



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS – FEDERAL Nº 0429/2021**

Rio de Janeiro, 14 de maio de 2021.

Processo nº 5020377-97.2021.4.02.5101,  
ajuizado por [REDACTED]

O presente parecer visa atender a solicitação de informações técnicas da **28ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Nusinersena** (Spinraza®).

**I – RELATÓRIO**

1. Acostado às folhas (Evento 9\_PARECER1\_Páginas 1 a 6), encontra-se PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS – FEDERAL Nº 0261/2021, no qual foram prestados esclarecimentos quanto às legislações vigentes, à condição clínica da Autora (atrofia muscular espinhais), à indicação de uso e ao fornecimento do medicamento aqui pleiteado Nusinersena (Spinraza®).

2. Em seguida, foi apensado novo laudo médico (Evento 14\_LAUDO2\_Página 1), em impresso próprio, emitido em 07 de maio de 2021 por [REDACTED] no qual foi informado que a Autora apresenta **atrofia muscular espinhal tipo 3** e reitera a indicação de uso do medicamento **Nusinersena** (Spinraza®).

**II – ANÁLISE**

**DA LEGISLAÇÃO/ DO PLEITO**

Conforme abordado em PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS – FEDERAL Nº 0261/2021 (Evento 9\_PARECER1\_Páginas 1 a 6).

**DO QUADRO CLÍNICO**

Em complemento ao PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS – FEDERAL Nº 0261/2021 (Evento 9\_PARECER1\_Páginas 1 a 6):

1. A **AME tipo III**, também chamada de **AME juvenil** ou **doença de Kugelberg-Welander**) aparece após os 18 meses, porém a idade de início varia muito. De acordo com Wirth et al.<sup>10</sup>, o aparecimento da doença antes dos 3 anos de idade é classificado como AME tipo IIIa, enquanto que, após essa idade, é reconhecido 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 mesma idade permanecem com essa habilidade durante a vida toda<sup>11</sup>. Dificuldades de engolir, tossir



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

ou hipoventilação noturna são menos frequentes do que nos pacientes com o tipo II, mas podem ocorrer. Com o passar dos anos, esses indivíduos podem desenvolver escoliose. A principal característica desses pacientes é que eles conseguem andar independentemente, e a expectativa de vida é indefinida<sup>1</sup>.

### **III – CONCLUSÃO**

1. Inicialmente, ressalta-se que, em novo laudo acostado aos autos (Evento 14\_LAUDO2\_Página 1), a médica assistente esclarece que a Autora apresenta doença do neurônio motor e o estudo genético realizado em 2017 evidenciou variante patogênica no gene SNM1, relacionada ao fenótipo de **Atrofia Muscular Espinhal tipo 3** (Locus: 5q13.2). Além disso, reiterou que está indicado o uso do medicamento **Nusinersena** (Spinraza<sup>®</sup>).
2. Diante do exposto, informa-se que o pleito Nusinersena 12mg/5mL possui **indicação em bula**<sup>3</sup> para tratamento da **atrofia muscular espinhal 5q (AME)**, doença que acomete a Autora.
3. No que tange à disponibilização pelo SUS, o Nusinersena 12mg/5mL é **fornecido** 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 espinhal (AME) 5q, **apenas do tipo I**, conforme disposto na Portaria N° 24 de 24 de abril de 2019, que aprova a sua incorporação,<sup>2</sup> e conforme os critérios previstos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q **tipo I**<sup>4</sup>. Contudo, a Autora possui AME do **tipo III**.
4. Por conta disso, a dispensação do medicamento Nusinersena 12mg/5mL, ainda **não está contemplada** para o tipo de AME apresentada pela Autora, conforme as políticas públicas supracitadas.
5. Salienta-se que este Núcleo **não identificou PCDT**,<sup>3</sup> publicado ou em elaboração,<sup>4</sup> para atrofia muscular espinhal (AME) **tipo III**. Portanto, ainda não há listas de tratamentos a serem recomendados nestas circunstâncias.
6. Cabe acrescentar que a AME 5q é uma doença rara, caracterizada pela degeneração dos neurônios motores, e para AME 5q no **tipo III**, o início do aparecimento dos sintomas ocorre entre 18 meses e a idade adulta, ou seja, de forma tardia. Geralmente, os portadores do tipo III conseguem ficar em pé ou andar sem apoio, embora muitos percam essas habilidades posteriormente, com a progressão da doença. Possuem a mesma expectativa de vida da população geral, mas com considerável fraqueza neuromuscular e

<sup>1</sup> BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R.; *et al.* Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. *Jornal Pediátrico*, v. 86, n. 4, 2010. Disponível em: <[http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci\\_arttext&pid=S0021-75572010000400004](http://www.scielo.br/scielo.php?script=sci_arttext&pid=S0021-75572010000400004)>. Acesso em: 11 mai. 2021.

