



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NAT – FEDERAL Nº 0272/2022**

Rio de Janeiro, 01 de abril de 2022.

Processo nº 5000091-44.2022.4.02.5140,  
ajuizado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **28ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com o formulário médico em impresso da Defensoria Pública da União – Câmara de Resolução de Litígios de Saúde (Evento 1\_OUT2\_Página 15/19), datado de 10 de março de 2021 e documento médico do Hospital Universitário Gaffrée e Guinle (Evento 1\_OUT2\_Página 20) de 16 de setembro de 2021, ambos emitidos pela neurologista  o Autor tem o diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal tipo 3**. Atualmente, está dependente de cadeira de rodas, além de apresentar comprometimento e pouca mobilidade dos membros superiores e inferiores, evidenciando a progressão da doença e **escoliose grave**. Foi prescrito, o medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi®) na posologia de **5mg via oral diariamente** por tempo indeterminado para estabilização do quadro clínico e recuperação dos marcos de funcionalidade. Foi mencionada a seguinte Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.0 – Atrofia muscular espinhal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman)**.

**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. A Resolução SMS nº 3733 de 14 de junho de 2018, definiu o elenco de medicamentos, saneantes, antissépticos, vacinas e insumos padronizados para uso nas unidades da Secretaria Municipal de Saúde do Rio de Janeiro, compreendendo os Componentes Básico, Hospitalar, Estratégico e Básico e Hospitalar, a saber, Relação Municipal de Medicamentos Essenciais no âmbito do Município do Rio de Janeiro (REMUME-RIO), em consonância com as legislações supramencionadas.
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.

## DA PATOLOGIA

1. A **atrofia muscular espinhal (AME 5q)** é uma doença neurodegenerativa, rara, com herança genética autossômica recessiva e apresenta uma incidência de aproximadamente 1 em cada 10.000 nascimentos. A doença é causada por uma deleção ou mutação homozigótica do gene 1 de sobrevivência do motoneurônio (SMN<sub>1</sub>), localizado na região telomérica do cromossomo 5q, sendo que o número de cópias de um gene semelhante a ele (SMN<sub>2</sub>), localizado na região centromérica, é o principal determinante da severidade da doença. Essa alteração genética no gene SMN<sub>1</sub> é responsável pela redução dos níveis da proteína de sobrevivência do motoneurônio (SMN). O gene SMN<sub>2</sub> não compensa completamente a ausência da expressão do SMN<sub>1</sub> porque produz apenas 25% da proteína SMN. A falta da proteína SMN leva à degeneração de motoneurônios alfa ( $\alpha$ ) localizados no corno anterior da medula espinhal, o que resulta em fraqueza e paralisia muscular proximal progressiva e simétrica. A doença é classificada conforme a gravidade e a época do início dos sintomas em pelo menos quatro subtipos principais: severa (tipo I, AME aguda ou doença de Werdnig-Hoffmann); intermediária (tipo ii ou ame crônica); **branda (tipo 3, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander)**; e tipo IV (AME adulta). A mortalidade e a morbidade são relacionadas diretamente com a idade do início das manifestações<sup>1,2</sup>.

<sup>1</sup> BAIONI M.T.C., AMBIEL C.R., ET AL, Atrofia muscular espinhal: diagnóstico, tratamento e perspectivas futuras. J Pediatr. (Rio J) Vol 86, no4 Porto Alegre July/Aug. 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: 01 abr. 2022

<sup>2</sup> ZANOTELI, P. et al. Atrofia Muscular Espinhal (AME) - Diagnóstico e aconselhamento genético. Projeto Diretrizes. Associação Médica Brasileira (AMB). Disponível em: <<https://amb.org.br/wp-content/uploads/2021/08/ATROFIA-MUSCULAR-ESPINHAL-FINAL-01.02.2021.pdf>>. Acesso em: 01 abr. 2022.



2. A AME **tipo 3, AME juvenil ou doença de Kugelberg-Welander**, possui um quadro clínico mais brando, com início das manifestações ocorrendo após 18 meses de vida. Clinicamente, caracteriza-se por fraqueza e atrofia muscular das porções proximais dos membros, hipotonia, e arreflexia tendínea profunda. Os pacientes chegam a deambular em algum momento da vida. A marcha tem um padrão anserina devido a fraqueza proximal nos membros inferiores, e usualmente observa-se o sinal de *Gowers*. Disfunção bulbar é mínima e ocorre tardiamente no curso da doença. Apesar do curso mais benigno do **tipo 3**, observa-se uma piora lentamente progressiva do quadro motor podendo ocorrer perda da capacidade para marcha na evolução da doença, embora a sobrevida seja próxima da normalidade<sup>2</sup>.

### **DO PLEITO**

1. **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) é um modificador do *splicing* (maturação) do pré-mRNA de sobrevivência do neurônio motor 2 (SMN2) desenvolvido para tratar a atrofia muscular espinhal (AME) causada por mutações no gene SMN1 presente no cromossomo 5q que levam à deficiência na síntese da proteína SMN. A deficiência na proteína SMN funcional é o mecanismo fisiopatológico de todos os tipos de AME. **Risdiplam** aumenta e mantém os níveis funcionais da proteína SMN. Está indicado para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME)<sup>3</sup>.

### **III – CONCLUSÃO**

1. Refere-se a Autor com diagnóstico clínico e molecular de **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3 e escoliose grave**. Apresenta solicitação médica para tratamento com **Risdiplam 5mg** (Evrysdi<sup>®</sup>). Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G12.0 – Atrofia muscular espinal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman)**.

