão do PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0158/2021, emitido em 01 de março de 2021 (18_PARECER1, págs. 1 a 8).

É o parecer.

**À 23ª Vara Federal do Rio de Janeiro, 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

MARCIA LUZIA TRINDADE

MARQUES

Farmacêutica

CRF- RJ 13615

Mat. 5.004.792-2

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