



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0574/2021**

Rio de Janeiro, 22 de junho de 2021.

Processo nº 5002149-59.2021.4.02.5106,  
ajuizado

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **2ª Vara Federal** de Petrópolis, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Nusinersena 2,4mg/mL** (Spinraza®).

**I – RELATÓRIO**

1. Apensando ao autos no Evento 8\_PARECER1, encontra-se o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0288/2019, emitido em 05 de abril de 2019, para o processo nº 5000644-04.2019.4.02.5106, no qual foram esclarecidos os aspectos relativos às legislações vigentes, ao quadro clínico que acomete o Autor AME, e quanto a indicação e disponibilização do medicamento **Nusinersena 12mg/5ml**.
2. De acordo com laudo médico (Evento 1\_LAUDO2, págs. 1) emitido em 10 de março de 2021, pelo neurologista  o Autor é portador de **amiotrofia espinhal** em programa terapêutico para uso de **Nusinersena 12mg/5ml** intratecal, realizando o primeiro bloco terapêutico das doses iniciais e 01 dose de manutenção no dia 03 de março de 2021, com programação para realizar as doses de manutenção a cada 04 meses. Foi relatado que o Autor apresentou melhora importante no ganho de força muscular, sendo importantíssimo para a qualidade de vida do paciente a manutenção do tratamento. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.0 Atrofia muscular espinhal infantil tipo I [Werdnig-Hoffman]**.

**II – ANÁLISE**

**DA LEGISLAÇÃO**

**Em atualização ao PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0288/2019**

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



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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 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).

5. 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.

6. 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.

7. 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. A **Atrofia Muscular Espinhal (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<sup>1</sup>.

2. 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

<sup>1</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: 16 jun. 2021.





GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

de idade. A adoção de cuidados respiratórios e nutricionais proativos pode reduzir a mortalidade antes dos 2 anos para 30%<sup>2</sup>.

### DO PLEITO

1. **Nusinersena** (Spinraza<sup>®</sup>) é um oligonucleotídeo anti-senso ou anti-sentido que permite a inclusão do exon 7 durante o processamento do RNA mensageiro de SMN2, transcrito a partir do DNA (gene SMN2). Está indicado para o tratamento da atrofia muscular espinhal 5q (AME)<sup>3</sup>.

### III – CONCLUSÃO

1. Em síntese, após o PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL N° 0288/2019, emitido em 05 de abril de 2019, para o processo n° 5000644-04.2019.4.02.5106, cumpre dizer que, trata-se de Autor portador de **Atrofia Muscular Espinhal (AME) tipo I**, em programa terapêutico para uso de Nusinersena 12mg/5mL intratecal, com programação para realizar as doses de manutenção a cada 04 meses – próximas doses: 07 de julho e 10 de novembro de 2021.

2. Diante do exposto, informa-se que o pleito medicamento Nusinersena 2,4mg/mL (Spinraza<sup>®</sup>) possui indicação em bula<sup>2</sup> para tratamento da atrofia muscular espinhal infantil tipo I (AME), doença que acomete o Autor.

3. 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 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>4</sup> e conforme os critérios previstos no Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipo I<sup>1</sup>.

4. De acordo com os **critérios** do referido PCDT<sup>4</sup>, 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.

<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: 07 mai. 2021.

<sup>3</sup>Bula do medicamento Nusinersena (Spinraza<sup>®</sup>) por Biogen Brasil Produtos Farmacêuticos Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=Spinraza>>. Acesso em: 16 jun. 2021.

<sup>4</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: 16 jun. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

• **CrITÉrios de exclusão:**

- ✓ Necessidade de ventilação mecânica invasiva permanente, entendida como 24 horas de ventilação/dia, continuamente, por  $\geq 21$  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.

5. 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, **não foram detalhados os critérios mencionados no item 4, 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 o Autor ou enquadrem, no acesso.**

6. 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>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. 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>. Assim, para AME 5q, já foram publicadas as políticas supracitadas.

8. No que concerne ao valor do medicamento Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza®), 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>6</sup>.

9. De acordo com publicação da CMED<sup>7</sup>, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os

<sup>5</sup>BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível:

<[http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 16 jun. 2021.

<sup>6</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: 16 jun. 2021.

<sup>7</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: 16 jun. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
RIO DE JANEIRO

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

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.

10. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, o Nusinersena 12mg/5mL (Spinraza<sup>®</sup>) possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 428060,46 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 341598,20, para o ICMS 20%<sup>8</sup>.