2. Diante do exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi<sup>®</sup>) **está indicado em bula**<sup>3</sup> para tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor – **atrofia muscular espinhal**.

3. Destaca-se que o medicamento Risdiplam foi avaliado pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias (CONITEC) para o tratamento de pacientes com atrofia muscular espinhal (AME) dos tipos 1, 2 e 3, com as seguintes decisões vigentes:

- Portaria SCTIE/MS nº 19 de 14 de março de 2022 – incorpora, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, o Risdiplam para o tratamento de atrofia muscular espinhal (AME) tipo 1<sup>4</sup>.
- Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022 – incorpora o Risdiplam para o tratamento da **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 2**, e **não incorpora o Risdiplam** para o tratamento da **atrofia muscular espinhal (AME) tipo 3a, no âmbito do SUS**<sup>5</sup>.

3 ANVISA. Bula do medicamento Risdiplam® (Evrysdi) por Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?numeroRegistro=101000670>>. Acesso em: 01 abr. 2022.

4 DOU – Diário Oficial da União. Portaria SCTIE/MS nº 19 de 14 de março de 2022.

Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314\\_Portaria\\_19.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314_Portaria_19.pdf)>. Acesso em: 01 abr. 2022.

5 DOU – Diário Oficial da União. Portaria SCTIE/MS nº 17, de 11 de março de 2022. Disponível em:

<[http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314\\_Portaria\\_17.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/Portaria/2022/20220314_Portaria_17.pdf)>. Acesso em: 01 abr. 2022.



4. Para o tratamento da **atrofia muscular espinhal**, o Ministério da Saúde publicou, por meio da Portaria Conjunta SAS/SCTIE nº 03, de 18 de janeiro de 2022, o

**Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da atrofia muscular espinhal 5q tipos 1 e 2**<sup>6</sup>. Para o tratamento da **atrofia muscular espinhal 5q do tipo 3** ainda não foi publicado PCDT.

5. Neste momento, faz-se importante ressaltar que no documento médico acostado em Evento 1\_OUT2\_Página 20, foi relatado que o Autor apresenta diagnóstico de **AME tipo 3**. Entretanto, no mesmo documento, atribuiu-se a Classificação Internacional de Doenças (CID-10) para **AME tipo 1: G12.0 – Atrofia muscular espinhal infantil tipo I (Werdnig-Hoffman)**.

6. Assim, embora o medicamento prescrito – **Risdiplam** (Evrysdi<sup>®</sup>) esteja indicado para **atrofia muscular espinhal** (AME), quanto ao enquadramento do Autor no **protocolo de tratamento do Ministério da Saúde, salienta-se que conforme exposto no item 3, o medicamento foi incorporado no tipo I**.

7. Acrescenta-se ainda que **AME** é uma doença neuromuscular de manifestação clínica variável, genética e **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 Raras<sup>7</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.

8. 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.

9. No que concerne ao valor do medicamento **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi<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>8</sup>.

10. De acordo com publicação da CMED<sup>9</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>6</sup> CONITEC. Portaria conjunta nº03, de 18 de janeiro de 2022. Aprova o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas da Atrofia Muscular Espinhal 5q tipos 1 e 2. Disponível em: <[http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201\\_PORTAL\\_Portaria\\_Conjunta\\_3\\_PCDT\\_AME\\_5q\\_Tipos\\_IeII.pdf](http://conitec.gov.br/images/Protocolos/20220201_PORTAL_Portaria_Conjunta_3_PCDT_AME_5q_Tipos_IeII.pdf)>. Acesso em: 01 abr. 2022.

<sup>7</sup> BRASIL. Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <[http://bvsm.sau.gov.br/bvsm/sau/legis/gm/2014/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsm.sau.gov.br/bvsm/sau/legis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html)>. Acesso em: 01 abr. 2022.

<sup>8</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/cmmed/apresentacao>>. Acesso em: 01 abr. 2022.

<sup>9</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: <[https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista\\_conformidade\\_gov\\_2022\\_03\\_v1x.pdf/@/download/file/LISTA\\_CONF\\_ORMIDADE\\_GOV\\_2022\\_03\\_v1.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2022_03_v1x.pdf/@/download/file/LISTA_CONF_ORMIDADE_GOV_2022_03_v1.pdf)>. Acesso em: 01 abr. 2022.



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

11. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a última tabela Tabela de Preços CMED disponibilizada, o **Risdiplam 0,75mg/mL** (Evrysdi<sup>®</sup>) possui preço de fábrica correspondente a R\$ 57.922,67 e preço de venda ao governo correspondente a R\$ 45.451,92 para o ICMS 20%<sup>10</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.**

**PATRICIA FERREIRA DIAS COSTA**

Farmacêutica  
CRF-RJ 23437

Mat.: 8542-1

**GABRIELA CARRARA**

Farmacêutica

CRF- RJ 21.047  
ID:5083037-6

**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>10</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\\_gov\\_2022\\_03\\_v1x.pdf/@download/file/LISTA\\_CONF ORMIDADE\\_GOV\\_2022\\_03\\_v1.pdf](https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmmed/precos/arquivos/lista_conformidade_gov_2022_03_v1x.pdf/@download/file/LISTA_CONF ORMIDADE_GOV_2022_03_v1.pdf)>. Acesso em: 01 abr. 2022.