<sup>2</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Portaria N° 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.

<sup>3</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 11 mai. 2021.

<sup>4</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao>>. Acesso em: 11 mai. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

heterogeneidade de sintomas e manifestações clínicas. Atualmente, não há tratamento medicamentoso incorporado ao SUS específico para o tratamento da AME 5q tipos II e III.<sup>5</sup>

7. Quanto à avaliação pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC), em relatório preliminar mais recente, considerou-se que dado o elevado custo do medicamento e seu uso por toda vida, as evidências de ganhos em escalas de função motora não foram valoradas como suficientes, sendo imprescindíveis estudos com dados mais robustos, demonstrando benefícios mais claros e segurança em longo prazo. Assim, em 04 de fevereiro de 2021, deliberaram, por recomendar a não incorporação do Nusinersena para o tratamento de AME 5q tipos II e III (início tardio). Contudo, até o momento a Portaria não foi publicada e foi designada uma Audiência Pública, realizada em março/2021.<sup>7</sup>

8. Segundo o Relatório de recomendação inicial e recomendação final após apreciação das contribuições encaminhadas pela Consulta Pública, com base no custo do tratamento e nas evidências disponíveis sobre eficácia e segurança de pacientes portadores de AME 5q tipo II e III (caso da Autora) serem mais incipientes, tal medicamento não foi aprovado para uso nessas duas populações.

9. Neste sentido, em consulta ao sítio eletrônico da CONITEC, o Nusinersena apresenta o seguinte status: "aguarda decisão do secretário"<sup>6</sup>.

10. Impende ressaltar que foi publicada a Portaria GM nº 1.297, de 11 de junho de 2019, a qual instituiu projeto piloto de acordo de compartilhamento de risco para incorporação de tecnologias em saúde, para oferecer acesso ao medicamento Spinraza (Nusinersena) para o tratamento da Atrofia Muscular Espinhal (AME 5q) tipos II e III no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS. Tal portaria institui que 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 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>7</sup>.

<sup>5</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Relatório de Recomendação nº 595/2021 - Nusinersena para tratamento da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo II e III (início tardio). Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Audiencias\\_Publicas/RelatorioRecomendacaoConitec\\_Nusinersena\\_AMEIIeIII.pdf](http://conitec.gov.br/images/Audiencias_Publicas/RelatorioRecomendacaoConitec_Nusinersena_AMEIIeIII.pdf)> Acesso em: 11 mai. 2021.

<sup>6</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: 06 mai. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

11. Ressalta-se que o laboratório fabricante do medicamento, Biogen, publicou uma carta aberta à comunidade de AME, em agosto/2020, informando que *“não foi encontrada solução que viabilizasse a aquisição e dispensação do nusinersena para atender aos pacientes com Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipos II e III, tal como originalmente planejado. A orientação é que a Biogen faça uma nova submissão à Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS (Conitec)”*.<sup>8</sup>

12. Neste sentido, em consulta ao sítio eletrônico da CONITEC, o Nusinersena, ainda se encontra em avaliação para tratamento de Atrofia muscular espinhal (AME) 5q tipos 2 e 3, com última solicitação de incorporação em 25/09/2020, pelo fabricante, e com status “aguarda decisão do secretário”<sup>9</sup>.

13. Insta ainda dizer que, considerando que a doença do Autor constitui doença rara, neste contexto, o Ministério da Saúde 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 tal política<sup>10</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.

14. Ademais, 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<sup>10</sup>.

15. No que concerne ao valor do medicamento Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza<sup>®</sup>), 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>11</sup>.

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

<sup>8</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-a-z/atrofia-muscular-espinhal-ame>>. Acesso em: 11 mai. 2021.

<sup>9</sup> Informações disponíveis em: [https://brasil.estadao.com.br/blogs/vencer-limites/wp-content/uploads/sites/189/2020/08/biogen-carta-aberta-a-comunidade-de-ame-agosto2020-final-1\\_270820203718.pdf](https://brasil.estadao.com.br/blogs/vencer-limites/wp-content/uploads/sites/189/2020/08/biogen-carta-aberta-a-comunidade-de-ame-agosto2020-final-1_270820203718.pdf)

<sup>10</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: 06 mai. 2021.

<sup>11</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <[http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/pr0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/pr0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 06 mai. 2021.

<sup>12</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: 06 mai. 2021.

<sup>13</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: 11 mai. 2021.



**GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

17. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o medicamento em questão possui o seguinte menor preço de fábrica (PF) – R\$ 440.453,64 e o menor preço de venda ao governo (PMVG) – R\$345.623,97, consultados para o ICMS 20%<sup>13</sup>.

**É o parecer.**

**À 28ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**LEOPOLDO JOSÉ DE OLIVEIRA NETO**  
Farmacêutico  
CRF-RJ 15023

**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>13</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmed/precos/capa-listas-de-precos>>. Acesso em: 11 mai. 2021.