



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0203/2022

Rio de Janeiro, 14 de março de 2022.

Processo nº 5000630-82.2022.4.02.5116,
ajuizado por [REDACTED]
neste ato representada por [REDACTED]
[REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **1ª Vara Federal** de Macaé, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]).

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração do presente parecer técnico foram analisados os documentos médicos mais recentes anexados aos autos.

2. De acordo com os documentos médicos emitidos em impresso próprio por [REDACTED] em 25 de fevereiro de 2022 (Evento 1_LAUDO12_Páginas 1/3 e Evento 1_LAUDO13_Página 1), a Autora, 5 anos, tem diagnóstico de **acondroplasia** confirmada por exame genético que identificou a presença de mutação no gene receptor para fator de crescimento de fibroblasto tipo 3 (FGFR3), com mudança do aminoácido glicina para arginina.

3. A suspeita clínica ocorreu durante o pré-natal, na ecografia de terceiro trimestre, através de alterações como encurtamento de membros. Após o nascimento evoluiu com complicações relacionadas à **acondroplasia**, apresentando hipotonia, atraso do desenvolvimento neuropsicomotor e hiperreflexia. Necessitou de neurocirurgia para descompressão de transição crânio-cervical. Em avaliação ortopédica, foi evidenciado deformidades em coluna e membros inferiores. Há dimorfismos faciais com protuberância frontal, desproporção craniofacial, hipoplasia de face média e ponte nasal achatada. Também se observa lordose e *geno varum*.

4. Desse modo, a Autora tem indicação de tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) com urgência, uma vez que seus ossos ainda estão crescendo. Foi prescrito o seguinte esquema posológico - **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo[®]) – 1 frasco/dia. Reconstituir 1 frasco em 0,7mL de água para injetáveis e aplicar 0,35mL dessa solução, por via subcutânea, 01 vez ao dia, todos os dias. Peso da Autora: 15kg. Foi citada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **Q77.4 – Acondroplasia**.

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).
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 Macaé, em consonância com as legislações supramencionadas, esse definiu o seu elenco de medicamentos, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais – REMUME – Macaé 2017.
9. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, Anexo XXXVIII, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras e as Diretrizes para a Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras no SUS. Para efeito deste Anexo, considera-se doença rara aquela que afeta até 65 pessoas em cada 100.000 indivíduos, ou seja, 1,3 pessoas para cada 2.000 indivíduos.

DO QUADRO CLÍNICO

1. A **acndroplasia** é a forma mais comum de displasia esquelética em humanos. É uma doença genética autossômica dominante causada por mutações genéticas, e apesar da incidência ao nascimento ser incerta estima-se que a ocorrência seja de um em cada 10.000 e um em 30.000 nascimentos, e acomete cerca de 250.000 pessoas em todo o mundo. Clinicamente a **acndroplasia** é caracterizada pelo tronco longo e estreito, os membros são curtos, principalmente na região proximal (rizomélico), a cabeça é grande com protuberância frontal e a porção medial da face é hipoplásica. Observa-se hiperextensão das articulações, principalmente de joelho e mãos, que também são curtas e apresentam os dedos largos. Na infância é comum a criança apresentar uma hipotonia leve a moderada, em muitos casos a hipotonia é secundária à compressão da medula espinhal na região cervical, que contribui para o atraso do



desenvolvimento motor. O estreitamento do forame magno e a estenose espinhal são relativamente comuns e frequentemente requerem correções neurocirúrgicas¹.

DO PLEITO

1. **Vosoritida** (Voxzogo[®]) é indicado para o tratamento da acondroplasia em pacientes com idade igual ou superior a 2 anos, cujas epífises não estão fechadas. O diagnóstico de acondroplasia deve ser confirmado por testes genéticos apropriados².

III – CONCLUSÃO

1. Trata-se de Autora, 5 anos, com diagnóstico de **acondroplasia** confirmada por exame genético, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) com urgência.

2. Em tal caso, informa-se que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **possui indicação prevista**² para o quadro clínico da Autora, conforme relato médico – **acondroplasia** confirmada por exame genético (Evento 1_LAUDO12_Páginas 1/3).

3. No que tange à disponibilização do medicamento no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, destaca-se que a **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação, no âmbito do Município de Macaé e do Estado do Rio de Janeiro.

4. Elucida-se que o medicamento pleiteado, teve seu registro aprovado recentemente pela Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA em 29 de novembro de 2021³.

5. Em continuidade, informa-se que até o presente momento, a **Vosoritida** (Voxzogo[®]) **não foi avaliada** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, para o tratamento da **acondroplasia**⁴, bem como **não há Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas (PCDT)**⁵ – **publicado, em elaboração**⁶ ou **em atualização para referida condição** e, portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possam ser implementadas nestas circunstâncias.

¹ BRASIL. Ministério da Mulher, da Família e dos Direitos Humanos. Secretaria Nacional dos Direitos da Criança e do Adolescente. Secretaria Nacional dos Direitos da Pessoa com Deficiência. Diagnóstico no SUS e primeiros cuidados numa perspectiva multiprofissional. Disponível em: <<https://www.gov.br/mdh/pt-br/navegue-por-temas/crianca-e-adolescente/acoes-e-programas/DIAGNOSTICONOSUSEPRIMEIROSCUIDADOSNUMAPERSPECTIVAMULTIPROFISSIONAL.pdf>>. Acesso em: 11 mar. 2022.

² Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin International Limited. Disponível em: <https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/voxzogo-epar-product-information_pt.pdf>. Acesso em: 11 mar. 2022.

³ MINISTÉRIO DA SAÚDE. Agência Nacional de Vigilância Sanitária – ANVISA Voxzogo (vosoritida): novo registro. Disponível em: <<https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/novos-medicamentos-e-indicacoes/voxzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 11 mar. 2022.

⁴ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 11 mar. 2022.

⁵ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 11 mar. 2022.

⁶ 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 mar. 2022.



6. Acrescenta-se que a **acondroplasia** é uma doença genética rara. Nesse sentido, 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 a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras⁷ 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. Contudo, a acondroplasia não está mencionada na referida Política⁸.

8. Em atendimento ao Despacho/decisão Judicial (Evento 4), ressalta-se que, até a presente data, não existem medicamentos fornecidos no âmbito do SUS aptos a substituir o fármaco pleiteado – **Vosoritida** (Voxzogo[®]), no tratamento da **acondroplasia**.

9. A **Vosoritida** (Voxzogo[®]) está contraindicada a pacientes que apresentam hipersensibilidade à(s) substância(s) ativa(s) ou a qualquer um dos excipientes que compõem o medicamento².

10. No que concerne ao valor, no Brasil, para um medicamento ser comercializado 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)⁹.

11. De acordo com publicação da CMED¹⁰, 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.

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se¹¹.

⁷ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsm.sau.br/bvsm/sau/legis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 11 mar. 2022.

⁸ 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>. Acesso em: 11 mar. 2022.

⁹ 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: 11 mar. 2022.

¹⁰ 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>. Acesso em: 11 mar. 2022.

¹¹ 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/cmcd/precos>>. Acesso em: 11 mar. 2022.



- **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo[®]) – possui preço de fábrica correspondente a R\$ 57.670,01 e, preço máximo de venda ao governo correspondente a R\$ 45.253,66 (caixa com 10 frascos).

É o parecer.

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

GABRIELA CARRARA

Farmacêutica
CRF- RJ 21.047
ID:5083037-6

MARCELA MACHADO DURAÓ

Assistente de coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02