



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL N° 0261/2022

Rio de Janeiro, 30 de março de 2022.

Processo n° 5020361-12.2022.4.02.5101,
ajuizado por [REDACTED],
neste ato representada por [REDACTED]

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **5ª Vara Federal** de São João de Meriti, 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 do Instituto Nacional Fernandes Figueira, emitidos em 16 de março de 2022 por [REDACTED] - (Evento 1_LAUDO17_Páginas 1/3 e Evento 1_RECEIT18_Página 1), o Autor, apresenta uma síndrome malformativa associada ao nanismo tipo **acondroplasia** confirmada pelo estudo radiológico; e, estudo molecular revelando presença de mutação G380R no gene receptor para fator de crescimento de fibroblasto tipo 3 (FGFR3),
3. A doença do Autor é geneticamente determinada; tendo como consequência, uma baixa estatura extrema; grande desproporção dos membros, tanto superiores como inferiores; alcance e acessibilidade prejudicadas; entre outras dificuldades de acessibilidade frequentes na comunidade para pessoas com nanismo.
4. Desse modo, o Autor tem indicação de tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo®) de acordo com a prescrição acostada. 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 n° 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução n° 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. 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. Em síntese, trata-se de Autor, 8 anos, com diagnóstico de **acondroplasia**, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]).

2. Em tal caso, informa-se que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo[®]) possui indicação prevista² para o quadro clínico do Autor, conforme relato médico – **acondroplasia** (Evento 1_LAUDO17_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 São João de Meriti 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 para referida condição e, portanto, não há lista oficial de medicamentos que possam ser implementadas nestas circunstâncias.

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

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: 29 mar. 2022.

² Informações sobre o medicamento Vosoritida (Voxzogo[®]) por BioMarin International Limited. Disponível em: <https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/vozzogo-epar-product-information_pt.pdf>. Acesso em: 29 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/vozzogo-vosoritida-novo-registro>>. Acesso em: 29 mar. 2022.

⁴ Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 29 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: 29 mar. 2022.



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 Raras⁶ 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 Política⁷.

8. Em atendimento ao Despacho/decisão Judicial (Evento 13), 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)⁸.

11. De acordo com publicação da CMED⁹, 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-se¹⁰.

⁶ BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsmis.saude.gov.br/bvsmis/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 29 mar. 2022.

⁷ 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_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 29 mar. 2022.

⁸ 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/cmmed/apresentacao>>. Acesso em: 29 mar. 2022.

⁹ 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: 29 mar. 2022.

¹⁰ 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>>. Acesso em: 29 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 5ª Vara Federal de São João de Meriti, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

FERNANDO ANTÔNIO DE ALMEIDA GASPAR

Médico

CRM/RJ 52.52996-3

ID. 3.047.165-6

GLEICE GOMES T. RIBEIRO

Farmacêutica

CRF-RJ 13.253

Matr: 5508-7

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