



**PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0275/2022**

Rio de Janeiro, 30 de março de 2022.

Processo nº 5021711-35.2022.4.02.5101,  
ajuizado por   
 representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **4ª Vara Federal** do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Vasoritida** (Voxzogo®).

**I – RELATÓRIO**

1. De acordo com o documento médico do Instituto Fernandes Figueira /Fiocruz (Evento 1, ATESTMED7, Página 1/2 e Evento 1, RECEIT8, Página 1) datados de 16 de março de 2022, pelo médico  o Autor apresenta síndrome malformativa associada ao nanismo tipo **acndroplasia** (CID10: Q87.1) corfirmado pelo estudo radiológico e estudo molecular revelando presença da mutação G380R no gene FGFR3, como consequência apresenta uma baixa estatura, grande desproporção dos membros, tanto superiores quanto inferiores. Há complicações clínicas reconhecidas com impacto à sua qualidade de vida. As medidas antropométricas comepreendem: sentado 20cm. Braço 13 cm, perna 20cm e PC 57cm. Tanner grau zero Mama 0 pelos o pênis 7cm

**II – ANÁLISE DA LEGISLAÇÃO/ DO PLEITO**

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.

## DO QUADRO CLÍNICO

1. A **acondroplasia** é a forma mais comum de displasia esquelética em seres humanos, com estimativa de ocorrência de 1 a cada 10.000 a 30.000 nascidos vivos. A condição é causada por mutação no gene 3 do receptor do fator de crescimento de fibroblastos (FGFR3), sendo este de herança autossômica dominante com penetrância completa. Aproximadamente 80% das ocorrências não são herdadas, e sim devido a novas mutações no gene. Dentro do espectro clínico da doença encontramos a redução dos ossos longos, face hipoplásica com bossa frontal, pedículos vertebrais reduzidos, estenose dos forames da base do crânio, entre outros. A estenose de forame magno (EFM) e a ventriculomegalia, por vezes hidrocefalia sintomática, manifestam-se durante a infância, enquanto a estenose de canal lombar se torna sintomática geralmente na vida adulta. Relatos de sua história natural incluem múltiplas complicações: atraso motor, hipotonia, alterações da curvatura vertebral, otite média recorrente com perda auditiva, apneia do sono e morte súbita. Porém, a apneia nos bebês acondroplásicos, devido a compressão no nível do forame magno (FM), pode levar a um desfecho fatal. Os estudos de Pauli et al. 1984 e Hecht et al. 1987 confirmam os riscos elevados de morte súbita associados a EFM e que tais riscos persistem na idade adulta levando a redução da expectativa de vida<sup>1</sup>.

## DO PLEITO

1. **Vosoritida** (Voxzogo®) é um análogo do peptídeo natriurético tipo C (CNP) aprovado para aumentar o crescimento linear em indivíduos ou crianças com **acondroplasia** de 5 anos ou mais com epífises abertas (placas de crescimento). As crianças que tomam VOXZOGO

<sup>1</sup> Alves, F.A. Acondroplasia e Suas Implicações Neurocirúrgicas em uma Série de Casos Pediátricos. Fundação Oswaldo Cruz Instituto Nacional de Saúde da Mulher, da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira. Rio de Janeiro. Maio de 2018. Disponível em: [https://www.arca.fiocruz.br/bitstream/icict/40366/2/flavia\\_alves\\_iff\\_mest\\_2018.pdf](https://www.arca.fiocruz.br/bitstream/icict/40366/2/flavia_alves_iff_mest_2018.pdf) Acesso em 30 mar 2022.

fazem check-ups regulares para medir peso, crescimento e desenvolvimento físico e ajustar sua dose, devendo ser interrompido após a confirmação de que não há mais potencial de crescimento, quando as placas de crescimento são fechadas.<sup>2</sup>

### **III – CONCLUSÃO**

1. Trata-se de Autor, 8 anos, com diagnóstico de **acndroplasia** confirmada por exame genético, apresentando solicitação médica para tratamento com o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo<sup>®</sup>) com urgência.

2. Em tal caso, informa-se que o medicamento **Vosoritida** (Voxzogo<sup>®</sup>) **possui indicação prevista**<sup>2</sup> para o quadro clínico da Autor, conforme relato médico – **acndroplasia** confirmada por exame genético (Evento 1, ATESTMED7, Página 1/2).

3. No que tange à disponibilização do medicamento no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS, destaca-se que a **Vosoritida** (Voxzogo<sup>®</sup>) **não integra** nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação, no âmbito do Município 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 2021<sup>3</sup>.

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

6. Acrescenta-se que a **acndroplasia** 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 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.

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,

<sup>2</sup>Informação sobre o medicamento vosoritida (Voxzogo<sup>®</sup>) obtida na página do fabricante, BioMarin Pharmaceutical Inc. disponível em: [https://pages.bmrn.com/rs/424-CBN-212/images/prescribing\\_information.pdf](https://pages.bmrn.com/rs/424-CBN-212/images/prescribing_information.pdf). Acesso em 30 mar. 2022.

<sup>3</sup> 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: 30 mar. 2022.

<sup>4</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>. Acesso em: 30 mar. 2022.

<sup>5</sup> Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>. Acesso em: 30 mar. 2022.

<sup>6</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: 30 mar. 2022.

<sup>7</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/prt0199\\_30\\_01\\_2014.html](http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html). Acesso em: 30 mar. 2022.



levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras<sup>8</sup>.

8. A **Vosoritida** (Voxzogo<sup>®</sup>) está contraindicada a pacientes que apresentam hipersensibilidade à(s) substância(s) ativa(s) ou a qualquer um dos excipientes que compõem o medicamento<sup>2</sup>.

9. 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)<sup>9</sup>.

10. De acordo com publicação da CMED<sup>10</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 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 Tabela de Preços CMED, para o ICMS 20%, tem-se<sup>11</sup>.

- **Vosoritida 0,56mg** (Voxzogo<sup>®</sup>) – 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.**

**A 4ª Vara Federal do Rio de Janeiro, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.**

**MARIA FERNANDA DE ASSUNÇÃO  
BARROZO**

Farmacêutica  
CRF-RJ 9554  
Matr. 50825259

**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

<sup>8</sup> 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\\_PCDDT\\_DoencasRaras\\_CP\\_FINAL\\_142\\_2015.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2015/Relatorio_PCDDT_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf)>. Acesso em: 30 mar. 2022.

<sup>9</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: 30 mar. 2022.

<sup>10</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: 30 mar. 2022.

<sup>11</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/cmcd/precos>>. Acesso em: 30 mar. 2022.