11. Quanto a aplicação, informa-se que a bula do medicamento prevê a aplicação inicial **via intratecal**. Assim, recomenda-se que a aplicação (via intratecal) do medicamento Nusinersena (Spinraza<sup>TM</sup>), considerando a natureza da doença da Autora, amiotrofia espinhal, seja realizado pelo Serviço de Neurologia/ Neurocirurgia das Unidades de Saúde pertencente ao SUS. Neste sentido, em consulta ao Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde – CNES, verificou-se que no município do Rio de Janeiro algumas unidades (ANEXO)<sup>9</sup> possuem esta especialidade em sua carteira de Serviço.

12. Elucida-se que, para que o Autor receba o atendimento na referida especialidade, Neurologia, no âmbito do SUS, caso haja acesso ao medicamento pleiteado, sugere-se que a representante legal do Autor compareça em sua Unidade Básica de Saúde de referência, munida de documento médico atualizado, com a solicitação do atendimento indicado, a fim de que o Autor seja referenciado para uma das unidades habilitadas no referido Serviço de Atenção em Neurologia/Neurocirurgia no âmbito do SUS, para o atendimento da sua condição clínica.

**É o parecer.**

**A 2ª Vara Federal de Petrópolis, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

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>8</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/cmmed/precos/arquivos/lista\\_conformidade\\_2021\\_04\\_v1.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_2021_04_v1.pdf)>. Acesso em: 16 jun. 2021.

<sup>9</sup> Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde – CNES. Serviço de Atenção em Neurologia / Neurocirurgia. Disponível em: <[http://cnes2.datasus.gov.br/Mod\\_Ind\\_Especialidades\\_Listar.asp?VTipo=105&VListar=1&VEstado=33&VMun=330455&VComp=00&VTerc=00&VServico=105&VClassificacao=00&VAmbu=&VAmbuSUS=1&VHosp=&VHospSus=1](http://cnes2.datasus.gov.br/Mod_Ind_Especialidades_Listar.asp?VTipo=105&VListar=1&VEstado=33&VMun=330455&VComp=00&VTerc=00&VServico=105&VClassificacao=00&VAmbu=&VAmbuSUS=1&VHosp=&VHospSus=1)>. Acesso em: 22 jun. 2021.



GOVERNO DO ESTADO  
**RIO DE JANEIRO**

Subsecretaria Jurídica  
Núcleo de Assessoria Técnica em Ações de Saúde

**ANEXO**

Ministério da Saúde

**CNESNet**  
Secretaria de Atenção à Saúde  
DATASUS

Cadastro Nacional de Estabelecimentos de Saúde

Home Institucional Serviços Relatórios Consultas

**Indicadores - Serviços Especializados**

Estado: RIO DE JANEIRO  
Município: RIO DE JANEIRO  
Tipo de Serviço:  
Serviço Especializado: SERVIÇO DE ATENÇÃO EM NEUROLOGIA / NEUROCIRURGIA  
Classificação:

Atendimento  
Ambulatorial Hospitalar  
 SUS  Não SUS  SUS  Não SUS

Existem 14 registros na tabela - Mostrando página 1 de 1

CNES	Estabelecimento	CNPJ	CNPJ Mantenedora
2295415	HOSPITAL UNIVERSITARIO GAFFREE E GUINLE	34023077000280	34023077000107
2269800	MS HGB HOSPITAL GERAL DE BONSUCESSO	00394544020291	
2269775	MS HOSPITAL DE IPANEMA	00394544021000	
2273659	MS HOSPITAL FEDERAL DA LAGOA	00394544020453	
2269988	MS HSE HOSPITAL DOS SERVIDORES DO ESTADO	00394544021182	
2273454	MS INCA HOSPITAL DO CANCER I		00394544017150
2269392	POLICLINICA PIQUET CARNEIRO		33540014000157
7267975	SFS RJ INSTITUTO ESTADUAL DO CEREBRO PAULO NIEMEYER		42498717000155
2270234	SESDC RJ HOSPITAL ESTADUAL GETULIO VARGAS	42498717000317	42498717000155
2280183	SMS HOSPITAL MUNICIPAL SOUZA AGUIAR AP 10	29468055000293	29468055000102
2269341	SMS RIO HOSPITAL MUNICIPAL JESUS	29468055000889	29468055000102
2296306	SMS RIO HOSPITAL MUNICIPAL SALGADO FILHO	29468055000455	29468055000102
2269783	UERJ HOSPITAL UNIV PEDRO ERNESTO	33540014001714	33540014000157
2280167	UFRJ HOSPITAL UNIVERSITARIO CLEMENTINO FRAGA FILHO	33663683005347	33663683000116

6